



De kosten van Myozyme

Het heeft vele jaren van toegewijd onderzoek en ontwikkeling door medische experts en wetenschappers gekost om Myozyme te produceren als behandeling voor de ziekte van Pompe. Myozyme is 's werelds eerste, en op dit moment de enige ziekte specifieke behandeling voor deze erfelijke ziekte. Deze publicatie beschrijft welke factoren de kosten voor Myozyme bepalen en de overwegingen hierachter. Ook worden de opties besproken die u heeft om de behandeling te ontvangen.



V Hoeveel kost Myozyme?

A Enzym vervangende therapieën, waaronder Myozyme, zijn niet goedkoop. In de Verenigde Staten en de rest van de wereld is de prijs van Myozyme ongeveer gelijk. De kosten van de behandeling per individu hangen af van het gewicht van de patiënt, omdat Myozyme wordt gedoseerd per kilogram lichaamsgewicht. Uw arts kan u de nadere details geven van de specifieke kosten van uw behandeling met Myozyme.

V Hoe worden de kosten bepaald?

A De prijs van alle enzym vervangende therapieën van Genzyme worden bepaald door drie factoren – de kosten van onderzoek en productontwikkeling, de kosten van het maken van een complex eiwit met recombinante DNA technologie, en de zeldzaamheid van de ziekten die behandeld worden.

Genzyme heeft tot 2005 meer dan 500 miljoen dollar in de ontwikkeling en productie van een behandeling voor de ziekte van Pompe geïnvesteerd, en anticipeert erop de komende jaren nog eens

Andere namen voor de ziekte van Pompe

Zure alpha-glucosidase deficiëntie, Zure maltase deficiëntie, Glycogeen stapelingsziekte type II, Glycogenose II en Lysosomale alpha-glucosidase deficiëntie.

De kosten van Myozyme (vervolg)

honderden miljoenen dollars te investeren in voortdurende klinische studies, verder onderzoek, en na te komen verplichtingen die ook na de goedkeuring geëist worden door de autoriteiten. Omdat de ziekte van Pompe een zeldzame ziekte is, moeten de kosten over een kleine groep patiënten verdeeld worden. Als resultaat zijn de kosten per patiënt hoger dan van medicijnen voor meer algemeen voorkomende ziekten.

Genzyme herinvesteert ook geld in verder onderzoek en ontwikkelingsprogramma's voor volgende generatie behandelingen voor de ziekte van Pompe en nieuwe mogelijke behandelingen voor andere medische problemen.

V Wie betaalt er voor mijn behandeling met Myozyme?

A Net zoals andere enzym vervangende therapieën hangt de vergoeding van Myozyme af van het land waar u woont en van uw zorgverzekering. In de Verenigde Staten hangt de vergoeding voor behandeling af van het soort verzekering dat u heeft. In Europa en andere regio's wordt de vergoeding per land geregeld afhankelijk van het gezondheidszorgsysteem van elk land.

Indien u wilt weten hoe de vergoeding in uw land is geregeld, kunt u het beste contact opnemen met uw arts of nationale patiëntenorganisatie voor meer informatie.

V Zijn er liefdadigheidsprogramma's die mij kunnen helpen om behandeling met Myozyme te kunnen betalen?

A Genzyme heeft een liefdadigheidsprogramma voor patiënten in de Verenigde Staten die in aanmerking komen voor behandeling met Myozyme, maar geen verzekering hebben. Genzyme heeft een ander programma voor mensen buiten de Verenigde Staten.

Myozyme wordt op dit moment in sommige landen nog niet vergoed door de nationale gezondheidsautoriteiten. In deze situaties biedt Genzyme's Internationale liefdadigheidsprogramma tijdelijke toegang tot behandeling voor patiënten in een serieuze of levensbedreigende medische situatie totdat de vergoeding in dat land geregeld is.

Deze publicatie is bedoeld om algemene informatie te verstrekken en wordt verspreid door de International Pompe Association als service, met dien verstande dat de International Pompe Association geen medische of andere professionele dienstverlening verricht. De medische wetenschap is constant in beweging en menselijke fouten en veranderingen in de praktijk maken het onmogelijk om de exacte nauwkeurigheid van zulke complexe materialen te bepalen. Bevestiging van deze informatie vanuit andere bronnen, vooral de eigen arts, is noodzakelijk.