



Редки Болести и Лекарства Сираци

Брой 3 / 2018 г.

ISSN 1314-3581
<http://journal.raredis.org>

РЕДАКЦИОННА СТАТИЯ

Nusinersen при спинална мускулна атрофия – въпроси при оценка и достъп до здравната технология

Георги Искров^{1,2}, Румен Стефанов^{1,2}

¹ Катедра по Социална медицина и обществено здраве, Факултет по Обществено здраве, Медицински университет – Пловдив

² Институт по редки болести, Пловдив

На 30 май 2017 г. Европейската комисия издаде разрешение за пазарна употреба на nusinersen с търговско наименование Spinraza, валидно за целия Европейски съюз. **Nusinersen е посочен за лечение на спинална мускулна атрофия (СМА) [1].** Дефинирани са четири подтипа СМА в зависимост от възрастта при начало и тежестта на заболяването – тип 1 (SMA1), най-тежката форма, с начало до 6-месечна възраст; тип 2 (SMA2), с начало между 6- и 18-месечна възраст; тип 3 (SMA3), с начало между детството и юношеството; тип 4 (SMA4), най-малко тежката форма, с начало при възрастни. Всички подтипове се характеризират с мускулна слабост и атрофия с различна тежест, особено засягаща долните крайници и дихателните мускули. Слабостта е почти винаги симетрична и прогресивна. Болестността на цялата група СМА се оценява около на 1 на 30 000 [2].

При аргументацията на своето решение, Европейска агенция по лекарствата (ЕМА) признава тежестта на СМА и спешната нужда от ефективни лечения. ЕМА приема, че nusinersen води до клинично значими подобрения при малки деца с различни степени на тежест на заболяването. Въпреки, че лекарството не е изпитвано при пациенти с най-тежката и най-леката форми на СМА, ЕМА очаква то да осигури същите ползи за тези пациенти [1]. Докато положителното разрешение за пазарна употреба бе очаквано, **решението на ЕМА да препоръча одобрение за всички подтипове СМА изненада** до голяма степен здравните регулатори и платци.

Спорно е дали пазарното разрешение за широк кръг от индикации без наличие на преки доказателства за дългосрочната клинична ефективност и терапевтичните ползи на nusinersen е добър или лош прецедент. **От етична гледна точка, ЕМА взе правилното решение**, давайки възможност за лечение на пациенти без други значителни терапевтични опции. **Също от етична гледа точка обаче, предложената цена на продукта бе силно противоречива** [3].

Високата цена на nusinersen не е изключение и следва примера на много иновативни лекарствени терапии за редки болести преди това. Да, иновацията в медицината има своята цена, която често е висока. Но цената на продукта следва да отчита приноса на различни страни и лица в

хода на разработване и създаване на едно ново лекарство. Много от одобрените иновативни терапии през последните години стъпват или директно произтичат от резултати от проучвания, финансирани с публични грантове или частни благотворителни средства. В други случаи, фармацевтични компании просто официализират дългогодишна употреба извън одобрени индикации и ребрандират продукта като нов. Ценообразуването на продукта е фирмена политика, но и в двата описани примера **служи зле за стимулирането на иновациите и лобирането за каузата на редките болести** [4].

Ограничените клинични доказателства за nusinersen, съчетани с високата цена на продукта, са основен проблем при оценката и достъпа до тази здравната технология. В своето проекторешение от август 2018 г. Националният институт за усъвършенстване в здравеопазването (NICE) **не препоръчва реимбурсиране** на nusinersen предвид очаквания разход между 400 и 600 хил паунда за единица спечелена година с отчитане на качеството на живот. Вземайки предвид дори конфиденциалните отстъпки в цената, **този разход остава твърде висок** за възможностите на Националната здравна служба в Англия [5].

Окончателният вариант на решение на NICE предстои да бъде публикуван в края на октомври 2018 г. след допълнителен кръг консултации. Очакванията обаче са да не настъпят съществени промени. Вече се коментира и **възможността за споразумение за управляем достъп** до тази терапия [5]. Трябва да се отбележи, че програма за ранен достъп до nusinersen във Великобритания вече действа [6]. Тя обаче е само за деца със СМА1, диагностицирани до навършване на 7-месечна възраст. Деца, диагностицирани след тази възраст, са допустими за включване при определени медицински условия. Програмата ще приема нови пациенти до 1 ноември 2018 г. Споразумението за управляем достъп се очаква да бъде за 5-годишен период с ежегодно събиране на данни от реалната практика. Обект на договора са всички пациенти под 18-годишна възраст и с поне две генни копия на SMN2 [5].

У нас въпросът с достъпа до лечение с nusinersen бе повдигнат в края на 2017 г. и предстои да става все по-актуален. Очакваният значителен брой пациенти за това иначе рядко заболяване и високата цена на лекарството поставят сериозни предизвикателства. Затова **трябва да бъде отчетен максимално опитът във Великобритания** при оценката на тази здравна технология – ясно дефиниране на пациентската популация и допустимите за лечение с nusinersen подтипове, договаряне на допълнителна отстъпка извън регламентирани задължителни такива, достъп единствено в рамките на експертни центрове за редки

болести, проследяване със събиране на доказателства, анализ и реоценка на достъпа с оглед на новите данни от реалната практика.

Библиография

1. Европейска агенция по лекарствата. Резюме на Европейския публичен оценъчен доклад за Spinraza EMA/736370/2017, 2017.
2. Orphanet. Proximal spinal muscular atrophy, 2018.
3. The Lancet Neurology (editorial). Treating rare disorders: time to act on unfair prices. The Lancet. Neurology. 2017 Oct;16(10):761.
4. Iskrov GG, Jakovljevic MM, Stefanov RS. Budgetary Impact of Medicinal Therapies for Rare Diseases in Bulgaria. Folia Med (Plovdiv). 2018 Mar 1;60(1):79-91.
5. NICE. Nusinersen for treating spinal muscular atrophy ID1069 (In development, GID-TA10281), 2018.
6. Spinal Muscular Atrophy UK. The UK Expanded Access Programme for Nusinersen for Children with SMA Type 1, 2018.