

## ОФИЦИАЛЬНОЕ ЗАЯВЛЕНИЕ

### О доступе к лечению для пациентов

---

Спинальная мышечная атрофия (СМА) – это генетическое заболевание, которое вызывает мышечную слабость и другие нарушения. Оно имеет разную степень тяжести, но во всех случаях вызывает прогрессирующую инвалидность и кардинально влияет на жизнь пациентов со СМА и их семьи.

Европейская ассоциация СМА (SMA Europe) является зонтичной организацией, которая была основана в 2006 году с целью представления сообщества СМА в Европе. Сегодня ассоциация является представителем пациентов со СМА в 17 странах. Наши основные цели заключаются в том, чтобы способствовать своевременному и надежному обеспечению пациентов эффективными методами лечения, а также поддержание оптимального ухода за пациентами.

За эти годы Европейская ассоциация СМА и ее члены профинансировали исследования, которые легли в основу того, что мы имеем сегодня: финансово доступное, значимое, целевое лечение СМА и ряд других перспективных клинических испытаний лекарственных препаратов.

**Европейская ассоциация СМА - ценный и знающий участник с подлинным и открытым интересом к этой области. Европейская ассоциация СМА должна расцениваться в качестве равного партнера и, как следствие, участвовать в обсуждении всех аспектов, имеющих отношение к терапии СМА.** Наша организация и ее члены могут поделиться опытом и знаниями о заболевании и о том, что действительно необходимо пациентам. Мы вносим вклад в распространение информации об ожиданиях пациентов, обременении и трудностях, которые вносит в жизни семей это заболевание, а также о возможных экономических и социальных преимуществах стабилизации или улучшения состояния здоровья пациентов со СМА. В настоящее время Европейская ассоциация СМА работает над тем, чтобы выявить, какие аспекты жизни пациентов наиболее подвержены воздействию СМА. Эти знания могут значительно помочь в понимании того, какие результаты лечения наиболее значимы для пациентов.

Также Европейская ассоциация СМА вносит свой вклад в развитие пациент-ориентированной модели протоколов и дизайна клинических исследований. Мы предоставляем, когда это возможно, мнение и взгляд пациентского

сообщества в ходе процесса одобрения лекарственных препаратов. Критически важно, чтобы воздействие определенного лекарственного препарата на повседневную жизнь пациентов и их семей принималось во внимание. В конечном счете, мы стремимся сформировать партнёрское взаимодействие со всеми ключевыми фигурами и организациями, участвующими в этом процессе.

Сообщество СМА считает, что в настоящее время существует разрыв между тестированием безопасности и эффективности лекарственных препаратов и последующим доступом к лечению в связи со стоимостью и вопросами ценовой политики. Именно поэтому Европейская ассоциация СМА считает, что существует острая необходимость в создании более прозрачной системы ценообразования и порядка заключения соглашений о возмещении и оплат лечения для пациентов со СМА. Процесс ценообразования и порядок возмещения расходов на новые лекарственные препараты должны быть корректными и получать встречное согласие потребителя, особенно, в области редких заболеваний.

Европейская ассоциация СМА понимает и осознает, что разработка новых лекарственных препаратов влечет за собой большой коммерческий риск и требует значительных инвестиций, и что редкие заболевания имеют ограниченную финансовую отдачу в условиях рынка, так как число нуждающихся невелико. Мы также понимаем, что очень дорогостоящий препарат может обременять и систему здравоохранения. Пациентам нужны новые схемы сотрудничества, которые смогли бы гарантировать, что конечная цель всего процесса разработки и одобрения лекарственных препаратов - это пациенты, получающие лечение своевременно и наиболее эффективным способом. Для достижения этой цели все стороны должны работать вместе и вовлекаться во все этапы процесса, включая и переговоры по ценообразованию.

Европейская ассоциация СМА и ее члены считают, что могут внести положительный вклад в решение сложных проблем, связанных с ценообразованием и возмещением расходов посредством участия в переговорах.

В настоящее время недостаточное участие сообщества в вопросах ценообразования и высокие цены, привели к нежелательным задержкам и ограниченному доступу к лечению. Это привело к потере поддержки в сообществе новых проектов в области лекарственных препаратов. Если официальные представители пациентов будут более тесно сотрудничать с другими заинтересованными сторонами, этих негативных ситуаций можно будет избежать, и конечная цель - предоставление пациентам необходимых лекарственных препаратов будет достигнута.