

Medexpress, 2021-05-25 13:17

SMA: terapia genowa na ministerialnej liście technologii o wysokim poziomie innowacyjności

Kacper Ruciński

W rok od rejestracji dla pacjentów z SMA otwiera się szybka ścieżka dostępu do jedynej terapii genowej dopuszczonej do przyczynowego leczenia rdzeniowego zaniku mięśni. Ministerstwo Zdrowia opublikowało listę technologii o wysokim poziomie innowacyjności Funduszu Medycznego.

Pierwszy wykaz ujrzał światło dzienne 26 lutego. Znalazło się na nim 11 terapii, z czego AOTMiT rekomendowała 4, a Rzecznik Praw Pacjenta 9. Ostatecznie minister zdrowia wskazał 5 terapii. Wśród nich znalazła się terapia genowa dla pacjentów z SMA.

Onasemnogen abeparawovek można stosować u pacjentów z jedną, dwiema lub trzema kopiami genu SMN2 o masie ciała do 21 kg. Terapia podawana jest raz w życiu podczas pojedynczego, trwającego około 60 min. wlewu dożylnego. Pacjenci otrzymują w pełni funkcjonalną kopię genu SMN1, która szybko zapewnia stałą produkcję białka SMN, przejmując w ten sposób funkcję nieprawidłowego genu, co zatrzymuje postęp choroby.

- Rewelacyjnie! - komentuje listę ministra zdrowia Kacper Ruciński, współzałożyciel i członek Rady Strategicznej Fundacji SMA. - Teraz liczymy na mądrze ułożony program lekowy, tak aby lekarz mógł zastosować tę terapię zawsze, gdy będzie potrzebna i będzie wykazywać przewagę nad innymi lekami - mówi.

W przypadku SMA niezbędne jest jak najwcześniejsze rozpoznanie i rozpoczęcie leczenia. - Badania przesiewowe ruszyły już w województwach mazowieckim i podlaskim. Do końca roku przesiew obejmie blisko połowę rodzących się dzieci w Polsce. To jest bardzo zachęcające, zwłaszcza w kontekście stosowania terapii genowej - cieszy się Kacper Ruciński.

W komunikacie prasowym producent leku zapowiedział, że *złoży wniosek, w celu rozpoczęcia procesu refundacyjnego w ramach ustawy o Funduszu Medycznym.*

- Z naszej strony oczekujemy, że rozmowy resortu zdrowia z firmą farmaceutyczną będą przebiegały tak, aby zapewnić korzyść dla szerszej populacji pacjentów - podsumowuje K. Ruciński.