



Информационный лист о реализации Благотворительной программы «Развитие системы помощи больным СМА» Январь 2019

Программа направлена на всестороннее развитие системы помощи больным спинальной мышечной атрофией и другими нервно-мышечными заболеваниями, и их семьям на территории РФ и за ее пределами, повышение ее качества, внедрение современных подходов и методик, стандартов оказания помощи, развитие информированности о заболевании, квалификации, знаний и навыков специалистов, занятых в оказании помощи больным СМА

Подпрограмма «Стратегические инициативы»

Доступ к лечению

В начале декабря 2018 года связи с подачей документов на регистрацию первого в мире препарата для лечения спинальной мышечной атрофии (СМА) - Нусинерсен (Спинраза) в России, Фонд «Семьи СМА» обратился в уполномоченные органы власти с просьбой о содействии ускоренному рассмотрению документов на регистрацию препарата в России и помощи решения вопросов включения нозологии обеспечения данным препаратом в существующие программы лекарственного обеспечения орфанных пациентов и оказать содействие в скорейшем решении этого вопроса.

На сегодняшний день, фонд получил ответ из Министерства Здравоохранения РФ о том, что регистрационное досье на Нусинерсен направлено на экспертизу для определения возможности рассматривать этот препарат в качестве орфанного. При вынесении комиссии экспертов положительного заключения будет принято решение о выдаче задания на экспертизу качества препарата и отношения пользы к риску по ускоренной процедуре.

Также по нашей просьбе в Министерство здравоохранения отправлен депутатский запрос и запрос от Аппарата Уполномоченного по правам ребенка в РФ относительно регистрации Спинразы и дальнейшей возможности включить препарат в программу обеспечения орфанных пациентов.

Мы стараемся привлечь внимание к решению вопроса о скорейшей регистрации и доступности препарата в России уполномоченных лиц на всех уровнях власти и пристально следим за всеми этапами процедуры прохождения досье, ждем ответов из других инстанций и их содействия.

Помимо этих действий, фонд продолжает оставаться во взаимодействии с компанией-производителем лекарственного средства – корпорацией Biogen и представителем компании по данному препарату в России компанией Jannsen. Среди обсуждаемых вопросов также – возможность запуска дополнительной гуманитарной программы доступа к терапии для пациентов со СМА в России. Также фонд продолжает консультировать семьи со СМА по многочисленным обращениям по вопросам, связанным с доступом к терапии.

Клинические исследования:

В 2019 году России будет запущено первое исследование на пресимптоматических младенцах со СМА по протоколу Рейнбоуфиш исследуемым препаратом Рисдиплам. К участию в исследовании будут допущены младенцы возрастом до 6 недель до момента появления первых симптомов заболевания. Фонд находится во взаимодействии с компанией-спонсором исследования и клиническим центром, на базе которого будет запущена программа и будет информировать об этой возможности после запуска исследования в России.

Параллельно фонд остается на связи с исследовательскими центрами, проводящими клинические исследования другого экспериментального препарата для лечения СМА – Бранаплам. В данных исследованиях могут принять участие младенцы со СМА 1 типа возрастом до 6 месяцев при условии соответствия дополнительным критериям, установленным протоколом.

Фонд информирует семьи о наличии возможностей участия в программах клинических исследований в области СМА и оказывает содействие по вопросу быстрого контакта с исследовательскими центрами, в случае заинтересованности семей и консультирует по общим вопросам относительно клинических исследований.

Международное сотрудничество в области СМА:

Фонд является членом международной зонтичной Ассоциации СМА Европа, объединяющей пациентские организации европейских стран, включая Россию. Во взаимодействии с другими странами-участницами Ассоциации фонд активно участвует в деятельности, направленной на улучшение качества помощи и доступа к лечению пациентов со СМА, а также переговорах с ключевыми стейкхолдерами.

В частности, планируется участие представителя фонда в специализированном воркшопе ENMC (референсная сеть медицинских специалистов в области нервно-мышечных заболеваний), посвященном неонатальному скринингу на СМА в мае 2019г.

Также в рамках международного сотрудничества фонд принял участие в работе над адаптированной для семей версии обновленных международных рекомендаций по ведению и терапии спинальной мышечной атрофии, которая в настоящий момент готовится международной группой экспертов.

Респираторная поддержка:

Фонд провел специализированный опрос пациентов со СМА в России с целью выявления потребности и нуждаемости в респираторном оборудовании. Мы надеемся, что это поможет дополнительно привлечь внимание к проблеме обеспечения респираторным оборудованием, а конкретные факты и конкретные данные нуждающихся в оборудовании семей помогут не в теории, а на практике сдвинуть и помочь в обеспечении необходимым оборудованием семей от государства.

По результатам опроса выявлены 136 больных спинальной мышечной атрофией, нуждающиеся на настоящий момент в оборудовании и расходных материалах. Собранные данные направлены в Министерство Здравоохранения РФ.

Паллиативная помощь:

Фонд принял участие в общественном обсуждении законопроекта, касающегося уточнения нормативной правовой базы оказания паллиативной помощи в Общественной палате РФ, подготовив и представив свои комментарии к законопроекту «О внесении изменений в Федеральный закон “Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации” по вопросам оказания паллиативной медицинской помощи».

Консультации сторонних организаций

Являясь специализированным на проблемах СМА, фонд получает запросы от других организаций (учреждений здравоохранения, медицинских специалистов и НКО) на оказание консультативной помощи по вопросам, связанным с заболеванием. В январе фонд оказал 1 такую консультацию.

Подпрограмма «Обучение и развитие»

Школа СМА

Школа СМА - цикл выездных обучающих мероприятий. Цель школы - повышение осведомленности о СМА, привлечение внимания к СМА медиков и иных специалистов помогающих профессий, обеспечение больных и их близких необходимой информацией о заболевании и правилах ухода за больным.

Открыта регистрация на первую в 2019 году «Школу СМА», которая пройдет 15 – 16 марта в Краснодаре.

В первый день Школы планируется семинар «Актуальные вопросы помощи больным СМА». На нем можно будет узнать о респираторной поддержке, физической терапии, пообщаться с неврологом, поговорить о лекарственных препаратах. На второй день запланированы индивидуальные или групповые консультации семей со СМА.

Принять участие в семинаре могут семьи и специалисты из любого региона России. Участие слушателей бесплатное. Для участия в семинаре и записи на консультации необходимо пройти обязательную электронную регистрацию по [ссылке](#)

Посмотреть подробное описание мероприятия и скачать предварительную программу Школы можно на нашем [сайте](#)

Конференция СМА

Мы начали подготовку к IV «Конференции СМА». В этом году она будет проходить 13 – 14 сентября в Москве. Первым приглашенным зарубежным спикером стал Лоран Сервэ (Laurent Servais, Париж, Франция) - доктор медицинских наук, детский невролог и глава Отдела клинических испытаний и баз данных в Институте миологии при парижском госпитале La Pitié Salpêtrière, координатор Института I-Motion-- центра исследований в области нейро-мышечных заболеваний в педиатрии (на базе парижского госпиталя Trousseau), координатор нервно-мышечного центра в Льеже (Бельгия).

Информационно-издательская деятельность

На сайте фонда опубликована брошюра «Дыхание. Респираторная поддержка для детей со спинальной мышечной атрофией». Брошюра продолжает серию переводных информационных изданий о разных аспектах помощи больным СМА из серии «SMA Care Series», подготовленных американской ассоциацией «Cure SMA» и переведенных и адаптированных для России фондом «Семьи СМА» и медицинскими экспертами фонда.

В этой брошюре описаны главные проблемы с дыханием у детей со СМА и представлена информация об основных способах респираторной поддержки, об оборудовании, необходимом для того чтобы справляться с такими проблемами на разных этапах заболевания. В ней содержатся советы родителям о том, как можно избежать осложнений при правильном уходе, и на что важно обращать внимание, чтобы помощь была оказана вовремя.

Брошюра будет полезна больным СМА и их близким, медицинским специалистам, а также широкому кругу читателей, интересующихся темой спинальной мышечной атрофии.

Скачать брошюру можно по [ссылке](#)

Ознакомится с более подробным описанием брошюры можно на сайте <http://f-sma.ru/428.html>

Печать брошюры запланирован на февраль 2019 года. Получить брошюру можно на мероприятиях фонда или в самом фонде, предварительно связавшись с нами по адресу: info@f-sma.ru

Подпрограмма «Помощь семьям»

Родительский клуб

В январе мы провели первую встречу "Родительского клуба для мам" - встреча для родителей детей со СМА. Формат клуба – это поддерживающее, уютное пространство, в котором возможно в безопасной и дружественной атмосфере обсудить значимые родительские темы, узнать новую информацию, поделиться личным опытом, услышать занимательные истории, посмотреть на свои проблемы со стороны. В клубе все равны и каждый важен. Здесь признается ценность любого опыта. Здесь можно, наконец, поговорить о том, что реально волнует. А можно уделить время лично себе.

В первой встрече Клуба приняли участие двое сотрудников Фонда и пятеро родителей.

Уже вовсю планируем следующие клубы, потому что теперь такие встречи мы планируем проводить ежемесячно. Пока в Москве, а там, может, и регионы подключаться)

Реестр СМА

Реестр больных спинальной мышечной атрофией содержит информацию о больных СМА на территории Российской Федерации. Реестр ведется в целях содействия в проведении научных и клинических исследований, содействия государственных инициативам в области лечения больных СМА, улучшения системы качества предоставляемых услуг и системы помощи больным СМА в России, совершенствования диагностики и повышения качества оказания медицинской помощи.

За январь мы получили 21 анкету от семей, недавно получивших диагноз СМА, а также от тех, кто недавно узнал о деятельности Фонда. На конец января реестре - 688 больных спинальной мышечной атрофией со всей России.

Информационная рассылка для семей

Начиная с января каждая из семей, зарегистрированных в реестре пациентов со СМА в России будет регулярно, два раза в месяц получать информационную рассылку.

В рассылках мы будем знакомить с самыми последними мировыми и российскими новостями в области СМА, с важными и полезными материалами о том, как справляться с болезнью и нашими находками, которые могут пригодиться каждой семье, где есть ребенок или взрослый со СМА.

Мы очень рады, что теперь у нас есть возможность регулярно информировать семьи о самом важном. А у наших семей появился дополнительный надежный источник проверенной информации.

В январе фонд подготовил 2 информационные рассылки.

Проект «Адаптация»

Большинство семей живут довольно далеко от Москвы и часто не имеют возможность получить не только грамотную медицинскую помощь, но и информацию о заболевании. Мы стремимся к тому, чтобы помощь была доступна всем, поэтому с удовольствием консультируем семьи по телефону, отвечая, как на общие вопросы по СМА, так и на довольно редкие, специфические только для данной конкретной семьи вопросы.

В январе фонд провел 88 консультаций семей по различным тематикам. Помощь была оказана как лично, так и удаленно (телефон, e-mail). Ниже приведены самые актуальные вопросы за январь:

28 вопросов о реестре СМА

18 вопросов о клинических исследованиях и лекарстве

16 запросов на получение расходных материалов от фонда

9 обращений новодиагностированных семей

9 запросов на медицинские консультации

8 вопросов о необходимом при СМА медицинское оборудование, расходные материалы и особенности использования

СМИ О ФОНДЕ

В январе опубликовано 4 материала в СМИ на тему СМА, с комментариями сотрудников или волонтеров фонда или упоминанием фонда

Вопросы обеспечения незарегистрированными лекарственными средствами нуждающихся пациентов - острая тема. **Директор фонда Ольга Германенко для Медузы о том, с какими сложностями сталкиваются пациенты со СМА пытаюсь получить доступ к лечению** - <https://meduza.io/feature/2019/02/01/deneg-net-ne-nado-syuda-hodit>

Фонд впервые вошел в Навигатор благотворительных организаций Русфонда и упоминается на странице с описанием Навигатора

«Выросло количество специализированных фондов – таких, которые работают только с одной узкой проблемой или помогают людям с конкретным диагнозом.

Среди них фонд помощи детям и взрослым с пороками развития черепно-челюстно-лицевой области «Ваша надежда», фонд «Семьи СМА», специализирующийся на помощи тем, кто столкнулся с диагнозом «спинальная мышечная атрофия», общественная организация «Хантер-синдром» и другие. Подобные организации работают не только в сфере здравоохранения – например, фонд «Жизнь продолжается» поддерживает семьи, потерявшие кормильца, в течение года после трагедии. Концентрируясь на одном диагнозе или проблеме, эти НКО помогают комплексно: собирают деньги на лечение, оказывают психологическую и юридическую поддержку и помогают в социальной адаптации.»

Ссылки на материалы: <https://www.asi.org.ru/news/2018/12/24/rusfond-vypustil-obnovlennyj-spravochnik-fandrajzingsovyh-blagotvoritelnyh-fondov/>

и https://www.rusfond.ru/navigator_stat/8