

Luxturna najdroższym lekiem w USA

5 stycznia 2018

Firma Spark Therapeutics, twórca pierwszej dopuszczonej w USA terapii genowej przeciwko rzadkiej dziedzicznej formie ślepoty, podał cenę leczenia. Wynosi ona 850 000 USD, zatem stosowany podczas niej lek Luxturna jest najdroższym lekarstwem sprzedawanym w Stanach Zjednoczonych.



Dyrektor wykonawczy Spark, Jeff Marrazzo, mówi, że wysoki koszt leku usprawiedliwia fakt, że lekarstwo przywraca wzrok niewielkiej grupy ludzi dotkniętych rzadkim schorzeniem. Jest ono jednokrotnie wstrzykiwane do każdego oka.

Wielu inwestorów spodziewało się, że Luxturna będzie kosztowała co najmniej milion dolarów. Myślę, że podjęliśmy właściwą decyzję co do ceny leku, mówi Marrazzo. Jego zdaniem znaleziono równowagę pomiędzy wykorzystaniem przez firmę ekonomicznej wartości leku, a możliwością opłacenia terapii przez pacjentów. Firma obiecała też obniżki dla ubezpieczycieli zdrowotnych, jeśli ubezpieczona przez nich osoba będzie spełniała pewne warunki dotyczące rodzaju zaburzeń widzenia. Obecnie wiadomo, że Luxturna działa po

jednokrotnym podaniu. Jednak od prób klinicznych minęło zbyt mało czasu, by stwierdzić, czy efekt leczenia utrzyma się przez dziesięciolecia.

Wiadomo, że Spark podpisała już umowę z ubezpieczycielem non-profit firmą Harvard Pilgrim, która ubezpiecza 1,2 miliona osób w stanie New England. Na podstawie tej umowy zostaną przyznane wspomniane obniżki. Prowadzone są też negocjacje z innymi ubezpieczycielami. Nie wiadomo też, jaką część kosztów Luxturny Spark będzie musiała zwrócić, jeśli u danego pacjenta lek nie będzie działał. Rozważana jest też propozycja, zgodnie z którą opłata za lek byłaby rozłożona na wiele lat.

Cena leku wydaje się szokująco wysoka, jednak najnowocześniejsze terapie są niezwykle drogie. Pod względem ceny i sposobu płacenia lek ten nie odbiega od tego, co widzimy w przypadku innych innowacyjnych terapii, mówi doktor Stuart Orkin, onkolog dziecięcy z Dana-Faber Cancer Institute i Boston Children's Hospital. Przypomina on, że np. ceny onkologicznych terapii CAR-T również idą w setki tysięcy dolarów. Orkin specjalizuje się w zagadnieniach dotyczących kwestii ponoszenia przez społeczeństwo opłat za terapie genowe. Jego zdaniem, bardzo ważne jest ustalenie kwestii finansowych w przypadku, gdy lek nie zadziała. „Należy ich [firmę Spark – red.] pochwalić za elastyczność i chęć ustalenia różnych sposobów płatności. To lepsze niż gdyby mieli ustalić sztywną cenę i stwierdzić, że należy płacić całość i od razu” – stwierdził lekarz.

Luxturna została zatwierdzona w grudniu. Lek ten jest przeznaczony dla osób cierpiących na dziedziczne schorzenie siatkówki spowodowane mutacją genu RPE65. Ludzie z tym schorzeniem od urodzenia cierpią na poważne problemy ze wzrokiem, w tym na ślepotę nocną. Z czasem choroba postępuje i może prowadzić do całkowitej utraty wzroku. Szacuje się, że w USA żyje 1000-2000 osób z tą chorobą, a każdego roku rodzi się 10-20 dzieci ze zmutowanym RPE65.

Analitycy Wall Street szacują, że do roku 2022 sprzedaż Luxturny osiągnie wartość 364 milionów USD. Tymczasem na rynku medycznym za lek, który odniósł sukces uważany jest taki, którego wartość sprzedaży przekroczy miliard dolarów. Firma Spark będzie mogła więc mówić o umiarkowanym sukcesie.

Oczywiście firma mogła ustalić cenę leku na wyższym poziomie, jednak zraziłoby to ubezpieczycieli, przez co mniej chętnie współpracowaliby oni z nią w przyszłości, przy innych oferowanych przez przedsiębiorstwo terapiach genowych.

Autorstwo: Mariusz Błoński

Zdjęcie: [12019](#) (CC0)

Na podstawie: ScientificAmerican.com

Źródło: KopalniaWiedzy.pl