

Skvělá zpráva pro pacienty se spinální svalovou atrofií. Lék SPINRAZA bude nově hrazený ze zdravotního pojištění

24.8.2022 - | Ministerstvo zdravotnictví ČR

Ministerstvo zdravotnictví schválilo úhradu léčivého přípravku SPINRAZA k léčbě spinální svalové atrofie z prostředků veřejného zdravotního pojištění. Jde o výsledek historicky prvního zasedání Poradního orgánu ministra zdravotnictví pro úhradu léčiv určených k léčbě vzácných onemocnění, jehož členy jsou zástupci státu, zdravotních pojišťoven, odborných společností a patientských organizací.

Inovativní kauzální léčba pacientům se spinální svalovou atrofií přináší zlepšení kvality života a zásadně doplňuje současnou multioborovou symptomatickou péči, která je pro pacienty a jejich rodiny/pečovatele extrémně náročná. SPINRAZA s léčivou látkou nusinersen je aktuálně jedním ze tří v Evropské unii registrovaných kauzálních léčivých přípravků pro diagnózu spinální svalové atrofie.

„Nejenom z pozice ministra zdravotnictví, ale rovněž z pozice lékaře, který se s pacienty se vzácnými onemocněními setkává ve své praxi, skutečně vítám závěry poradního orgánu, neboť dojde k systémové změně s významným dopadem na kvalitu života pacientů i jejich rodin. Doufám, že na toto první projednání naváží projednání dalších žádostí, a bude tak umožněno, bude-li přínos stejně prokazatelný, jako tomu je u SPINRAZY, poskytnout účinnou léčbu osobám se vzácným onemocněním včas a v potřebném rozsahu bez zátěže individuálních jednání o úhradě mezi pacienty a zdravotními pojišťovnami,“ uvedl u příležitosti vydání závazného stanoviska ministr zdravotnictví Vlastimil Válek. Závazné stanovisko je zveřejněno na Portálu poradních orgánů a pracovních skupin Ministerstva zdravotnictví.

Spinální svalová atrofie (SMA) je vzácné, geneticky podmíněné, neurodegenerativní onemocnění, které se klinicky projevuje progresivní svalovou slabostí a úbytkem svalstva. SMA je invalidizující a často fatální onemocnění, ovlivňující základní fyzické dovednosti člověka – jako sedět, chodit, jíst, dýchat, přičemž postihuje osoby v různých věkových kategoriích, od kojenců a dětí po dospívající a dospělé, s různou úrovní závažnosti. Incidence v České republice představuje každoroční nárůst v počtu přibližně 10-12 dětí se SMA. Bez léčby a podpůrné péče (ventilační podpory) pacienti se SMA 1. typu v 80-95 % případů umírají do 18 měsíců věku, v případě SMA 2. typu 70 % pacientů přežívá 25 let. Pacienti se SMA 2. typu bez léčby nikdy nejsou schopni samostatné chůze, je u nich vysoké riziko respirační insuficience s nutností umělé plicní ventilace, délka života je zkrácena. Pacienti se SMA 3. typu bez léčby ztrácí schopnost chůze a mají vysoké riziko respirační insuficience.

Onemocnění má zároveň silný sociální dopad a představuje obrovskou fyzickou a emocionální zátěž nejenom pro pacienty, ale i na jejich rodiny a pečovatele, na nichž se stávají pacienti závislími. Kvalita života pacientů i pečovatelů je vážně narušena, přičemž onemocnění představuje významnou ekonomickou zátěž.

Dostupnost inovativní kauzální léčby pacientům se SMA znamená zlepšení kvality života pacientů i jejich pečovatelů, zásadně doplňuje současnou multioborovou symptomatickou péči, která je pro pacienty a jejich rodiny/pečovatele extrémně náročná. Nusinersen nabízí pacientům se SMA a jejich rodinným pečovatelům léčbu s měřitelným dopadem na přežití, motorické funkce a zlepšenou či

stabilizovanou pohyblivost.

<https://www.mzcr.cz/tiskove-centrum-mz/skvela-zprava-pro-pacienty-se-spinalni-svalovou-atrofii-lek-s-pinraza-bude-nove-hrazeny-ze-zdravotniho-pojisteni>