



Исх. 108 от 2018.12.06

Министру здравоохранения РФ
Скворцовой В.И.

Директору департамента гос. регулирования
обращения лекарственных средств
Романову Ф.А.

Обращение

От лица всего российского пациентского сообщества больных спинальной мышечной атрофией (СМА) в России, фонд «Семьи СМА» выражает признательность за усилия, которые Министерство Здравоохранения РФ прилагает для развития помощи пациентам с орфанными заболеваниями и обеспечения доступа пациентов к инновационным лекарственным терапиям для лечения орфанных заболеваний в максимально короткие сроки.

Как нам стало известно, в настоящее время в Министерство Здравоохранения в настоящий момент поступило досье на рассмотрение и решение вопроса о регистрации препарата Нусинерсен (торговое наименование Спинраза) - первого в мире и пока единственного препарата, специально разработанного для лечения этого заболевания.

Фонд «Семьи СМА» представляет в настоящий момент интересы 656 пациентов со СМА, зарегистрированных в нашем пациентском регистре и среди них 136 пациентов со СМА 1 типа – самой тяжелой и жизнеугрожающей формой болезни, средняя продолжительность жизни которых без лечения едва достигает 2 лет. У каждого из 656 пациентов, которых объединяет наша организация ввиду тяжелых проявлений болезни есть неотложная нужда в максимально быстром доступе к лекарственной терапии заболевания.

В течение последних двух лет мы получаем огромное количество запросов от семей о возможностях получить доступ к лечению и о процессе и сроках регистрации препарата Спинраза (Нусинерсен) в России, а также о возможности программ «расширенного доступа» (compassionate use, expanded access program) или других способах раннего обеспечения терапии для пациентов со СМА. Сегодня, с подачей документов на регистрацию препарата в РФ семьи как никогда близки к долгожданному лечению и с большими надеждами ожидают появления возможности получения терапии.

Наблюдая за результатами совещаний по орфанным заболеваниям, проводимых за последний год на разных уровнях государственной власти, инициативами Министерства Здравоохранения РФ и текущими изменениями в области обеспечения редких (орфанных) пациентов необходимой терапией, мы от лица пациентского сообщества хотим отметить положительную тенденцию в решении лекарственного обеспечения людей с орфанными заболеваниями и поблагодарить Вас за высокий интерес к данному вопросу.

Спинальная мышечная атрофия – одно из самых распространенных редких заболеваний: прогрессирующее мучительное генетическое заболевание, приводящее к тяжелой инвалидностью

и ранее считавшееся неизлечимым. Спинальная мышечная атрофия - одна из наиболее частых причин детской смертности, вызванной наследственными заболеваниями. Оно приводит к атрофии мышц и постепенной потере двигательных и дыхательных функций, лишая детей и взрослых возможности стоять, сидеть, двигаться, глотать и дышать. При этом больные остаются полностью интеллектуально-сохранными.

В 2016 году в мире появился первый препарат, способный изменить течение заболевания, остановить его прогрессирование и в ряде случаев даже улучшить моторные навыки. Для всех нас - это большая надежда на полноценную жизнь наших детей и взрослых со СМА. В настоящее время в США, Европе и ряде других стран мира успешно проводится патогенетическое лечение препаратом Спинраза (Нусинерсен). Эта прорывная терапия уже показывает преимущества как для самих пациентов, так и для систем здравоохранения в странах, где она применяется за снижения инвалидизации и включения семей больных со СМА в полноценную жизнь общества. В то же время, пока данная терапия недоступна для пациентов со СМА в нашей стране и не зарегистрирована для применения на территории России. Мы выражаем глубокую надежду на то, что в скором времени ситуация изменится и лечение для пациентов со СМА будет доступно и принесет пользу российским семьям.

От лица всех семей, столкнувшихся с данным заболеванием, мы просим вас об ускоренном рассмотрении документов на регистрацию лекарственного препарата Спинраза в Российской Федерации. Многие пациенты со спинальной мышечной атрофией не доживают и до двух лет – у нас просто нет времени ждать. Также по исследовательским данным отмечается, что чем раньше начинается лечение, тем выше его эффективность и тем выше шанс на то, что болезнь отступит.

Мы искренне надеемся, что совместными усилиями – производителя, органами Государственной власти и здравоохранения и пациентских организаций – будут приняты положительные и быстрые решения, которые дадут нашим детям шанс на жизнь. Такая великая страна, как Россия, не может не протянуть руку помощи детям и смотреть, как заболевание отнимает у них жизнь.

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 верим в то, что наше сотрудничество сможет служить еще одним шагом в этом направлении!

С наилучшими пожеланиями,

Ольга Германенко

Директор
БФ «Семьи СМА»