



Kosten von Myozyme

Viele Jahre an Forschungs- und Entwicklungsarbeit waren nötig, bevor Myozyme zur Behandlung von Morbus Pompe hergestellt werden konnte. Myozyme ist die weltweit erste und bislang einzige spezifische Therapie für diese genetische Erkrankung. In diesem Kapitel werden Sie detailliert über die Kosten von Myozyme und deren Hintergrund informiert. Es werden auch mögliche Alternativen diskutiert, wie Sie Unterstützung dabei finden können, die Therapie zu erhalten.



F Wie viel kostet Myozyme?

A Enzymersatztherapien (EETs), einschließlich Myozyme, sind kostspielige Behandlungen. Myozyme wird in den USA und allen anderen Ländern weltweit mehr oder weniger den gleichen Preis haben. Die Kosten der Therapie für jeden einzelnen sind unterschiedlich, da die jeweils notwendige Menge an Myozyme vom Körpergewicht abhängt. Ihr Arzt kann Ihnen die Frage nach den Kosten für Ihre Behandlung genau beantworten.

F Wie wird der Preis ermittelt?

A Die Kosten sämtlicher Enzymersatztherapien von Genzyme basieren auf drei Faktoren: den Forschungs- und Entwicklungskosten, den Kosten für die Herstellung eines komplexen Proteins mit rekombinanter DNS-Technologie und der Tatsache, dass es sich um eine seltene Erkrankung handelt.

Genzyme hat seit dem Jahr 2005 mehr als 500 Mio. US-Dollar in die Entwicklung und Herstellung der Pompe-Therapie investiert und rechnet mit einem zusätzlichen

Andere Bezeichnungen für Morbus Pompe

Mangel an saurer Alpha-Glukosidase, Mangel an saurer Maltase (engl.: acid maltase deficiency – AMD), Glykogenspeicherkrankheit, Glykogenose Typ II und lysosomaler Alpha-Glukosidase-Mangel.

Kosten von Myozyme (Fortsetzung)

Investitionsvolumen von mehreren Hundert Millionen US-Dollar in den kommenden Jahren für die Durchführung der laufenden klinischen Tests, Fortführung der Forschung und den Forderungen, die von den Zulassungsbehörden nach der Zulassungserteilung gestellt werden. Da Morbus Pompe eine sehr seltene Erkrankung ist, lassen sich die Kosten nur auf eine kleine Patientengruppe aufteilen. Das heißt, die Kosten pro Patient sind damit höher als bei gewöhnlichen Arzneimitteln für weiter verbreitete Krankheiten.

Genzyme lässt auch Gelder wieder zurückfließen in Forschungs- und Entwicklungsprojekte für die nächste Generation von Pompe-Therapien und um andere neue Therapien zu entwickeln.

F Wer bezahlt meine Myozyme-Behandlung?

A Wie bei den anderen Enzyersatztherapien ist die Kostenerstattung für Myozyme von Land zu Land verschieden. In den USA hängt die Kostenerstattung von Ihrem Versicherungsplan ab. In Europa und anderen Ländern wird die Frage der Kostenerstattung normalerweise auf nationaler Ebene über die jeweiligen Gesundheitssysteme geregelt.

Wenn Sie Beratung brauchen bei Fragen zur Kostenerstattung, sprechen Sie bitte Ihren behandelnden Arzt darauf an oder wenden Sie sich an die jeweilige Selbsthilfegruppe. Informationen zu diesem Thema für Deutschland erhalten Sie auch auf der privaten Webseite www.pompe-therapie.de.

F Gibt es gemeinnützige Förderprogramme, die mich bei der Kostenübernahme unterstützen können?

A Zusätzlich zu einem gemeinnützigen Förderprogramm (Charitable Access Program – CAP), das in den USA Patienten ohne Versicherungsschutz weiterhilft, bietet Genzyme auch länderübergreifende Programme an, die auf internationaler Ebene weiterhelfen können, Zugang zur Myozyme-Therapie zu bekommen.

In einigen Ländern haben die nationalen Gesundheitsbehörden der Kostenerstattung für die Myozyme-Behandlung noch nicht zugestimmt. In diesen Ländern können Patienten, deren Gesundheitszustand sehr schlecht oder lebensbedrohlich ist, über das internationale Förderprogramm (International Charitable Access Program – ICAP) die Behandlung vorübergehend von Genzyme erhalten, bis in dem jeweiligen Land die Kostenübernahme gesichert ist.

Diese Broschüre hat zum Ziel, allgemeine Informationen zum genannten Thema zur Verfügung zu stellen. Die Veröffentlichung ist ein Service der International Pompe Association, und es wird ausdrücklich darauf hingewiesen, dass die International Pompe Association keinesfalls medizinische oder andere professionelle Dienstleistungen erbringt. Die Medizin ist eine Wissenschaft, die ständigen Veränderungen unterworfen ist. Bedingt durch Fehler und Änderungen in der Behandlung kann keine Gewähr für die vollständige Exaktheit einer solch komplexen Materie übernommen werden. Es ist unabdingbar, diese Informationen von anderen Quellen, insbesondere dem betreuenden Arzt absichern zu lassen.