

Германенко О.Ю.,
Директору благотворительного фонда
помощи больным
спинальной мышечной атрофией
и другими нервно-мышечными заболеваниями
«Семьи СМА»

Уважаемая Ольга Юрьевна!

Благодарю Вас за обращение в компанию «Новартис». В соответствии с запросом (№48 от 03.04.2020) о предоставлении информации о возможности лечения препаратом Zolgensma (onasemnogene apheresis) на территории Российской Федерации разрешите проинформировать Вас о следующем.

Имеется ли в настоящее время возможность проводить лечение Zolgensma на территории России?

К настоящему моменту три российских пациента, имеющих генетически подтвержденный диагноз СМА 1 типа, прошли процедуру инфузии препарата Zolgensma (зарегистрирован FDA¹ в США как Zolgensma®) на территории России.

Существуют ли на сегодня медицинские центры, прошедшие обучение работе с препаратом Zolgensma, его введению, а также особенностям предварительного и последующего мониторинга за получившими генную терапию пациентами? Каких центрах?

Такие лечебные учреждения, как «НИКИ педиатрии имени академика Ю.Е. Вельтищева» ФГБОУ ВО РНИМУ им. Н.И. Пирогова Минздрава России (Москва) и ФГБУ «Национальный медицинский исследовательский центр им. В. А. Алмазова» Минздрава России (Санкт-Петербург), получили возможность осуществлять процедуру введения Zolgensma после прохождения необходимого обучения, организованного компанией-производителем препарата. Оба учреждения являются ведущими российскими медицинскими центрами мирового уровня, имеющими богатый опыт работы в педиатрии, включая лечение редких наследственных заболеваний. Для получения права на проведение процедуры центры прошли необходимую подготовку, а их специалисты – специальное обучение при содействии производителя препарата, компании AveXis (группа компаний «Новартис»).

Есть ли сегодня пациенты со СМА, получившие лечение Zolgensma на территории РФ? Сколько пациентом смогли получить лечение в России?

Всего в первых числах апреля 2020 года процедура инфузии была осуществлена трем российским пациентам, имеющим генетически подтвержденный диагноз СМА 1 типа. Во всех трех случаях препарат был приобретен у компании AveXis в результате благотворительных сборов средств при участии некоммерческих организаций и фондов, а медицинская поддержка в рамках госпитализации каждому из пациентов была оказана за счет средств ОМС.

¹ U.S. FDA, Food and Drug Administration - Управление по надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США

Организация раннего доступа к препарату стала результатом объединенных усилий и слаженной работы всех вовлеченных сторон – медицинских центров, дистрибьютора и производителя препарата. Реализация этого проекта также была бы невозможна без всесторонней поддержки и содействия со стороны Министерства здравоохранения Российской Федерации.

Есть ли планы по организации лечения для других пациентов, нуждающихся в данном виде лечения по жизненным показаниям? Каким образом может быть получен доступ к лечению, включая финансирование такого лечения?

В настоящий момент препарат не зарегистрирован для клинического применения в нашей стране, и его ввоз на территорию РФ может осуществляться по жизненным показаниям для конкретных пациентов в соответствии с требованиями, определенными федеральным законом №61-ФЗ «Об обращении лекарственных средств». Для этого необходимо соответствующее решение врачебных комиссий лечебных учреждений, а также одобрение на ввоз со стороны Министерства здравоохранения Российской Федерации. Финансирование в таком случае возможно как за счет благотворительных сборов, так и государственных каналов льготного лекарственного обеспечения.

Во всех ранее упомянутых случаях применения препарата на территории Российской Федерации препарат был приобретен у компании AveXis в результате благотворительных сборов средств при участии некоммерческих организаций и фондов.

Есть ли какие-то особенности ввоза лекарственного препарата или другие особенности его применения, на которые пациенты, желающие получить терапию Zolgensma на территории России должны были бы обратить внимание?

В связи со спецификой каждого индивидуального случая все вопросы относительно назначения и применения лекарственной терапии необходимо адресовать своему лечащему врачу. Компания «Новартис» готова оказывать информационную поддержку пациентам и их родителям в рамках своих полномочий и политик, а также активно сотрудничать с лечебными учреждениями и органами управления здравоохранения по данным вопросам.

Куда могут обращаться пациенты для организации ввоза лекарственного препарата для лечения на территории РФ?

Эти вопросы также необходимо адресовать лечащему врачу пациента. Компания «Новартис» готова активно сотрудничать с лечебными учреждениями, оказывающими помощь пациентам со СМА, по данному вопросу.

Дополнительно отмечу, что помимо приобретения препарата напрямую у компании AveXis, его получение возможно в рамках международной Программы управляемого доступа, которая реализуется на территории государств, в том числе России, где препарат пока не прошел процедуру государственной регистрации. В течение 2020 года планируется предоставить всем странам бесплатно до 100 доз препарата.

Позвольте поблагодарить Вас за ежедневную кропотливую работу, постоянную поддержку семей, а также конструктивный диалог.

С уважением,

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



Владимир Булатов