



El coste de Myozyme

Muchos años de intensa investigación y desarrollo por parte de médicos expertos y científicos han sido necesarios para producir Myozyme como tratamiento para la enfermedad de Pompe. De hecho, Myozyme es el primer tratamiento en el mundo, y actualmente el único tratamiento específico para esta enfermedad genética. Este folleto explica los detalles asociados al coste de Myozyme y los motivos razonables que hay detrás de este coste. Ofrece también los tipos de opciones que pueden estar disponibles para ayudarte a acceder a este tratamiento



P ¿Cuánto cuesta Myozyme?

R Los tratamientos enzimáticos sustitutivos (ERT), incluido Myozyme, no son medicamentos baratos. En Estados Unidos, y en el resto del mundo, el precio de Myozyme es relativamente similar. El coste del tratamiento para una persona dependerá del peso del paciente, puesto que Myozyme se dosifica por kilo de peso corporal. Tu médico puede ofrecerte más detalles respecto al coste específico del tratamiento con Myozyme.

P ¿Cómo se determina el precio?

R El precio de todos los tratamientos enzimáticos sustitutivos de Genzyme se determina basándose en tres factores – el coste de la investigación y del desarrollo del producto, el coste de la fabricación de una proteína compleja mediante la tecnología del ADN recombinante y la incidencia de las enfermedades tratadas.

En el año 2005 Genzyme había invertido ya más de 500 millones de dólares para desarrollar y fabricar un tratamiento para la enfermedad de Pompe. Por otra parte, la empresa prevee invertir varios cientos de millones de dólares suplementarios en el

Otros nombres para la enfermedad de Pompe

Deficiencia de alfa-glucosidasa ácida, deficiencia de maltasa ácida, glucogenosis tipo II, deficiencia lisosomal de alfa glucosidasa.

El Coste de Myozyme (continuar)

transcurso de los próximos años con el objetivo de financiar ensayos clínicos que están en marcha, más investigaciones y también para cumplir los compromisos requeridos por las autoridades reguladoras después de la aprobación del medicamento. Como la enfermedad de Pompe tiene una incidencia tan baja los costes se reparten entre un grupo muy pequeño de pacientes. Por este motivo, el coste del tratamiento por paciente es superior al de los medicamentos destinados a tratar enfermedades más corrientes.

Genzyme también reinvierte fondos en programas de investigación y de desarrollo para la próxima generación de terapias para el Pompe y para nuevas terapias potencialmente posibles que cubrirán necesidades médicas que actualmente no tienen respuesta.

P ¿Quién paga mi tratamiento con Myozyme?

R Como con cualquier otra terapia de sustitución enzimática, el reembolso de Myozyme varía dependiendo del país en el que vivas y del seguro médico que tengas. En Estados Unidos el reembolso del tratamiento depende del tipo de seguro médico que tengas. En Europa y en otros países, el reembolso se gestiona generalmente a nivel estatal, según el sistema sanitario de cada país.

Si vives en Estados Unidos, puedes contactar con Genzyme Treatment Support a través del número de teléfono 800-745-4447, opción 3, para que te ayuden a determinar qué tipo de cobertura te da el seguro que tengas o estudiar qué alternativas existen para cubrir tu tratamiento.

Si vives fuera de Estados Unidos, ponte en contacto con tu médico o con la asociación de pacientes de tu país para obtener una información más detallada.

P ¿Existen programas caritativos que puedan ayudarme a pagar el tratamiento con Myozyme?

R Genzyme dirige un Programa Caritativo de Acceso al tratamiento para pacientes que no disponen de un seguro médico en Estados Unidos y que cumplen ciertos requisitos, cuenta también con otros programas de acceso al tratamiento a nivel internacional.

En algunos países, las autoridades sanitarias no pagan, por ahora, el tratamiento con Myozyme. En estos casos el Programa Caritativo Internacional de Acceso al tratamiento de Genzyme, permite a los pacientes en estado grave o en un estado que su vida peligre a acceder al tratamiento hasta que lo pague el país en cuestión

Esta publicación tiene como objetivo difundir información general sobre los temas que se tratan. Se distribuye como un servicio público de la Asociación Internacional de Pompe, esta asociación no ofrece servicios médicos ni otro tipo de servicios profesionales. La medicina es una ciencia en continua evolución. El error humano y los cambios en la práctica impiden garantizar una precisión absoluta en temas tan complejos. Estas informaciones deben confirmarse con otras fuentes, principalmente con tu médico. Por favor, recuerda que la eficacia de Myozyme varía de una persona a otra.