



Исх.№111 от 21.07.2020

Председателю Комиссии  
Министерства здравоохранения Российской Федерации  
по формированию перечней лекарственных препаратов  
для медицинского применения и минимального ассортимента  
лекарственных препаратов,  
необходимых для оказания медицинской помощи,

Директору Департамента лекарственного обеспечения  
и регулирования обращения медицинских изделий  
Министерства здравоохранения Российской Федерации  
Е.А. МАКСИМКИНОЙ

Уважаемая Елена Анатольевна!

От лица больных спинальной мышечной атрофией (СМА) в России, фонд «Семьи СМА» просит рассмотреть позицию пациентского сообщества больных СМА в поддержку включения препарата нусинерсен (торговое наименование Спинраза, внесен в Государственный реестр лекарственных средств Российской Федерации под регистрационным номером ЛП-005730), в перечни ЖВНЛП и ВЗН.

Как нам стало известно, на заседании Комиссии по формированию перечней лекарственных препаратов для медицинского применения и минимального ассортимента лекарственных препаратов, необходимых для оказания медицинской помощи 3 августа 2020 года будет рассмотрен вопрос включения препарата Нусинерсен в перечни ЖВНЛП и ВЗН, которое мы однозначно поддерживаем и считаем необходимым для своевременной помощи больным СМА.

Фонд «Семьи СМА» представляет в настоящий момент интересы 997 пациентов (779 из них – дети) со спинальной мышечной атрофией, которых объединяет наша организация. У каждого из них, ввиду тяжелых проявлений болезни есть неотложная нужда в максимально быстром доступе к лекарственной терапии.

Спинальная мышечная атрофия (СМА) - тяжелое наследственное заболевание, характеризующееся поражением центральной нервной системы с задержкой моторного развития, развитием контрактур суставов и деформацией грудной клетки, прогрессированием бульбарных и дыхательных нарушений, высоким риском развития аспирационных пневмоний, быстрым нарастанием дыхательной недостаточности. Заболевание является редким (орфанным), носит прогрессирующий характер и приводит к раннему летальному исходу. Болезнь уменьшает продолжительность жизни и ухудшает ее качество, приводит к тяжелой инвалидизации и полной зависимости больного от членов семьи, осуществляющих уход. Это одна из наиболее частых причин детской смертности, вызванной наследственными заболеваниями. Больные остаются полностью интеллектуально-сохранными, но без лечения болезнь приводит к атрофии мышц и постепенной потере двигательных и дыхательных функций, лишая детей и взрослых возможности стоять, сидеть, двигаться, глотать и дышать.

Применение патогенетической терапии позволяет детям достичь или удержать основные двигательные навыки, необходимые для повседневной жизни. Раннее начало терапии или лечение до наступления симптомов заболевания позволяет развить у пациентов двигательные навыки, сопоставимые со здоровыми детьми.

Сегодня препарат нусинерсен (торговое наименование Спинраза) является единственным зарегистрированным на территории РФ препаратом для патогенетического лечения болезни. Показанием к применению данного лекарственного препарата, согласно инструкции по применению, а также недавно утвержденных клинических рекомендаций является наличие у больного генетически подтвержденного диагноза СМА. Терапию данным препаратом необходимо проводить пожизненно.

Еще совсем недавно СМА считалась неизлечимой болезнью, больные могли надеяться только на паллиативный уход при неминуемом ухудшении здоровья. Появление лекарственной терапии дает больным СМА возможность получать лечение, которое действует на патогенез заболевания, тем самым предотвращает развитие заболевания и его жизнеугрожающих осложнений. Более того в группе пациентов, уже начавших терапию, нусинерсен отмечается положительная динамика, выражающаяся в частичном восстановлении утраченных ранее функций организма – возможности переворачиваться, сидеть, стоять, восстановления функции ходьбы (при этом быстрая утрата функций и прогрессирования заболевания наступала у данных пациентов в отсутствие патогенетической терапии). Важно, что при лечении пациент получает шанс на долгую, счастливую и полноценную жизнь - чем раньше начинается лечение, тем выше его эффективность и тем выше шанс на то, что болезнь отступит. Без патогенетической терапии заболевание прогрессирует с каждым днем, любая задержка в лечении приводит к безвозвратной инвалидизации пациента и потере работоспособности.

Помимо вышеуказанной медицинской значимости, применение у больных СМА препарата нусинерсен дает значимый социальный эффект. Больные СМА, имея сохраненные интеллектуальные и когнитивные функции при сохранении и восстановлении двигательных возможностей даже частично, имеют больше шансов на активную социальную жизнь и интеграцию. На самостоятельный ежедневный быт без необходимости в ежеминутном уходе со стороны других лиц, на получение образования и профессии, т.е. не только на протяжении детства быть активной частью детских коллективов сверстников, но и на полноценную жизнь взрослого человека, работающего и зарабатывающего плательщика налогов. Применение патогенетической терапии может снизить процент инвалидизации больных СМА, который без лечения составляет практически 100%.

На сегодняшний день лекарственное обеспечение пациентов со СМА должно осуществляться за счет субъектов Российской Федерации. В силу течения заболевания СМА является тяжелым жизнеугрожающим заболеванием в связи с чем практически все пациенты имеют инвалидность. Право на патогенетическую терапию гарантировано пациентам со СМА (по статусу инвалид\ребенок-инвалид) Постановлением Правительства РФ от 30.07.1994 года №890 «О государственной поддержке развития медицинской промышленности и улучшении обеспечения населения и учреждений здравоохранения лекарственными средствами и изделиями медицинского назначения», как лицам, относящимся к категории инвалидов (детей-инвалидов).

Однако, несмотря на наличие правовых оснований на обращения пациентов со СМА в региональные органы государственной власти в сфере здравоохранения об организации лекарственного обеспечения препаратом для патогенетического лечения СМА в их адрес зачастую поступают отказы. Среди одной из самых распространенных причин отказов льготном лекарственном обеспечении по обращению пациентов от региональных органов здравоохранения в документах упоминаются отсутствие СМА в программе высокотратных нозологий (ВЗН), перечне жизнеугрожающих орфанных заболеваний, а также отсутствие препарата Нусинерсен в перечне ЖВНЛП и, как следствие, территориальных программах и перечнях.

Необходимы меры, которые позволят своевременно, без задержек обеспечивать лечением больных в долгосрочной перспективе без привязки к региону проживания, без рисков прерывания начатой терапии. Одной из таких действенных мер может быть включение препарата Нусинерсен в перечни ЖВНЛП и ВЗН.

Несмотря на разнообразные обоснования отказов, реальная причина кроется в стоимости терапии и отсутствии достаточных бюджетных средств в субъектах РФ. На сегодня (согласно portalу госзакупок) средняя стоимость 1 ампулы препарата достигает в среднем 7 900 тыс. рублей. Сегодня в связи с разными финансовыми возможностями регионов, большим количеством данных пациентов и их разной концентрацией в регионах, добиться равного предоставления патогенетического лечения пациентам со СМА без централизованного порядка лекарственного обеспечения и дополнительных решений, одним из которых может стать регистрация предельной отпускной цены, не представляется возможным.

Включение препарата нусинерсен в перечень ЖВНЛП позволит, помимо всего, зафиксировать стоимость препарата и существенно сократить его стоимость. Согласно публичной информации, опубликованной на сайте компании, при подаче предложения о включении препарата нусинерсен в ЖВНЛП компания Янссен сформировала его на основании минимальной референтной цены и приняла решение зафиксировать расчетный курс валют на уровне среднего за 2019 год. Таким образом, предложенная к регистрации цена на препарат почти на 25% ниже текущей средней цены государственных закупок. В случае положительного решения Комиссии и включения препарата в перечень ЖВНЛП, стоимость препарата может составить около 5 650 тыс рублей за 1 ампулу. Это, в свою очередь, значительно снизит стоимость года лечения пациента и способствует повышению доступности лечения для пациентов за счет уменьшения суммарных затрат на препарат при обеспечении лекарственной терапией.

Высокая социальная значимость проблемы лекарственного обеспечения пациентов со СМА обусловила проведение 17 декабря 2019 г. заседания Экспертного совета Комитета Государственной Думы по охране здоровья по редким (орфанным) заболеваниям, на котором был рассмотрен вопрос доступности препарата нусинерсен для пациентов со СМА в РФ за счет средств бюджетов всех уровней, а также неоднократно поднимался и в Совете Федерации. Этот вопрос стал предметом обсуждения на встрече между вице-премьером Голиковой Т.А. и Президентом РФ Путиным В.В., и в конечном итоге прямого поручения Президента об организации помощи и поручения проработать вопрос механизма финансирования такого лечения за счет целевого использования средств, поступивших

в виде суммы налога, исчисленной по налоговой ставке в размере, превышающем размер базовой налоговой ставки.

Для решения вопроса обеспечения лекарственной терапией со СМА, с учетом сложной ситуации с лечением в регионах, не справляющихся с финансовым бременем обеспечения пациентов необходимо предусмотреть возможность перевода нозологии к обеспечению за счет средств федерального бюджета. Оптимальным решением, которое бы позволило решить проблему могло бы стать включение заболевания спинальная мышечная атрофия (СМА) в Перечень высокочатотных нозологий (программа 14 ВЗН), который предусматривает обеспечение лекарственными препаратами за счет средств федерального бюджета, а препарата Нусинерсен в перечень препаратов ВЗН.

На основе вышесказанного, просим Комиссию включить препарат Нусинерсен в перечень ЖВНЛП и перечень ВЗН (с последующим включением нозологии в программу ВЗН). Такое решение позволит значительно снизить младенческую и детскую смертность в короткие сроки и ослабить высокую социальную напряженность вокруг данной проблемы.

Также мы просим разрешить участие в заседании Комиссии 3 августа 2020 года по препарату Нусинерсен следующего представителя фонда «Семьи СМА»:

С уважением,

Германенко Ольга Юрьевна

Директор БФ «Семьи СМА»

