



09.09.2019 Исх № 60

Генеральному директору  
ООО «Джонсон & Джонсон»  
Погодиной Екатерине Борисовне

Уважаемая Екатерина Борисовна,

От лица всего российского пациентского сообщества СМА в России, фонд «Семьи СМА» выражает компании признательность за усилия, которые вы прилагаете для обеспечения доступа пациентов к инновационным лекарственным терапиям для лечения тяжелых заболеваний.

Фонд «Семьи СМА» представляет в настоящий момент интересы 822 пациентов со СМА, зарегистрированных в нашем пациентском регистре – у каждого из них ввиду тяжелых проявлений болезни есть неотложная нужда в максимально быстром доступе к лекарственной терапии заболевания. Мы с большим интересом и надеждой следим за развитием ситуации с препаратом Нусинерсен для патогенетического лечения спинальной мышечной атрофии. Несколько десятков больных со СМА в России уже получили возможность начать терапию благодаря гуманитарной программе раннего доступа компании Биоген, а все сообщество пациентов со СМА в России с нетерпением ждет момента, когда эта терапия сможет стать доступной для всех пациентов в стране.

16 августа стало известно о государственной регистрации и внесении препарата Нусинерсен для лечения спинальной мышечной атрофии (СМА) в государственный реестр лекарственных средств. Регистрация первого препарата для лечения СМА – это очень важный шаг для доступа больных к патогенетическому лечению. Несмотря на недавнюю регистрацию, однако, пока мы отмечаем сложности с назначением препарата и возникающие незакрытые вопросы в связи с дальнейшим обеспечением и реальным доступом к лечению у наших больных. В связи с прогрессирующим характером течения заболевания – время для нас – имеет значение и у каждого из наших детей и взрослых со СМА ввиду тяжелых проявлений болезни есть неотложная нужда в максимально быстром доступе к лекарственной терапии заболевания.

Мы выражаем глубокую надежду на то, что в скором времени лечение для пациентов со СМА будет широкодоступно и принесет пользу российским семьям. За эти несколько недель, фонд получил огромное количество вопросов от пациентов и медицинских специалистов относительно препарата. Нам крайне важно, чтобы пациентское сообщество имело надежную и верную информацию из надежного источника и обращаемся к вам с просьбой предоставить нам ответы на самые распространенные вопросы, связанные с препаратом.



Мы собрали самые распространенные вопросы относительно механизма действия и вопросов, связанных с обеспечением введения препарата и просим вас предоставить информационное письмо, с ответом на следующие вопросы:

- Общая информация о препарате Нусинерсен, пути его разработки, данных эффективности, имеющихся на настоящий момент. О состоянии и статусе препарата в России на сегодняшний момент
- О роли компании, функциях и ограничениях. Kontakтах, куда врачи наших пациентов смогут обращаться в случае необходимости получить разъяснения относительно лекарственного препарата Нусинерсен, а также kontakтах дистрибьютеров (если возможно), к которым могут обращаться лечебные учреждения по вопросам логистики.
- Общая информация о препарате Нусинерсен, показания и противопоказания к применению. Кому показано применение препарата? Может ли препарат назначаться врачом любому больному с установленным диагнозом СМА или есть ограничения по возрасту и типу заболевания? Достаточно ли для назначения препарат клинически установленного диагноза СМА или необходима генетическая верификация диагноза?
- Может ли препарат Нусинерсен применяться только у детей со СМА или также у взрослых? Может ли препарат применяться у детей, нуждающихся в длительной вентиляции легких или деформацией позвоночника (в том числе, с установленной металлоконструкцией)?
- Необходимо ли провести какие-либо особые дополнительные обследования перед применением препарата?
- В связи с механизмом воздействия препарата – зависит ли эффективность препарата от количества копий SMN2 у больного (согласно данных исследований)? Необходимо ли знать точное количество копий SMN2 для применения Нусинерсен?
- Каким образом препарат может помочь больному СМА? Эффективность препарата в клинических исследованиях и клинической практике? Какие ограничения согласно механизму действия препарата? Можно ли ждать влияния терапии только на двигательную функцию или он влияет также на состояние дыхательной системы?
- Частота и режим применения препарата. С учетом необходимости длительного пожизненного применения препарата с определенной частотой – можно ли прерывать лечение на время и есть ли данные о последствиях таких перерывов в лечении и каким образом прерванная терапия может сказаться на состоянии пациента?



- Препарат вводится интратекально. В каких ситуациях препарат технически не сможет быть введен пациенту? Могут ли рассматриваться иные способы введения препарата, если область для стандартного введения недоступна ввиду тяжелого сколиоза или установленной металлоконструкции?
- Существуют ли инструкции\публикации для оперирующих хирургов по установке металлоконструкций с оставлением «окна» в области, необходимой для введения препарата?
- Какие строгие противопоказания к применению препарата? Относительные противопоказания? В каких состояниях введение препарата лучше отложить?
- Безопасны ли многократные интратекальные введения препарата?
- Обязательна ли анестезия при проведении терапии препаратом Нусинерсен? Какие виды анестезии достаточны и рекомендованы при проведении терапии? Можно ли проводить терапию без анестезиологического пособия?
- Какие побочные эффекты могут быть на фоне терапии препаратом Нусинерсен и каким образом можно с ними бороться (предупредить или скорректировать при возникновении)?
- Есть ли данные по совместимости с другими препаратами, в том числе поддерживающей терапии, ранее применявшихся для коррекции симптомов СМА (например, вальпроевая кислота, сальбутамол, L-карнитин и пр.)? Могут ли эти препараты продолжать применяться на фоне лечения Нусинерсен?
- Может ли быть лечение Нусинерсен остановлено и возможен ли после начала терапии препаратом переход на лечение другими препаратами для патогенетической терапии СМА? И если да, то через какое время (режим выведения препарата из организма)?
- В каких клиниках в России может быть проведена терапия? Есть ли критерии, которым должны соответствовать клиники, которые будут лечить пациентов? Будут ли учреждения, работающие с препаратом как-то специально лицензироваться или проводиться обучение работе с препаратом?
- Какие специалисты по профилю смогут осуществлять введение препарата? Должны ли они проходить дополнительное обучение?
- Каким образом будет осуществляться контроль качества препарата и защита от подделок? Можно ли как-то проверить оригинальность препарата и безопасность введения перед процедурой ввода?

Благотворительный фонд помощи больным спинальной мышечной атрофией  
и другими нервно-мышечными заболеваниями «Семья СМА»



Россия, Москва, ул. Борисовские пруды, 48-2-211, 115408  
ОГРН 1157700018816 ИНН 7724342940 КПП 773401001  
тел: + 7 495 544-49-89, e-mail: info@f-sma.ru

- Каким образом пациент может приобрести препарат для применения? Есть ли коммерческая стоимость и логистика для покупки препарата семьями пациентов?
- Будет ли препарат поставляться во все регионы России (включая Республику Крым) и доступен к применению на всей территории России логистически?

Благодарим вас за возможности, которые представляются нашим больным со спинальной мышечной атрофией с появлением в России первого лекарственного препарата для лечения СМА и надеемся на скорейший доступ к терапии.

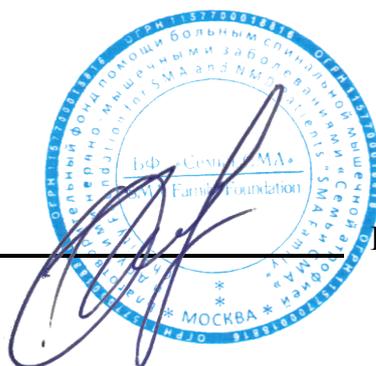
Для того, чтобы пациенты могли лучше понимать перспективы, преимущества и ограничения терапии- нам крайне важно обладать информацией, которая поможет каждому из нас, во взаимодействии с нашими лечащими врачами принять правильные решения о начале и сроках начала терапии и дальнейшей тактике лечения.

От имени нашего пациентского сообщества мы выражаем надежду на плодотворное сотрудничество на благо пациентов и выражаем готовность обеспечить необходимую поддержку с нашей стороны.

Мы искренне надеемся на лучшее будущее для всех семей со СМА, живущих в России и во всем мире и верим в то, что сотрудничество между индустрией и пациентскими сообществами сможет служить еще одним шагом в этом направлении!  
С наилучшими пожеланиями,

С уважением,

Директор БФ «Семья СМА»



Германенко О.Ю.