



Исх.№ 84 от 27.07.2021

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

Заместителю Министра  
Министерства здравоохранения Российской Федерации  
С.В. ГЛАГОЛЕВУ

Уважаемый Сергей Владимирович!

От лица больных спинальной мышечной атрофией (СМА) в России, фонд «Семьи СМА» просит рассмотреть позицию пациентского сообщества больных СМА в поддержку включения препарата рисдилам (торговое наименование Эврисди, внесен в Государственный реестр лекарственных средств Российской Федерации под регистрационным номером ЛП-006602), в перечень ЖВНЛП.

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 5 августа 2021 года будет рассмотрен вопрос включения препарата рисдилам в перечень ЖВНЛП, которое мы однозначно поддерживаем и считаем необходимым для своевременной помощи больным СМА.

Фонд «Семьи СМА» представляет в настоящий момент интересы 1162 пациентов (862 из них – дети, 300 – пациенты старше 18 лет) 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, деформацией грудной клетки и сколиотическим деформациям, 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. СМА - 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 в России зарегистрировано 2 лекарственных средства для патогенетического лечения СМА: препарат нусинерсен (включен в перечень ЖВНЛП) и препарат рисдиплам (зарегистрирован в ноябре 2020 года). Оба препарата являются модификаторами сплайсинга SMN2 и требуют пожизненного приема, однако отличаются способом введения. Если препарат нусинерсен требует введения посредством интратекальной инъекции в условиях стационара, то препарат рисдиплам выпускается в виде сиропа для ежедневного применения на дому.

Препарат рисдиплам включен в утвержденные в 2021 году клинические рекомендации Минздрава России «Проксимальная спинальная мышечная атрофия 5q». Согласно инструкции к применению и клиническим рекомендациям препарат показан детям и взрослым со СМА с 2-х месяцев. Отличительной особенностью является то, что он вводится перорально, и может приниматься на дому без необходимости госпитализаций.

Пероральный способ ввода дает несколько значимых преимуществ:

- Сокращение числа госпитализаций особенно важно для пациентов со СМА в текущей эпидемиологической ситуации, связанной с COVID-19 - инфекционные заболевания верхних дыхательных путей могут приводить к тяжелой дыхательной недостаточности, что, в свою очередь, может привести к серьезным осложнениям здоровья и смертельному исходу.
- Одним из серьезных осложнений при СМА является сколиоз, у ряда пациентов установлены металлоконструкции, что может препятствовать возможности проводить интратекальные инъекции и для таких пациентов препарат с пероральным способом введения оказывается единственной опцией лечения.

Таким образом, крайне важно, чтобы доступ к выбору оптимальной лекарственной терапии был равным в отношении двух лекарственных препаратов и давал возможность лечащему врачу принимать решение о назначении лекарственного препарата, основываясь прежде всего на клинической картине индивидуального пациента, сопутствующих заболеваний и осложнений. Несомненно, включение в перечень ЖВНЛП второго препарата для лечения СМА с пероральным способом приема – будет значительно способствовать этому.

Следует также отметить, что с учетом больших расстояний в регионах нашей страны, при выборе и назначении лекарственной терапии важно учитывать и удаленность проживания от госпиталя. С учетом наличия осложнений, может быть крайне затруднительным регулярно транспортировать пациента для проведения лечения. В таких ситуациях отдаленности места проживания от стационара пероральный путь введения препарата рисдиплам также будет очень важным аспектом в доступности применения.

Мы бы хотели подчеркнуть, что наличие равного доступа к зарегистрированным методам для лечения СМА для разных категорий пациентов, с учетом их индивидуальных особенностей, а также жизненного уклада и места постоянного проживания – является крайне важным для своевременной и полноценной помощи больным СМА.

На территории РФ уже имеется достаточно широкий опыт применения препарата рисдиплам. Так, с начала 2018 года в стране проводились клинические исследования рисдиплам, а с начала 2020 года в рамках программы дорегистрационного доступа лечение начали более 230 детей и взрослых. У российских пациентов, получающих рисдиплам, отмечается положительная динамика, выражающаяся остановке прогрессирования болезни, 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 отсутствии патогенетической терапии). Те малыши, которые участвуют в программе клинического исследования досимптоматического лечения на сегодняшний день не имеют проявления болезни, растут и развиваются в соответствии с возрастом.

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. Тем важнее становится повышение доступности лечения. 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 рисдиплам дает значимый социальный эффект. Больные СМА, имея сохраненные интеллектуальные и когнитивные функции при сохранении и восстановлении двигательных возможностей, имеют больше шансов на активную социальную жизнь и интеграцию, на полноценную жизнь взрослого человека, работающего и зарабатывающего плательщика налогов, если они своевременно получают лечение. Применение патогенетической терапии может снизить процент инвалидизации больных СМА, который без лечения составляет практически 100%.

На сегодняшний день лекарственное обеспечение пациентов со СМА возложено на субъекты Российской Федерации. Практически все пациенты имеют инвалидность. Право на патогенетическую терапию гарантировано пациентам со СМА Постановлением Правительства РФ от 30.07.1994г. №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 рисдиплам 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 препарата рисдиплам в перечне ЖВНЛП и, как следствие, территориальных программах и перечнях.

Несмотря на появление дополнительного механизма лекарственного обеспечения – фонда «Круг Добра», в число заболеваний с обеспечением которых помогает президентский фонд вошла спинальная мышечная атрофия. Появление этого механизма обеспечения значительно улучшило ситуацию с доступом к лечению больных СМА. Однако, данный

дополнительный механизм распространяется только детей до 18 лет и не отражен в законодательном регулировании, т.е. законодательно ответственность за организацию лекарственного обеспечения продолжают нести субъекты РФ. Около 25 % общей численности больных СМА – это взрослые старше 18 лет, а также несколько десятков пациентов, которые ежегодно переступают рубеж совершеннолетия – их обеспечение по прежнему зависят от возможностей региона проживания.

Несмотря на разнообразные обоснования отказов, реальная причина кроется в стоимости терапии и отсутствии достаточных бюджетных средств в субъектах РФ. 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.

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 рисдиплам в перечень ЖВНЛП.

Включение препарата рисдиплам в перечень ЖВНЛП позволит, помимо всего, зафиксировать стоимость препарата и существенно сократить его стоимость. 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.

Принимая во внимание вышеизложенное, просим Комиссию включить препарат рисдиплам в перечень ЖВНЛП.

Также мы просим разрешить участие в заседании Комиссии 5 августа 2021 года по препарату рисдиплам следующего представителя фонда «Семьи СМА»:

Германенко Ольга Юрьевна (моб. тел. (926)471-49-26, эл. почта: [og@f-sma.ru](mailto:og@f-sma.ru)).

С уважением,

Германенко Ольга Юрьевна

Директор БФ «Семьи СМА»

