



Il costo del Myozyme

Ci sono voluti diversi anni di ricerca da parte di medici esperti e scienziati per ottenere il Myozyme come prodotto terapeutico per la malattia di Pompe. Di fatto, il Myozyme è il primo, e attualmente l'unico, trattamento specifico per questa malattia genetica. Questo articolo chiarisce i dettagli riguardanti il costo del Myozyme e le ragioni che sono dietro questo costo. Si parlerà inoltre delle varie opportunità disponibili per aiutarti ad accedere al trattamento.



D Quanto costa il Myozyme?

R Le Terapie Enzimatiche Sostitutive (ERT), incluso il Myozyme, sono molto costose. Negli Stati Uniti, e in tutto il resto del mondo, il prezzo del Myozyme è pressoché uguale. Il prezzo di un trattamento individuale varia in base al peso del paziente, poiché il Myozyme è somministrato in funzione del peso corporeo. Il medico potrà fornirti ulteriori dettagli sul costo specifico del trattamento con il Myozyme.

D Come si determina il costo?

R Il prezzo di tutte le terapie enzimatiche sostitutive della Genzyme è determinato da 3 fattori – il costo della ricerca per l'ottenimento del prodotto, il costo della realizzazione di una proteina complessa ottenuta con la tecnologia del DNA ricombinante, e la rarità della malattia da curare.

La Genzyme ha investito più di 500 milioni di dollari nel 2005 per mettere a punto e rendere possibile una terapia per la malattia di Pompe, ed è pronta ad investire altre centinaia di milioni nei prossimi anni

Altre definizioni della Malattia di Pompe

Deficit di alfa-glucosidase acida, deficit di maltasi acida, malattia da accumulo di glicogeno di Tipo II.

Il costo del Myozyme (continua)

per sostenere i test clinici in corso, per continuare la ricerca e per mantenere gli impegni richiesti dalle autorità di controllo. Poiché la Pompe è una malattia rara, questi costi sono ripartiti in un gruppo molto ristretto di persone. Di conseguenza, il costo del trattamento per paziente è molto più alto rispetto a quello di un farmaco per la terapia di una malattia più comune.

La Genzyme ha inoltre reinvestito fondi in ulteriori programmi di ricerca e sviluppo per le terapie di nuova generazione della Pompe e per fare in modo di individuare nuove potenziali terapie per richieste mediche non ancora in atto.

D Chi pagherà la mia terapia col Myozyme?

R Come per le altre terapie enzimatiche sostitutive, il rimborso per il Myozyme dipende dal Paese in cui vivi e dal livello di assistenza sanitaria. Negli Stati Uniti il rimborso dipende dal tipo di assicurazione sanitaria che hai precedentemente contratto. In Europa e in altri Paesi il rimborso è gestito direttamente dallo Stato, in base al Servizio Sanitario di ogni Paese.

Se abiti negli Stati Uniti, puoi contattare la Genzyme Treatment Support al numero 800-745-4447, selezionando il n. 3, per farti aiutare a definire la tua copertura assicurativa o per individuare le diverse opzioni alternative per la copertura dei costi. Se vivi al di fuori degli Stati Uniti, chiedi per maggiori informazioni, al tuo medico curante o all'Associazione Nazionale Pazienti.

D Ci sono progetti di beneficenza che possono aiutarmi ad affrontare le spese della terapia con il Myozyme?

R La Genzyme gestisce un "Charitable Access Program" per pazienti aventi diritto ma che non sono coperti da assicurazione negli Stati Uniti, e coordina altri progetti in corso, per garantire l'accesso ai fondi a livello internazionale.

In alcuni Paesi le autorità sanitarie nazionali non garantiscono attualmente un sostegno economico per il trattamento con il Myozyme. In questi casi, l'International Charitable Access Program della Genzyme provvede temporaneamente, fino a quando non sarà possibile ottenere il rimborso in quei Paesi, a dare accesso ai fondi per il trattamento a pazienti in gravi condizioni cliniche.

La presente pubblicazione si prefigge di fornire informazioni generali sul tema trattato. Viene distribuita come servizio pubblico erogato dall'International Pompe Association, fermo restando che l'International Pompe Association non si impegna a fornire prestazioni mediche o altri servizi professionali. La medicina è una scienza in costante evoluzione. L'errore umano e i cambiamenti della prassi medica non consentono di garantire la precisione di materiali che trattano una materia così complessa. Le presenti informazioni devono essere pertanto confermate da altre fonti, in particolare fonti mediche.