

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

Уважаемая Ольга Юрьевна!

Благодарим Вас за обращение в компанию «Новартис». В ответ на Ваш запрос №98 от 20.06.2020 о сроках регистрации препарата Zolgensma (onasemnogene aберарвовес xioi) на территории Российской Федерации разрешите проинформировать Вас о следующем:

– регистрационное досье сформировано и подано на рассмотрение в Министерство здравоохранения Российской Федерации в середине июля 2020 года. В соответствии с действующей процедурой, процесс рассмотрения досье и регистрации может занимать до 12 месяцев. Однако прогнозировать точные сроки сложно, поскольку это первый генный препарат иностранного производства, поданный на регистрацию в РФ;

– согласно поданному досье, в случае успешной регистрации на территории РФ препарат Zolgensma будет показан для лечения:

- пациентов со спинальной мышечной атрофией (СМА) с би-аллельной мутацией в гене SMN1 и клиническим диагнозом СМА 1-го типа
- или
- пациентов со СМА с би-аллельной мутацией в гене SMN1, имеющих до 3 копий гена SMN2 включительно, в том числе пациентов без клинических проявлений;

– на сегодняшний день лечение препаратом Zolgensma получили 13 пациентов из России. Каждый случай индивидуален, поэтому вопросы относительно назначения и применения лекарственной терапии следует адресовать лечащему врачу пациента;

– 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».

– в настоящее время препарат ввозится в Россию с инструкцией по применению, одобренной Управлением по контролю качества пищевых продуктов и лекарственных препаратов США (FDA).

Компания «Новартис» оказывает информационную поддержку пациентам и их родителям в рамках своих полномочий, политик и действующего законодательства, а также сотрудничает с лечебными учреждениями и органами управления здравоохранения по данным вопросам.

Благодарим Вас за Вашу работу по поддержке пациентов со спинальной мышечной атрофией и другими нервно-мышечными заболеваниями и их семей и отстаивание прав пациентов в конструктивном диалоге.

С уважением,

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



В. А. Булатов