



تولید یکی از گران‌ترین داروهای جهان برای درمان SMA/ایران دومین تولیدکننده جهانی با ۵۵ میلیون دلار صرفه‌جویی ارزی

داروی خوراکی بیماران SMA که نمونه خارجی آن با قیمت ۷۹۰۰ پوند، یکی از گران‌ترین داروهای دنیا محسوب می‌شود.

داروی خوراکی بیماران SMA که نمونه خارجی آن با قیمت ۷۹۰۰ پوند، یکی از گران‌ترین داروهای دنیا محسوب می‌شود، اکنون با تولید داخلی و تنها دو درصد قیمت جهانی در دسترس بیماران ایرانی قرار گرفت و به گفته محققان این محصول علاوه بر تأمین کامل نیاز کشور، سالانه ۵۵ میلیون دلار صرفه‌جویی ارزی ایجاد می‌کند. زهرا قاسمی، کارشناس تحقیق و توسعه یکی از شرکت‌های داروسازی در گفت‌وگو با ایسنا با اشاره به تولید نخستین داروی درمان بیماران مبتلا به آتروفی عصب و عضله (SMA) در کشور گفت: از سال ۱۴۰۳ موفق شدیم با توسعه یک محصول دارویی ویژه بیماران SMA، شرکت را به دانش بنیان تبدیل کنیم. این بیماری یک اختلال ژنتیکی است که موجب تحلیل عصب و عضله می‌شود.

وی افزود: ما دومین شرکت در جهان پس از شرکت سوئیسی هستیم که توانسته این دارو را تولید کند. این دستاورد علاوه بر اهمیت علمی، تأثیر اقتصادی چشمگیری نیز دارد و اختلاف قیمت این دارو با نمونه خارجی بسیار قابل توجه است. داروی شرکت سوئیسی حدود ۷۹۰۰ پوند برای هر شربت قیمت دارد و بیماران بسته به سن و دوز مصرفی، ماهانه بین ۲.۵ تا ۳ شربت دریافت می‌کنند. اما دارویی که ما تولید کرده ایم تنها حدود دو درصد این قیمت است؛ یعنی حدود ۲۰ میلیون تومان که بخش مهمی از آن نیز تحت پوشش بیمه قرار دارد.

قاسمی درباره سازوکار بیماری، توضیح داد: در بیماران SMA، عضله و عصب به تدریج تحلیل می‌رود و فرد ممکن است با پیشرفت بیماری دچار ضعف شدید حرکتی یا حتی فلج شود. این بیماری منشأ ژنتیکی دارد و می‌تواند از دوره جنینی تا سنین بالاتر بروز پیدا کند.

وی با اشاره به نقش این دارو در بهبود عملکرد بیماران، گفت: در بدن این بیماران پروتئین خاصی ترشح نمی‌شود و همین موضوع باعث تحلیل عضله می‌شود. داروی تولیدشده کمک می‌کند این پروتئین دوباره در بدن ترشح شود و عملکرد عصب و عضله تا حد قابل توجهی بهبود پیدا کند. هرچند طبق اعلام شرکت سوئیسی تولیدکننده، این دارو برای جلوگیری از پیشرفت بیماری طراحی شده است، اما بیماران ایرانی که از محصول تولید داخل استفاده کرده‌اند، بهبود حرکتی محسوسی نیز داشته‌اند. این کارشناس تحقیق و توسعه ادامه داد: برای نمونه، کودکی وجود داشت که پیش از شروع درمان کاملاً فلج بود، اما پس از مصرف دارو توانسته است تا حد قابل توجهی بنشیند. این نشان می‌دهد که علاوه بر جلوگیری از پیشرفت بیماری، درجاتی از بهبود عملکرد عضلات نیز ممکن است.

قاسمی تأکید کرد: اگر بیماری در همان بدو تولد و پیش از بروز علائم شدید تشخیص داده شود و نوزاد دارو را دریافت کند، عملاً هیچ نشانه‌ای از بیماری بروز نخواهد کرد. هرچه درمان زودتر آغاز شود، اثربخشی و کیفیت زندگی بیمار به مراتب بهتر خواهد بود.

این پژوهشگر حوزه داروسازی درباره روند تشخیص بیماری SMA توضیح داد: پس از تأیید پزشک، تشخیص این بیماری معمولاً دشوار نیست. در نوزادان و کودکان مبتلا، علائمی مانند عدم توانایی در حرکت، واکنش ندادن به صدا یا نداشتن عکس العمل‌های طبیعی به وضوح دیده می‌شود و همین موضوع فرآیند تشخیص را ساده می‌کند.

وی درباره تجاری‌سازی و گستره استفاده از این دارو در کشور، گفت: از سال ۱۴۰۳ این محصول وارد مرحله تولید و تجاری‌سازی شد. در حال حاضر حدود ۱۵۰۰ بیمار مبتلا به SMA در ایران شناسایی شده‌اند و داروی مورد نیاز آنان به صورت ماهانه در شرکت تولید و توزیع می‌شود. هر بیمار بسته به سن و وضعیت جسمی خود، ماهانه ۲.۵ تا ۳ شربت مصرف می‌کند و در حال حاضر کل

نیاز کشور توسط تولید داخلی تأمین می‌شود. این کارشناس تحقیق و توسعه درباره ماهیت دارو، افزود: این دارو یک فرمولاسیون خوراکی است و بیمار باید مقدار مشخصی از آن را بر اساس دوز تعیین شده مصرف کند.

قاسمی با اشاره به مزیت‌های محصول داخلی نسبت به نمونه خارجی، گفت: مهمترین مزیت، دسترسی کامل بیماران ایرانی به دارو است. با توجه به اینکه قیمت هر شربت خارجی بیش از یک میلیارد تومان می‌شود، امکان خرید آن برای تقریباً هیچ بیماری وجود ندارد. اما نمونه داخلی فقط حدود دو درصد این رقم هزینه دارد و بیمه نیز بخش قابل توجهی از آن را پوشش می‌دهد.

وی ادامه داد: از نظر اثربخشی نیز، داروی داخلی مطابق استانداردهای سازمان غذا و دارو ارزیابی شده و بر اساس آنالیزهایی که ما انجام دادیم، عملکرد آن کاملاً مشابه نمونه استاندارد است و تمام مجوزهای لازم را دریافت کرده است.

قاسمی با اشاره به ظرفیت صادراتی این دارو، اظهار کرد: کشوری مانند ترکیه تنها در سال گذشته ۱۵۰ میلیون یورو از این دارو را از شرکت ما خریداری کرده است. اگر ما بتوانیم وارد بازار صادراتی شویم، قطعاً امکان ارزآوری و صرفه‌جویی ارزی زیادی خواهیم داشت.

برآورد می‌شود که تولید این دارو سالانه حدود ۵۵ میلیون دلار صرفه‌جویی ارزی برای کشور به همراه داشته باشد. کارشناس این شرکت دانش بنیان درباره مکانیزم اثر این دارو، توضیح داد: بیماران مبتلا به اس ام ای دچار کمبود یا فقدان ترشح نوعی پروتئین حیاتی در بدن هستند که وظیفه حفظ عملکرد طبیعی عصب و عضله را دارد. داروی تولیدشده در شرکت ما با تحریک بدن به ترشح این پروتئین، از روند تحلیل عضلانی جلوگیری می‌کند و موجب بهبود عملکرد حرکتی بیماران می‌شود.