



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

Программа направлена на всестороннее развитие системы помощи больным спинальной мышечной атрофией и другими нервно-мышечными заболеваниями, и их семьям на территории РФ, 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 и помощь и поддержку семей с детьми и взрослыми со спинальной мышечной атрофией и другими нервно-мышечными заболеваниями.

Подпрограмма «Стратегические инициативы»

ДОСТУП К ЛЕЧЕНИЮ

СПИНРАЗА

Фонд продолжает работать по вопросам обеспечения доступа пациентов со СМА в России к первому и пока единственному в мире лекарственному препарату для лечения СМА – Спинраза (Нузинерсен). В конце декабря 2018 года документы на регистрацию были поданы в Минздрав России, а в феврале препарату был присвоен статус орфанного – т.е. решение о регистрации препарата будет приниматься по ускоренной процедуры и без требования проведения клинических исследований на территории РФ.

Согласно ст.26 ФЗ №61 «Об обращении лекарственных средств»: «Ускоренная процедура экспертизы лекарственных средств проводится по решению соответствующего уполномоченного федерального органа исполнительной власти на основании заявления заявителя в срок, не превышающий восьмидесяти рабочих дней. При этом экспертиза документов, содержащихся в регистрационном досье на лекарственный препарат, проводится в срок, не превышающий десяти рабочих дней, экспертиза качества лекарственного средства и экспертиза отношения ожидаемой пользы к возможному риску применения лекарственного препарата проводятся в срок, не превышающий шестидесяти рабочих дней»

Мы с нетерпением ждем прохождения всех этапов государственной регистрации лекарственного средства, которое для больных СМА не просто лечение, а надежда на жизнь и лучшее будущее. Мы рассчитываем, что российские регуляторные органы понимают и разделяют ту неотложную необходимость в терапии заболевания, о которой мы говорим, и кроме присвоения лекарственному препарату статуса орфанного, смогут в кратчайшие сроки и без задержек пройти все этапы проверок, необходимые для регистрации первого лекарства для СМА.

Мы с нетерпением и надеждой будем ждать результатов этого рассмотрения, но также мы понимаем и считаем важным уже сейчас поднимать вопросы дальнейшей возможности включить препарат в программы обеспечения орфанных пациентов и решения вопросов финансирования лечения наших больных. 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.

Фонд продолжает оставаться во взаимодействии с компанией-производителем лекарственного средства – корпорацией Biogen и представителем по данному препарату на территории России компанией Jannsen. Среди обсуждаемых вопросов также – возможность запуска дополнительной гуманитарной программы доступа к терапии для пациентов со СМА в России. В частности, в марте представители фонда встречались с глобальным медицинским директором компании Biogen, в ходе которой представили информацию о ситуации в России и отсутствия доступа к лечению пациентом, сложностях в назначении препарата незарегистрированного на территории страны, а также подчеркнули критическую важность и необходимость открытия гуманитарной программы раннего доступа для пациентов со СМА в России. Мы получили подтверждение намерений запуска такой программы и надеемся, что программа в России откроется в ближайшие месяцы.

Вопросы доступа к лечению – это один из самых острых вопросов, который сейчас волнует почти каждую нашу семью. Сотрудники фонда продолжают ежедневно консультировать семьи со СМА по обращениям относительно вопросам, связанным с доступом к терапии и возможностям получить лечение.

25 марта представители фонда приняли участие в пресс-конференции в ИД «Известия» по вопросам обеспечения лечением орфанными препаратами. Мы поднимали вопросы необходимости обеспечения раннего доступа к инновационным лекарственным препаратам для нозологий, не входящих в существующие перечни. Мы убеждены, что наличие или отсутствие заболевания в перечнях – не должно становиться препятствием для получения жизненно необходимого обеспечения больных лекарствами и необходимы прозрачные критерии и правила, по которым такие перечни расширяются.

КЛИНИЧЕСКИЕ ИССЛЕДОВАНИЯ:

В ближайшее время в 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 сразу после запуска исследования в России.

Параллельно фонд на связи с исследовательскими центрами, проводящими клинические исследования другого экспериментального препарата для лечения СМА – Бранаплам. В конце марта набор младенцев со СМА 1 типа для участия в исследовании был завершен по причине полного набора необходимого количества участников, предусмотренного протоколом исследования. В России в исследовании принимают участие 5 исследовательских центров. Фонд остается на связи с компанией, проводящей исследование данного препарата для уточнения возможностей запуска аналогичных программ для детей с другими типами СМА в будущем.

Фонд также взаимодействует с компаниями Рош и Авексис, компаниями также ведущими разработки препаратов для лечения СМА на завершающих фазах клинических исследований. В ходе переговоров мы стремимся обозначить пациентскую позицию в потребности в скорейшей

возможной регистрации препаратов на территории РФ после окончания клинических исследований, а также возможностей раннего доступа пациентов к лекарственной терапии после регистрации продуктов другими мировыми регуляторами.

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 рамках международной инициативы фонд принимал участие в крупном медицинском международном конгрессе Myology 2019, проходившем в Бордо, Франция. В ходе конгресса мы провели несколько встреч с медицинскими специалистами из Европы и представителями компаний, разрабатывающих лечение для СМА, а также международными организациями, работающими в области нервно-мышечных заболеваний.

Благодаря поддержке фонда 1 медицинский специалист смог поехать на конгресс. Помимо этого, независимо в Конгрессе принимали участие более 10 специалистов из России.

Представители фонда были приглашены для участия в работе Международной конференции по обмену опытом среди пациентских организаций - IEPO 2019. Это событие ежегодно собирает более 200 представителей пациентских организаций со всего мира. Возможность обмена опытом с успешными организациями, работающими в разных областях и с разными заболеваниями дает бесценную возможность для оценки и корректировки собственных усилий, направленных на продвижение помощи больным СМА в России.

Также в ходе конгресса Фонд принял участие в работе Круглого стола, посвященного диагностическим маршрутам пациентов со СМА. К участию были приглашены представители организаций СМА из Германии, Испании, США, Малайзии, Китая и России. При обсуждении и работе в группах мы фокусировались на выявлении самых острых проблем, с которыми сталкиваются пациенты со СМА на разных стадиях болезни и придумывали, каким образом эти проблемы возможно было бы решить или скорректировать. Мы надеемся, что итог этой работы мы сможем также претворить в жизнь в текущей деятельности фонда в будущем.

В октябре 2019 года в Копенгагене состоится ежегодная крупнейшая научная конференция по нервно-мышечным заболеваниям – World Muscle Society. На этом Конгрессе, как правило, впервые докладываются и публикуются все последние научные и медицинские достижения в области нервно-мышечных заболеваний. В прошлые годы на WMS уже представлялись данные нашего пациентского регистра в рамках постерной презентации, подготовленной медицинскими специалистами из России. В этом году мы также подготовили и передали деперсонализированные данные регистра для подготовки постера Д.В.Влодавцу, главе российского нервно-мышечного центра, базирующегося в НИКИ Педиатрии. Представление данных о численности и составе пациентов со СМА в России на таких крупных мероприятиях вызывает большой интерес у

международного сообщества и становится еще одним штрихом «нанесения России» на международную карту СМА.

Респираторная поддержка:

В начале года фонд провел специализированный опрос пациентов со СМА с целью выявления потребности и нуждаемости в респираторном оборудовании. По результатам опроса откликнулись 136 больных спинальной мышечной атрофией, нуждающиеся в оборудовании и расходных материалах. Собранные данные направлены в Минздрав РФ, и в феврале мы получили ответ с заверением решить этот вопрос и обеспечить пациентов необходимым оборудованием. Соответствующие рекомендации были разосланы в регионы России.

К настоящему времени мы получили ответы от 20 органов государственной власти субъектов РФ в сфере охраны здоровья. В частности, ряд регионов пообещал обеспечить больных необходимым оборудованием уже в текущем году.

Однако, существует еще целый ряд проблем, которые предстоит решить на пути обеспечения больных. Прежде всего, это необходимость в ряде регионов признать больного нуждающимся в паллиативной помощи, чтобы обеспечить респираторным оборудованием, в то время, как респираторное оборудование нужно также больным, которые в паллиативной помощи не нуждаются. Другая проблема – отсутствие в ряде регионов механизма передачи оборудования медицинской организацией пациентам, в связи с чем возникают ситуации, когда оборудование закуплено, но больной им воспользоваться не может.

Мы продолжаем работать над вопросом обеспечения респираторным оборудованием и консультировать семьи пациентов о имеющихся возможностях получения необходимой аппаратуры по государственным программам.

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 марте фонд оказал 4 консультации.

Подпрограмма «Обучение и развитие»

Подпрограмма направлена на развитие системы помощи больным СМА и их семьям, повышение ее качества, внедрение современных стандартов, развитие информированности о заболевании, повышение знаний и навыков семей и специалистов, занятых в оказании помощи больным СМА.

Школа СМА, Краснодар

Из-за относительной редкости заболевания, в России практически нет квалифицированных специалистов по СМА, а также центров, специализирующихся на помощи данной группе пациентов. У больных СМА часто нет возможности получить квалифицированную медицинскую помощь в регионе своего проживания, а у их близких нет возможности обучиться навыкам ухода за больным. Все это приводит к тому, что помощь больным не оказывается, или оказывается не в полном объеме, а уход осуществляется ненадлежащим образом. В результате происходит ухудшение их физического состояния, развиваются вторичные осложнения, возрастает количество

экстренных попаданий в реанимацию и преждевременной смерти, снижается качество жизни больных СМА и их близких.

Основная цель Школы – сделать доступной помощь семьям со СМА в регионе своего проживания и повысить качество оказываемой им помощи.

Школа СМА позволяет непосредственно познакомиться с регионом и передать опыт фонда и ведущих российских экспертов, рассказать о современных методиках, лучших практиках работы с больными СМА, организации помощи региональным врачам и семьям со спинальной мышечной атрофией. Обмен опытом и распространение знаний в регионах критически важно для развития системы помощи больным СМА в России, повышения ее качества, внедрения современных стандартов и распространения информированности о заболевании.

Первая в 2019 году «Школа СМА» прошла 15 – 16 марта в Краснодаре. В ней приняло участие 140 человек, из них 80 врачей и представители 29 семей со СМА и другими диагнозами.

В течение 2 дней мы обсуждали самые "горячие" вопросы помощи пациентам со СМА, возможности организации междисциплинарного сопровождения, говорили о роли и функции неврологического сопровождения, диагностике заболевания, поддержке дыхания и решении проблем, связанных с питанием, много внимания уделили вопросам физической терапии и реабилитации и правильного подбора технических средств реабилитации. Помимо лекционного формата мы провели день практических консультаций детей и взрослых со СМА, открытых для врачей-специалистов и благодаря детальному разбору состояния каждого ребенка, получилось не только «в теории» обсудить важность своевременной помощи, но и выйти на практическое освоение всего комплекса помощи, необходимого детям и подросткам со СМА.

По результатам опроса участников - более 90% участников высоко оценили Школу и доступность представленных материалов и многие из участников-врачей отметили, что будут руководствоваться полученной информацией в клинической практике, а семьи - в ежедневном уходе за ребенком.

Также в ходе выезда нам удалось познакомиться с нервно-мышечной и паллиативной службой региона, а наш региональный координатор продолжает эту работу уже после завершения школы, чтобы Краснодарский край смог действительно стать одним из центров правильно организованной помощи, так необходимой каждому ребенку с диагнозом спинальная мышечная атрофия.

Отзывы участников:

«Практически, после внедрения в лечение СМА депакина (наверное, лет 10 назад), направленных на эту проблему конференций не проводилось. Интересны и систематизация знаний и представлений, и протоколы лечения, которые Светлана Брониславовна обсуждала. Понравилось выступление коллег из Екатеринбурга. Спасибо.»

«Мы глубоко благодарны Вам за проделанную работу. Как практическому амбулаторному врачу мне были наиболее интересны вопросы кормления детей с СМА и рекомендации по техническим средствам реабилитации.»

«Спасибо за работу. Информация была очень доступна, понятна и правильно сгруппирована. Много было известно, а то что оказалось новым было хорошо предоставлено. Да и известная информация в сочетании с другой по новой раскрылась.»

Информационно-издательская деятельность:

Сайт:

Мы постоянно отслеживаем новости о СМА и публикуем на сайте статьи о текущих клинических исследованиях и новостях науки и других самых значимых событиях. Для нас важно, чтобы русскоязычные читатели, прежде всего семьи и медицинские специалисты могли получить доступ к последней информации о происходящих событиях в области СМА.

В общей сложности в феврале опубликовано 2 материала:

- 1) SRK-015, экспериментальный препарат для терапии СМА, влияющий на мышечную функцию, показал положительные результаты в первой фазе клинических исследований <http://f-sma.ru/434.html>
- 2) Актуальная ситуация с лечением Спинарзой в разных странах мира (по данным компании Biogen на март 2019 г.) <http://f-sma.ru/435.html>

Подпрограмма «Помощь семьям»

Родительский клуб

В марте состоялась очередная встреча «Родительского клуба» - мы пригласили в наш офис родителей детей, больных СМА, просто чтобы отдохнуть и немного пообщаться, и очень благодарны всем, кто поддержал нашу затею, пришел поделиться своими мыслями, эмоциями, обменяться опытом и просто посмеяться. Тем для разговоров оказалось множество, одна сменяла другую, и, как нам кажется, все чувствовали себя непринуждённо и легко. В этот раз в участии Клуба приняло участие двое сотрудников Фонда, семеро родителей и одна старшая сестра больного СМА. Возможность ощутить поддержку равного, того, кто понимает почти без слов - это очень и очень важно.

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 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 март мы получили 23 анкеты от семей, недавно получивших диагноз СМА, а также от тех, кто недавно узнал о деятельности Фонда. На конец марта в реестре – 727 больных спинальной мышечной атрофией со всей России.

Информационная рассылка для семей

Мы продолжаем вести регулярную информационную рассылку по семьям со СМА, зарегистрированным в реестре фонда. Рассылка информирует семьи о последних новостях в области СМА, содержит ссылки на последние публикации и буклеты и издания, которые могут быть полезны семьями, сообщает о планах и мероприятиях фонда, ориентирует семьи в области практических знаний о СМА.

В марте фонд подготовил 2 информационные рассылки для наших подопечных.

Ключевые темы рассылок:

- Информация о том, как представители фонда "Семьи СМА" и пациентской организации проводили Международный день Редких заболеваний;
- Об участии в заседании в Экспертного Совета по редким заболеваниям в Государственной Думе РФ - существенным результатом стало включение вопроса обеспечения больных СМА лекарственной терапией в повестку работы Совета на 2019 год;
- В деловом завтраке, организованном Ассоциацией Генетика, на котором собрались представители организаций и ключевые фигуры в области редких заболеваний России;
- В Орфанном форуме, где на протяжении двух дней серьезно обсуждалась текущая ситуация с обеспечением качественной помощью и лечением людей с редкими заболеваниями.
- В круглом столе в Санкт-Петербурге с участием представителей городских властей, где мы еще раз поднимали вопросы необходимости организации помощи пациентам со СМА и пациентам на длительной вентиляции не только в плане обеспечения, но и социальной поддержки;
- Анонсы важных мероприятий фонда: Школ СМА, Конференции СМА 2019 и очередной встречи Родительского клуба;
- Информация для семей о наличии на складе фонда "Семьи СМА" оборудования для передачи в семьи;
- Информация о группах поддержки семей СМА в соцсетях и инструкция, как в них вступить;
- Новости клинических исследований;
- Полезные материалы о респираторной поддержке

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 и о том, как жить полноценно, несмотря на диагноз. 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 марте фонд провел 150 консультаций семей по различным тематикам. Помощь была оказана как лично, так и удаленно (телефон, e-mail). Ниже приведены самые актуальные вопросы за февраль:

33 запроса на отправку благотворительной помощи со склада

23 звонка для мониторинга состояния подопечных

23 вопросов о необходимом при СМА медицинском оборудовании, расходных материалах и особенностях использования

14 комплексных консультаций новодиагностированных

14 вопросов о клинических исследованиях и доступу к терапии

13 вопросов о реестре СМА

7 обращений больных с другими диагнозами и их маршрутизация

6 вопросов о проектах фонда

4 вопроса о Школе СМА

4 вопроса об ортопедии и ТСР

3 вопроса о санаторно-курортном лечении

3 общие медицинские вопросы

1 вопрос юридического характера

1 вопрос о планировании потомства

1 запрос на открытие адресного сбора

Проект «Адресная помощь»

Фонд оказывает помощь больным со спинальной мышечной атрофией и другими нервно-мышечными заболеваниями в приобретении необходимого жизненно важного оборудования, расходных материалах, гигиенических средств и специализированного питания в том случае, если их нельзя получить от государства, оборудование входит в список оборудования первой необходимости, рекомендовано врачом или есть показания к его применению. Помощь оказывается, как за счет приобретенного на пожертвования, так и за счет переданного в фонд PRO-вопо имущества.

В марте помощь была оказана 26 семьям на сумму 673 428 рублей (Из них 599 617 за счет переданного PRO Вопо имущества, 65 690 рублей за счет оплаты оборудования для подопечных напрямую благотворителями фонда, стоимость расходов на доставку в регионы проживания – 8 121 руб.)

Фондом найдены два благотворителя, оплатившие и доставившие материальную помощь напрямую в семьи на общую сумму 65690 руб. Для Екатерины А. приобретен подъемник для ванны (35000 руб.). Для Рабби А. куплен набор безопасности, включающий в себя мешок Амбу, аспиратор, пульсоксиметр и расходные материалы (общая стоимость 30690 руб.).

Помощь была направлена в семьи, проживающие в Алтайском крае, Амурской области, Архангельской области, республике Башкортостан, Белгородской области, Воронежской области, Краснодарском крае, Красноярском крае, Оренбургской области, Рязанской области, Тюменской области, Хабаровском крае.

Предоставление резервного оборудования

Существующая в фонде программа временного предоставления резервного оборудования позволяет обеспечивать семьи необходимым оборудованием на непродолжительный срок, который необходим для сбора денег и покупки или получения бесплатно необходимого для больного медицинского оборудования (аспиратор, откашливатель, НИВЛ). Программа помогает поддержать семью в кризисной ситуации и оказать поддержку на то время, пока семья не найдет выход из сложившейся ситуации.

В марте благодаря этой программе два ребенка из Нижегородской области смогли воспользоваться откашливателем, а один ребенок из Краснодарского края – НИВЛ.

Также в рамках этой программы фонд предоставляет возможность проведения диагностики дыхательной системы посредством проведения ночной пульсоксиметрии. Аппарат для ночной пульсоксиметрии относится к разряду оборудования, которое нет необходимости иметь в личном пользовании каждой семье, т.к. он не используется непостоянно и предназначен для диагностической процедуры, проходить которую бывает достаточно 1-2 раза в год.

В течение марта аппарат для ночной пульсоксиметрии был использован для диагностики состояния дыхания у 8 подопечных фонда: 7 человек в Краснодарском крае в период подготовки и проведения Школы СМА, а также одного ребенка в Москве.

СМИ О ФОНДЕ:

В марте опубликовано 2 материала в СМИ на тему СМА, с комментариями сотрудников или волонтеров фонда, или упоминанием фонда:

Спинальная мышечная атрофия — генетическое заболевание, при котором мышцы не развиваются, и человек оказывается прикован к инвалидному креслу. В последние годы у пациентов с СМА появилась надежда. В 2016 году в США выпустили первый препарат для лечения этого заболевания. Что это за препарат и когда он появится в России?

Такая тема сюжета, который вышел на первом канале в передаче «Жить здорово». В съемках приняли участие дети и взрослые со СМА, а также их семьи.

<https://www.1tv.ru/shows/zhit-zdorovo/syuzhety/10-let-spustya-nevrologiya-zhit-zdorovo-fragment-vypuska-ot-25-03-2019>

"Жизнь в большом городе": дефицит лекарств, такой сюжет вышел на канале **Москва 24**. Часть передачи была посвящена теме регистрации первого препарата от СМА Спинрзы и доступу к препарату по жизненным показателям. В съемке приняли участие Глава попечительского совета фонда «Семьи СМА» Илья Максимов и член совета семей фонда Анастасия Гапонова

<https://youtu.be/XOSFqL9hJ14?t=263>