



POMPEConnections

Myozyme'in maliyeti

Myozyme'in Pompe hastalığı için bir tedavi olarak üretilmesi, tıp uzmanları ve bilim insanlarının uzun yıllarını adadıkları araştırma ve geliştirme çabalarıyla gerçekleşmiştir. Nitekim, Myozyme bu genetik hastalık için dünyanın ilk ve halen tek hastalığa özgül tedavisidir. Bu kitapçık, Myozyme'in maliyetiyle ilgili ayrıntıları ve bu maliyetin ardındaki gerekçeyi açıklamaktadır. Ayrıca, bu tedaviyi karşılamaya yardımcı olmak için bulunabilecek seçenek tiplerini de tartışmaktadır.



S Myozyme'in maliyeti nedir?

C Myozyme'i de içeren enzim yerine koyma tedavileri (EYT) ucuz ilaçlar değildir. Amerika Birleşik Devletleri'nde ve dünyanın diğer ülkelerinde Myozyme'in fiyatı nispeten benzer olacaktır. Bir bireyin tedavi maliyeti hastanın kilosuna göre farklılık gösterecektir, zira Myozyme dozu vücut ağırlığına göre uygulanmaktadır. Doktorunuz Myozyme ile tedavi edilmenin spesifik maliyeti ile ilgili size daha ayrıntı bilgi sağlayabilir.

S Bu maliyet nasıl belirleniyor?

C Tüm Genzyme enzim yerine koyma tedavilerinin fiyatı üç faktöre göre belirlenmektedir – araştırma ve ürün geliştirmenin maliyeti, rekombinant DNA teknolojisiyle kompleks bir proteinin imalat maliyeti ve tedavi edilen hastalıkların nadirliği.

Genzyme, Pompe hastalığı için bir tedavi geliştirme ve üretmeye 2005 yılı itibarıyla 500 milyon dolardan fazla yatırım yapmıştır ve devam eden klinik çalışmaları, süren araştırmaları ve



www.worldpompe.org

Tedavi Baskısı

genzyme destiği ile

Pompe hastalığının diğer adları

Asit alfa-glukozidaz yetersizliği, asit maltaz yetersizliği (AMY), tip II glikojen depo hastalığı (GDH), glikojenoz II ve lizozomal alfa-glukozidaz yetersizliği.

Myozyme'in maliyeti (devam)

ruhsatlandırma makamları tarafından talep edilen onay sonrası yükümlülükleri yerine getirmek üzere ileriki yıllarda birkaç yüz milyon dolar daha yatırım yapmayı öngörmektedir. Pompe hastalığı son derece nadir olduğundan, bu maliyetler çok küçük bir hasta grubuna dağıtılmaktadır. Bunun bir sonucu olarak, hasta başına tedavi maliyeti daha yaygın olan hastalıkları tedavi eden tipik ilaçların maliyetine kıyasla daha yüksektir.

Genzyme ayrıca sonraki kuşak Pompe tedavileri için ve karşılanmamış tıbbi gereksinimler için diğer yeni potansiyel tedavileri ele almak üzere daha ileri araştırma ve geliştirme programlarına da yeniden yatırım yapmaktadır.

S Myozyme ile tedavimi kim ödüyor?

C Diğer enzim yerine koyma tedavileri gibi, Myozyme'in geri ödenmesi de yaşadığınız ülkeye ve aldığınız sağlık hizmetleri yardımlarına göre farklılık göstermektedir. Amerika Birleşik Devletleri'nde, tedavinin geri ödenmesi sigorta planınızın tipine bağlı olarak değişmektedir. Avrupa'da ve diğer bölgelerde, geri ödeme tipik olarak her ülkenin sağlık sistemine dayanarak ulusal düzlemde düzenlenmektedir.

Eğer Amerika Birleşik Devletleri'nde yaşıyorsanız, sigorta kapsamınızı daha iyi belirlemeye yardımcı olmak ya da tedavi için alternatif kapsam seçeneklerini keşfetmeye yardımcı olmak üzere, 800-745-4447, opsiyon 3'ten Genzyme Tedavi Destek ile temasa geçebilirsiniz. Eğer Amerika Birleşik Devletleri dışında yaşıyorsanız, daha fazla bilgi edinmek için tedavinizi yürüten hekim ya da ulusal hasta Derneği ile temasa geçiniz.

S Myozyme tedavimi karşılamama yardımcı olabilecek hayır programları var mı?

C Genzyme, Amerika Birleşik Devletleri'nde sigorta kapsamında olmayan uygun hastalar için bir Yardımsever Erişim Programı yürütmektedir ve uluslararası erişime yardımcı olmak için diğer programları bulunmaktadır.

Bazı ülkelerde ulusal sağlık makamları şu an Myozyme ile tedaviyi desteklemeyebilir. Bu gibi durumlarda, Genzyme'in Uluslararası Yardımsever Erişim Programı, ciddi veya yaşamı tehdit edici tıbbi durumdaki hastalar için söz konusu ülkede geri ödeme sağlanıncaya değin tedaviye geçici erişim sağlamaktadır.

Bu yayın, kapsanan konuyla ilgili genel bilgi sağlamak amacıyla tasarlanmıştır. Uluslararası Pompe Derneği tarafından bir kamu hizmeti olarak dağıtılmaktadır ve Uluslararası Pompe Derneği, tıbbi veya diğer mesleki hizmetler sunma amacını taşımamaktadır. Tıp sürekli değişmekte olan bir bilimdir. İnsan hatası ve uygulamadaki değişiklikler, böylesi karmaşık materyallerin kesin doğruluğunu garanti etmeyi olanaksız kılmaktadır. Bu bilgilerin diğer kaynaklar, özellikle de hastanın kendi hekimi tarafından doğrulanması gerekmektedir. Myozyme'in etkililiğinin kişiden kişiye farklılık gösterdiğini lütfen unutmayınız.