

 Medexpress, 2021-10-08 16:42

SMA: Kolejne kraje za refundacją terapii genowej

Fot. Getty Images/iStockphoto

SMA to poważna, w wielu przypadkach śmiertelna choroba genetyczna. 8 października Belgia, Holandia i Irlandia ogłosiły, że będą refundować terapię genową dla dzieci przedobjawowych oraz chorych na ostrą postać SMA.

Negocjacje dot. refundacji toczyły się w ramach BENELUXA, czyli inicjatywy Belgii, Holandii, Luksemburga, Austrii i Irlandii, mającej na celu wspólną ocenę wartości leków i, po raz pierwszy, wspólne negocjacje z producentem.

Beneluxa wciąż jest nazywana inicjatywą, ale jednocześnie jest silną „marką” i złotym standardem dobrowolnej współpracy między państwami członkowskimi. Fakt, że dzięki niej jednocześnie w naszych trzech krajach lek Zolgensma stał się przystępny cenowo dla pacjentów z SMA, pokazuje, że deklarowany cel Beneluxy – którym jest zapewnienie zrównoważonego dostępu do innowacyjnych leków – może przełożyć się na wymierne, wspólne efekty - powiedział minister zdrowia Belgii.

Negocjacje nie były łatwe, ponieważ Holandia zażądała obniżki ceny o połowę. Z kolei Irlandia niechętnie finansuje leki na choroby rzadkie i jako jedno z ostatnich państw w Unii Europejskiej, zrefundowała nusinersen dla dzieci do 18 roku życia.

Łącznie w Belgii, Holandii i Irlandii rocznie rodzi się około 40–45 dzieci z SMA. To niemal samo, co w Polsce. W tych trzech krajach dostęp do leczenia terapią genową będą miały dzieci należące do dwóch kategorii:

- Dzieci mające objawy SMA typu 1
- Dzieci przedobjawowe mające nie więcej niż trzy kopie genu SMN2

Przypomnijmy, że zalecenia europejskich lekarzy ograniczają stosowanie zolgensmy do pacjentów z jedną, dwiema lub trzema kopiami genu SMN2, o masie ciała do 13,5 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 postępowanie choroby.

Źródło: Fundacja SMA