



# ФАРМПОСТ

14.03.06. Фармакология,  
клиническая фармакология

14.04.03. Организация  
фармацевтического дела



## Движение – цель: как изменится лечение СМА в этом году в России

Екатерина Куминова, «Ремедиум»

С 1 января 2021 г. вступил в силу новый перечень ЖНВЛП, который пополнился 25 наименованиями, среди них – один из немногих препаратов для патогенетического лечения спинальной мышечной атрофии (СМА) нусинерсен. Это означает, что теперь он будет закупаться государством по фиксированной предельной отпускной цене, равной 5 138 690 78 руб. за упаковку. Такую сумму производитель препарата компания Янссен заявила к регистрации на основании минимальной референтной цены, что на четверть ниже средней цены государственных закупок в 2020 г. О значимости этого события мы поговорили с экспертами.

СМА – это генетическое, прогрессирующее, инвалидизирующее и потенциально фатальное заболевание, обусловленное поломкой в гене SMN1. Оно является основной причиной младенческой смертности от генетических заболеваний [1] и отнесено к редким [2] (1 случай на 100 000 человек, 1 из 10 тыс. новорожденных [3]). При СМА I типа медиана общей выживаемости пациентов составляет менее 1 года [4, 5]. Нарастающие осложнения со стороны опорно-двигательной [6], дыхательной [7] и пищеварительной [8] систем связаны с прогрессированием мышечной слабости.

### ЧЕМ ЛЕЧАТ СМА

В мире известно три препарата для лечения СМА – рисдиплам (Эврисди компании «Рош»), нусинерсен (Спинпраза компании «Янссен») и онасемноген абепарвовек (Золгенсма компании «Новартис»).

Нусинерсен зарегистрирован в РФ 16.08.2019 г., рсидиплам – 26.11.20 г. Онасемноген абепарвовек (Золгенсма) – самое дорогое лекарство в мире и первый лекарственный препарат для генной терапии СМА (функциональная копия гена SMN). Стоимость одной упаковки – более 150 млн руб. В нашей стране препарат не зарегистрирован, по данным Фонда «Семьи СМА», Novartis подала документы на регистрацию Золгенсмы в России в июле 2020 г. Младенцу с ранним проявлением СМА необходима всего одна инъекция. У лекарства есть жесткое возрастное ограничение – оно эффективно только у детей до 2 лет. Но говорить о гарантии полного выздоровления пока невозможно, т.к. препарат имеет небольшую историю применения – не более пяти лет.

«Сравнивать эффективность этих препаратов мы не можем, т.к. не было специальных клинических

исследований, которые сопоставляли бы по эффективности один препарат с другим, – пояснила заведующая неврологическим отделением Научно-исследовательского клинического института педиатрии им. академика Ю.Е. Вельтищева **Светлана Артемьева**. – У нас есть данные клинических исследований по отдельным препаратам и доказано, что каждый из них эффективен, все зависит от сроков начала терапии и от функционального статуса пациента. Возможно, в дальнейшем мы разработаем критерии, чтобы определять, какой препарат предпочтительнее для одних пациентов, какой для других, но сейчас таких научно обоснованных данных нет». Нусинерсен – первое лекарственное средство, одобренное Управлением по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) и Европейским медицинским агентством (EMA)

для патогенетической терапии спинальной мышечной атрофии (СМА). По информации производителя, он доступен более чем в 40 странах (по состоянию на 31 декабря 2019 г.), более 10 000 пациентов получили им лечение. Это единственный на данный момент препарат патогенетической терапии СМА, включенный в российские клинические рекомендации.

Производитель сообщает, что в настоящее время накоплены данные о применении нусинерсена у более чем 300 участников исследований, имеющих самые разные клинические проявления СМА. Эффективность препарата оценивалась в двух рандомизированных двойных слепых плацебо-контролируемых исследованиях у пациентов с младенческой формой СМА (ENDEAR) и больных с более поздней манифестацией (CHERISH), а также подтверждалась открытыми исследованиями у младенцев на доклинической стадии заболевания (NURTURE) и пациентов с поздним началом СМА, которые получали терапию в старшем возрасте (CS2/CS12). Применение нусинерсена у младенцев до появления клинических симптомов СМА позволяет им достигать уровня развития моторных навыков, сопоставимых со здоровыми детьми [9]. Наиболее частыми побочными эффектами были респираторная инфекция, лихорадка, запор, головная боль, рвота и боль в спине. У пациентов, которым препарат вводился в период пострегистрационного исследования, наблюдались серьезные инфекции, например менингит. Также имелись сообщения о случаях гидроцефалии. Частота возникновения подобных реакций неизвестна. После введения некоторых препаратов этого класса наблюдались токсическая нефропатия и нарушения свертываемости крови, в т.ч. с резким снижением уровня тромбоцитов [9].

Сегодня в реестре фонда «Семья СМА» зарегистрировано 1088 российских пациентов, страдающих СМА: 847 детей и 241 взрослый. Всего,

по данным фонда, в России приблизительно 5–7 тыс. человек с этим заболеванием.

«По нашим данным, на сегодняшний день начали лечение препаратом нусинерсен 232 человека (включая 11 взрослых), препаратом рисдиплам – 232 (включая 33 взрослых). Еще 46 детей получают незарегистрированные или экспериментальные препараты, в т.ч. при участии в клинических исследованиях», – рассказала учредитель и директор фонда **Ольга Германенко**.

### КАК ОБЕСПЕЧИВАЕТСЯ ЛЕЧЕНИЕ БОЛЬНЫХ СМА

До недавнего времени СМА не имела патогенетического лечения и считалась неизлечимой, больные могли рассчитывать только на паллиативный уход. Как пояснила нам Светлана Артемьева, таким пациентам проводилось симптоматическое лечение, направленное на ослабление проявлений этого заболевания. «При этой патологии страдают мышцы, мотонейроны спинного мозга, периферические нервы, и симптоматическое лечение направлено на замедление патологического процесса», – отметила доктор. – В его основе была кинезотерапия и лечение положением, эти подходы остаются актуальными до сегодняшнего дня и применяются на фоне патогенетической терапии, повышая результативность лечения».

Появление лекарственной терапии дает больным СМА возможность получать лечение, воздействующее на патогенез заболевания, предотвращающее развитие болезни и ее жизнеугрожающих осложнений. Более того, в группе пациентов, уже начавших терапию нусинерсеном, отмечается положительная динамика, которая выражается в частичном восстановлении утраченных ранее функций организма.

«Больные СМА, имея сохраненные интеллектуальные и когнитивные функции при сохранении и восстановлении даже частично двигательных возможностей, имеют больше шансов на включение в активную

социальную жизнь. Применение патогенетической терапии может снизить инвалидизацию больных СМА, которая без лечения составляет практически 100%, – рассказала Ольга Германенко. – Включение нусинерсена в ЖВНЛП повысит доступность этого лечения, необходимость в котором является неотложной, т.к. без патогенетической терапии заболевание прогрессирует с каждым днем и любая задержка в терапии приводит к безвозвратной инвалидизации пациента».

В настоящее время ответственность за лекарственное обеспечение этих больных лежит на региональных властях, имеющих очень разные финансовые возможности. «В прошлом году в ответ на запросы о помощи больным СМА часто звучали отказы», – отметила Германенко. – Одной из самых распространенных причин отказов региональных органов здравоохранения является то, что препарат отсутствует в перечне ЖВНЛП». Теперь данная причина устранена на федеральном уровне. Однако лидер пациентской организации считает, что она была формальной. Реальной причиной было и останется отсутствие средств. «Согласно portalу госзакупок, средняя стоимость 1 ампулы нусинерсена в 2020 г. достигала 7900 тыс. руб. В связи с разными финансовыми возможностями регионов и разной концентрацией в них таких больных добиться равного доступа к патогенетическому лечению пациентам с СМА без централизованного порядка лекарственного обеспечения не представляется возможным», – полагает эксперт. Согласно инструкции к препарату, в первый год терапии необходимо шесть инъекций, затем пожизненно по три инъекции в год [10].

По-прежнему не определено место СМА и препаратов для ее лечения в системе льготного лекарственного возмещения. И пациент, и врач, назначающий препарат, не уверены в его своевременном получении, ведь это зависит от финансовой

возможности и желания регионального руководства. Помимо региональных бюджетов, лечение пациентов с СМА финансируется из благотворительных средств, а также в рамках программ раннего доступа, которые организованы производителями лекарств, но они имеют ограниченные сроки.

### НОВЫЕ ИСТОЧНИКИ СРЕДСТВ

В начале января был создан фонд «Круг добра», из средств которого будет финансироваться лечение детей с тяжелыми заболеваниями, в т.ч. с СМА.

«Лечение станет доступным для более чем 800 пациентов, страдающих СМА. А что будет с лекарственным обеспечением взрослых пациентов, которых более 200 человек, и дальнейшим лечением детей, которые постепенно будут взрослеть и переходить во взрослую когорту? Вопрос остается открытым, – отметила руководитель проектного офиса «Редкие болезни» Национального научно-исследовательского института общественного здоровья им. Н.А. Семашко **Елена Красильникова.** – Для этого необходимо включить СМА в одну из действующих в рамках системы лекарственного обеспечения программ по редким заболеваниям. Такой подход обеспечит учет всех пациентов в федеральном регистре, позволит планировать необходимые объемы помощи, а пациент получит право на льготное лекарственное обеспечение по факту постановки диагноза».

Для формирования реестра, а также для досимптомного выявления болезни и раннего начала лечения необходимо внедрение скрининга на СМА. Врач Светлана Артемьева отметила, что доступность диагностики СМА в последнее время значительно возросла.

«Любой врач – педиатр, генетик, невролог – может отправить образец крови (достаточно несколько капель) в генетический центр. Раньше это исследование проводилось за деньги пациентов, а сегодня – бесплатно», – пояснила она.

Чтобы получить направление на такой анализ, не обязательно ждать очереди к врачу-генетику, тем более что таких специалистов не хватает в регионах. По словам С. Артемьевой, любой врач может заполнить соответствующие документы на сайте Медико-генетического научного центра им. академика Н.П. Бочкова и с помощью курьерской службы отправить образец на анализ. В рамках совместной программы МГНЦ им. Н.П. Бочкова и компании Янссен по бесплатной диагностике СМА доступна транспортировка биологических образцов, в т.ч. цельной крови, проведение молекулярно-генетического анализа на наиболее распространенную форму заболевания СМА 5q и определение количества копий гена SMN2. Об этом компания сообщила 15 января. Никаких специальных навыков или оборудования для получения такого образца не требуется, пояснили в компании. А вот для введения препарата нусинерсен требуется владение техникой люмбальной пункции. В компании Янссен считают, что российские специалисты, в т.ч. в регионах, не испытывают затруднений с интратекальным введением препарата. По их данным, он уже применяется в 60 регионах РФ, общее количество пациентов составляет порядка 350 человек.

«Интратекальное введение – это инвазивная процедура, требующая специальных навыков у врача, но, с другой стороны, неврологи, реаниматологи, анестезиологи, нейрохирурги должны владеть навыками люмбальной пункции, на которой основано интратекальное введение, это входит в их должностные обязанности и является рутинной манипуляцией», – пояснила Светлана Артемьева. – Другое дело, что при этом врач должен знать особенности набора, хранения данного препарата, и, чтобы избежать осложнений, эта процедура должна проводиться в каждом регионе в определенном медицинском центре, где врачи подготовлены для этого».

Включение препарата в перечень ЖНВЛП делает доступным лечение за счет средств федерального бюджета по 178 ФЗ, отмечает Елена Красильникова. По ее подсчетам, для обеспечения пациентов, включенных в регистр, в первый год терапии потребуется около 34 млрд руб., а во второй и последующие годы – в 2 раза меньше. «Сегодня примерно четверть пациентов получают терапию по программе раннего доступа и еще столько же лечатся за счет средств субъектов, а это значит, что реальное бремя СМА будет ниже расчетного», – полагает аналитик.

На закупку лекарств для детей с редкими (орфанными) заболеваниями в 2021 г. федеральным бюджетом предусмотрено 60 млрд руб. Затраты государство возместит за счет повышения ставки НДС для тех, кто зарабатывает в год больше 5 млн руб. Централизованную закупку, по сообщению Департамента медицинской помощи детям и службы родовспоможения МЗ РФ, проведет фонд «Круг добра» [11]. Указ о создании фонда президент Владимир Путин подписал 6 января [12], тогда же он вступил в силу.

Предварительный перечень заболеваний, которые будут финансироваться в рамках деятельности этого фонда, состоит из 30 позиций, он также включает 41 препарат, в котором нуждается около 4 тыс. детей, в т.ч. больных СМА. Их будут обеспечивать лекарствами в первую очередь, в этом заверил общественность глава МГНЦ им. академика Н.П. Бочкова Сергей Куцев [13].

На первом заседании экспертного совета фонда 3 февраля было принято решение о включении СМА в перечень заболеваний, с которыми будет работать фонд, а также препаратов для ее лечения: рисдиплам, нусинерсен и Золгенсма. На втором заседании 16 февраля экспертный совет фонда принял решение о включении болезни Помпе в перечень заболеваний, внесено предложение о включении препарата Майозайм в перечень лекарственных

препаратов для закупки. 15 февраля премьер-министр М. Мишустин сообщил, что правительство

выделило фонду первый транш в размере 10 млрд руб. из запланированных 60 млрд. При этом он

уточнил, что пока речь идет о закупке зарегистрированных в России препаратов.



#### СПИСОК ЛИТЕРАТУРЫ

- Lunn M.R., Wang C.H. Spinal muscular atrophy. *Lancet*. 2008;371:2120–2133.
- Перечень редких заболеваний МЗ РФ, п. 178. Режим доступа: <https://minzdrav.gov.ru/documents/8048>.
- Verhaart, Ingrid E.C. et al. Prevalence, incidence and carrier frequency of 5q-linked spinal muscular atrophy – a literature review. *Orphanet Journal of Rare Diseases*. Available at: <https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-017-0671-8>.
- Kolb et al. Natural History of Infantile-Onset Spinal Muscular Atrophy. *Ann Neurol*. 2017;82(6):883–891.
- Finkel R.S. et al. Observational study of spinal muscular atrophy type I and implications for clinical trials. *Neurology*. 2014;83(9):810–817.
- Haaker G., Fujak A. Proximal spinal muscular atrophy: current orthopedic perspective. *Appl Clin Genet*. 2013;6:113–120.
- Darras B.T. Spinal muscular atrophies. *Paediatr Clin North Am*. 2015;62:743–766.
- Wang C.H. et al. Consensus statement for standard of care in spinal muscular atrophy. *J Child Neurol*. 2007;22:1027–1049.
- Пресс-релиз компании «Янссен» – подразделения фармацевтических товаров ООО «Джонсон & Джонсон» от 13.01.2021 г.
- Государственный реестр лекарственных средств. Режим доступа: [https://grls.rosminzdrav.ru/Grls\\_View\\_v2.aspx?routingGuid=c9b96a83-5cd3-46a9-accd-1c5ffb70f785&t=](https://grls.rosminzdrav.ru/Grls_View_v2.aspx?routingGuid=c9b96a83-5cd3-46a9-accd-1c5ffb70f785&t=).
- Российская газета, 22.01.2021. Режим доступа: <https://rg.ru/2021/01/22/gosudarstvo-pokroet-zatraty-na-lekarstva-dlia-tiazhelobolnyh-detej.html>.
- Официальный портал президента России. Режим доступа: <http://www.kremlin.ru/acts/news/64863>.
- TACC, 19.01.2021. Режим доступа: <https://tass.ru/obschestvo/10495527>.



**МЕДФАРМ ПЯТИГОРСК**

XVII ежегодная межрегиональная конференция  
«АКТУАЛЬНЫЕ ПРОБЛЕМЫ  
ОБЕСПЕЧЕНИЯ КАЧЕСТВА  
ЛЕКАРСТВЕННОЙ  
И МЕДИЦИНСКОЙ ПОМОЩИ»

ИЗВЕСТНАЯ КОНФЕРЕНЦИЯ В НОВОМ МЕСТЕ  
И В НОВОМ ФОРМАТЕ  
НИКАКИХ СКУЧНЫХ ДОКЛАДОВ  
ОТ ПРОФЕССИОНАЛОВ  
И ДЛЯ ПРОФЕССИОНАЛОВ  
ОБСУДИМ САМОЕ ВАЖНОЕ В ОРГАНИЗАЦИИ  
ЛЕКАРСТВЕННОГО ОБЕСПЕЧЕНИЯ

4 – 6 июля  
2021 г.

ПРОГРАММА КОНФЕРЕНЦИИ

**Пленарное заседание**

- Доступность медицинской и лекарственной помощи: актуализация в изменившихся условиях

**Тематические лекции**

**Секционные заседания и круглые столы**

- Федеральные и региональные программы лекарственного обеспечения: нормативные решения и практика реализации
- Финансирование медицинской помощи в системе ОМС
- Развитие информатизации на региональном уровне системы здравоохранения: использование в практике управленческих решений
- Формирование потребности в ЛП с учетом моделей пациентов
- Лекарственное обеспечение отдельных заболеваний
- Организация лекарственного обеспечения на уровне медицинской организации
- Проблемы маршрутизации пациентов и преемственности лечения на стационарном и амбулаторном этапах
- Использование средств дезинфекции в медицинских организациях: вопросы стоимости и эффективности

СОВРЕМЕННЫЙ  
И ТЩАТЕЛЬНО ПРОДУМАННЫЙ  
ФОРМАТ ПРОВЕДЕНИЯ







- Пленарное заседание
- Секционные заседания
- Круглые столы
- Дискуссии
- Беседа в кулуарах

Дополнительная информация на сайте [www.fru.ru](http://www.fru.ru), по тел.: (495) 359-06-42, 359-53-38, e-mail: [fru@fru.ru](mailto:fru@fru.ru)

Обращаем Ваше внимание, что Оргкомитет конференции оставляет за собой право вносить изменения в программу и состав докладчиков

Реклама