

Duurste medicijn ter wereld goedgekeurd: \$2.1 mln per dosis

Het Zwitserse farmaconcern Novartis mag het duurste medicijn ter wereld op de markt gaan brengen. Dat middel is een eenmalige gentherapie genaamd Zolgensma en gaat ruim \$2.1 mln kosten. Novartis is ook voornemens het medicijn naar Europa te brengen, maar heeft hier nog geen officiële goedkeuring voor gekregen.

Gentherapie is een nieuwe, revolutionaire behandelmethodede waarmee erfelijke aandoeningen in principe blijvend zijn te genezen. De eerste middelen zijn sinds kort op de markt en zijn in de regel erg duur. Novartis verdedigt de extreem hoge prijs van het medicijn echter met het argument dat eenmalige behandeling waardevoller is dan dure levenslange behandelingen die honderdduizenden dollars per jaar kunnen kosten.

Zeldzame spierziekte

Zolgensma is een medicijn voor spinale spieratrofie, een zeldzame spierziekte die de grootste genetische doodsoorzaak is bij zuigelingen. Vrijdag keurde Food and Drug Administration (FDA), de Amerikaanse toezichthouder, het medicijn officieel goed voor kinderen onder de twee jaar met deze ziekte. De ziekte kan leiden tot verlamming, ademhalingsproblemen en zelfs de dood voor zuigelingen met type-1 van de ziekte. Spinale spieratrofie komt voor bij circa een op de tienduizend pasgeborenen, van wie 50 tot 70% gediagnosticeerd wordt met type 1.

Tot nu toe was het duurste medicijn ter wereld een gentherapie tegen een zeldzame vorm van blindheid. Dat middel is in handen van Spark Therapeutics, in februari overgenomen door de eveneens Zwitserse medicijnmaker Roche. Dit middel kost in de Verenigde Staten €700.000 per behandeling