

24.12.2021 г.

Германенко Ольге Юрьевне
Директору благотворительного фонда
«Семьи СМА»

Уважаемая Ольга Юрьевна!

Выражаем Вам свое почтение и благодарим за обращение в компанию «Новартис». В ответ на Ваш запрос о предоставлении информации разрешите проинформировать Вас, что 9 декабря 2021 года препарат онасемноген абепарвопек получил регистрацию Министерства здравоохранения РФ (ПУ ЛП-007675 от 09.12.2021 г.).

В соответствии с инструкцией по медицинскому применению препарат предназначен для пациентов со СМА с биаллельной мутацией в гене *SMN1* и клиническим диагнозом СМА I типа или пациентов со СМА с биаллельной мутацией гена *SMN1* и не более чем с тремя копиями гена *SMN2*. Противопоказаниями к применению являются гиперчувствительность к онасемноген абепарвопеку или любому из вспомогательных веществ препарата.

Семьи пациентов, с которыми применение онасемноген абепарвопека обсуждается в качестве опции терапии или которым препарат рекомендован для применения, могут обсудить все возникающие у них вопросы с их лечащим врачом.

Процедура ввода лекарственных препаратов в гражданский оборот после получения регистрационного удостоверения может занять несколько месяцев. Со своей стороны мы, действуя в рамках применимого законодательства, прилагаем усилия для сокращения данного периода и обеспечения доступа российских пациентов к генной терапии.

Мы благодарим Вас за глубокую вовлеченность и огромную поддержку, который фонд «Семьи СМА» оказывает пациентам со спинальной мышечной атрофией и их семьям.

С уважением,

Директор по научной работе
ООО «Новартис Фарма»



Шутов А.В.