



Medexpress, 2021-10-14 14:32

Maciej Miłkowski: Terapia genowa w leczeniu SMA nadal bez refundacji



Fot. Rafał Gronecki / IOZ

Jak poinformował na dzisiejszej konferencji prasowej wiceminister zdrowia Maciej Miłkowski, lek Zolgensma czyli terapia genowa, wciąż nie będzie refundowana dla polskich pacjentów z SMA.

Wiele krajów europejskich, jak chociażby kraje Belgia, Holandia, Czechy czy Słowacja, refunduje terapię genową dla pacjentów z SMA. Jak się okazuje, Polska nie dołączy w najbliższym czasie do tego grona.

Jak poinformował wiceminister zdrowia Maciej Miłkowski, dotychczasowe negocjacje w sprawie ceny leku nie przyniosły pozytywnego rozstrzygnięcia i aktualna decyzja odnośnie refundacji w ramach Funduszu Medycznego pozostaje negatywna.

Powodem negatywnej decyzji jest cena, która w opinii Ministerstwa Zdrowia jest zaporowa.

- Zakończyły się negocjacje cenowe w sprawie refundacji leku Zolgensma. Producent postawił zaporową

cenę 6-7 mln zł za podanie leku dla jednego pacjenta - powiedział Maciej Miłkowski.

Rozczarowani tą decyzją byli również członkowie Fundacji SMA, obecni na konferencji. Wyrazili swoją nadzieję, że producent obniży cenę w trakcie kolejnych negocjacji, bądź charytatywnie przekaże dawki niektórym pacjentom w Polsce.

- Jesteśmy bardzo rozczarowani tą decyzją. Nie rozumiemy, dlaczego producent leku proponuje aż tak wysoką cenę - powiedział Kacper Ruciński, Współzałożyciel oraz Członek Rady Strategicznej Fundacji SMA.

Czym jest terapia genowa?

Na SMA, czyli Rdzeniowy zanik mięśni jest rzadką, genetyczną chorobą nerwowo-mięśniową, która dotyka osoby w każdym wieku. Charakteryzuje się utratą neuronów ruchowych w rdzeniu kręgowym i dolnej części pnia mózgu, co prowadzi do postępującego zaniku i osłabienia mięśni. Choroba jest najczęstszą genetyczną przyczyną śmierci wśród najmłodszych dzieci. SMA przez wiele lat było chorobą nieuleczalną. Dopiero niedawno pojawiły się możliwości terapeutyczne, jak chociażby podawany w Polsce lek Nusinersen czy właśnie terapia genowa, które dają nadzieję pacjentom na normalne życie.

Źródło: MZ