

В благотворительный фонд помощи больным
спинальной мышечной атрофией
и другими нервно-мышечными заболеваниями
«Семьи СМА»
Директору Германенко О.Ю.

16.03.2020

Уважаемая Ольга Юрьевна!

В соответствии с запросом (№36 от 06.03.2020) о предоставлении информации о статусе регистрации препарата AVXS-101 (зарегистрирован FDA как Zolgensma®) в России и программах дорегистрационного доступа к лекарственной терапии разрешите проинформировать Вас о следующем.

В настоящее время компания «Новartis» формирует досье на препарат AVXS-101, которое планируется к подаче в Министерство здравоохранения Российской Федерации в 2020 году. Говорить о точных сроках получения регистрационного удостоверения на препарат пока преждевременно.

19 декабря 2019 г. компания AveXis (входит в группу компаний «Новartis») объявила о запуске международной Программы управляемого доступа (далее – Программа) к препарату AVXS-101. AVXS-101 – инновационный генный препарат для лечения спинальной мышечной атрофии (СМА), предполагающий однократное введение. В рамках Программы препарат будет бесплатно предоставлен пациентам, имеющим генетическое подтверждение диагноза СМА любого типа, в возрасте до двух лет. Данная Программа реализуется на территории государств, где препарат пока не прошел процедуру государственной регистрации. В течение 2020 года планируется предоставить бесплатно до 100 доз препарата.

В соответствии с регламентом Программы, начиная со 2 января 2020 года, лечащий врач может направить запрос на участие в Программе от имени и в интересах своего пациента, обратившись к независимому оператору Программы – компании Durbin – по электронной почте AveXisMAP@DurbinGlobal.com. Лечащий врач должен подтвердить

соответствие своего пациента вышеуказанным медицинским критериям Программы до подачи запроса. Запрос должен быть составлен на английском языке, включая переводы всей медицинской документации.

Отбор пациентов для предоставления бесплатного препарата начался 3 февраля 2020 года и осуществляется оператором Программы один раз в две недели. Если пациент не был выбран в рамках определенного этапа отбора, его автоматически переносят в следующий этап в случае сохранения соответствия критериям включения в программу. С учетом ограниченного количества препарата, выделенного в рамках Программы, обеспечение каждого пациента не может быть гарантировано.

При создании данной Программы были учтены принципы справедливости, клинических потребностей и глобальной доступности, благодаря которым ограниченное количество препарата будет наиболее оптимальным образом распределено по всему миру без ущемления прав конкретного ребенка. Программа была совместно разработана компанией с независимым консультативным комитетом по биоэтике. Компанией ведутся переговоры с медицинскими центрами на территории России для улучшения доступа к терапии путем ввоза препарата до его регистрации по жизненным показаниям.

Мы осознаем срочность получения терапии пациентами и можем подтвердить, что регистрация и доступ к терапии являются приоритетами для компании «Новартис». Мы готовы далее предоставлять оперативную информацию о последующих этапах.

Компания «Новартис» выражает свое глубокое уважение той работе, которую благотворительный фонд «Семьи СМА» проводит для помощи пациентам и их семьям. Мы надеемся, что усилия всех сторон помогут сделать терапию доступной для всех нуждающихся в ней пациентов в России.

С уважением,
Директор по научной работе
ООО «Новартис Фарма», к.м.н.



Булатов В.А.