

Malý Max je první pacient se spinální svalovou atrofií, kterému byla v ČR podána systémová genová léčba

Praha, 15. května 2020 – Aplikace léku Zolgensma proběhla ve FN Motol včera odpoledne. Pacient byl v nemocnici hospitalizován už od úterý, a to na Klinice dětské neurologie 2. LF UK a FN Motol. To, jestli bude mít léčba očekávaný efekt, se ukáže cca do 3 měsíců.

Lék dorazil do FN Motol v pondělí. Převážován byl v kontejneru se suchým ledem při teplotě -75 °C. Před vlastní aplikací musel být nejdříve v lékárně za kontrolovaných podmínek rozmražen a připraven do aplikační formy vhodné k infuznímu podání (tzv. do žíly) pomocí infuzní pumpy. Léčivo se totiž ve formě, v jaké se dostává od výrobce do nemocniční lékárny, pacientovi ihned podat nedá. Pro zachování maximální bezpečnosti pro pacienta i ochrany personálu byla infuze připravena v tzv. izolátoru, který zabezpečí fyzické oddělení připravujícího personálu od přípravku a sterilitu prostředí umístěném v tzv. čistých prostorech se speciální vzduchotechnikou.

Aplikace léku trvala přibližně 70 minut a pacient při ní byl umístěn na izolovaném JIP pokoji. **„Nedošlo k žádnému neočekávanému průběhu, ani k žádným komplikacím. Pacient bude ve FN Motol hospitalizovaný pravděpodobně do konce týdne, v pondělí bychom ho už propustili do domácí péče,“ říká MUDr. Jana Haberlová, Ph.D., vedoucí lékařka Neuromuskulárního centra Kliniky dětské neurologie 2. LF UK a FN Motol.** Na kontroly bude pacient docházet ambulantně. V prvním měsíci od podání každý týden, druhý a třetí měsíc pak každé dva týdny. Při kontrolách se budou provádět odběry periferní krve k testování možných nežádoucích účinků, s odstupem tří měsíců budou lékaři u Maxe kontrolovat motorické testy, vyšetření dechových funkcí a polykání.

Lék, jehož cena je necelých 54 milionů korun, bude ve FN Motol podán ještě dalším dvěma pacientům – na konci května a na začátku června. Léčbu všech tří pacientů uhradí zdravotní pojišťovny.

Zolgensma je světově prvním lékem systémové genové léčby v medicíně, která u registrovaných léků doposud spočívala v úpravě buněk mimo tělo pacienta či v lokálním podání. V tomto případě se virový vektor podává pacientům formou infuze a dostává se do všech buněk těla. Jde o první lék, který je při systémovém podání schopen jednorázově vyřešit genetický deficit pacienta, tedy jednou infuzí se opraví určitá genetická porucha. A to dokonce dle nyní dostupných dat třeba jednou pro vždy, což je naprosto přelomové.

Kontakt pro média:

Pavčina Danková, tel: 724 227 503, e-mail: pavlina.dankova@fnmotol.cz