

Разенкову В.Н.
guz.rbefremov@tularegion.ru

Уважаемый Владимир Николаевич!

Благодарим Вас за обращение в компанию «Новартис» о лечении препаратом AVXS-101 (*онасемноген абепарвовек*, зарегистрирован FDA/EMA как Zolgensma) и регистрации препарата в странах ЕС. Разрешите проинформировать Вас о следующем:

Препарат Zolgensma получил одобрение Управления по надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (US FDA) в мае 2019 года и показан для лечения детей в возрасте младше 2 лет со спинальной мышечной атрофией (СМА) с биаллельной мутацией в гене SMN1.

В мае 2020 года препарат был одобрен Европейским медицинским агентством (EMA) для применения на территории стран Европейского союза, для лечения пациентов: с 5q спинальной мышечной атрофией (СМА) с би-аллельной мутацией в гене SMN1 и клиническим диагнозом СМА 1-го типа или пациентов с 5q СМА с би-аллельной мутацией в гене SMN1, имеющих до 3 копий гена SMN2 включительно, с массой тела до 21кг.

Непосредственно после регистрации, доступ к Zolgensma в рамках европейской инструкции получили пациенты из Франции, в ближайшее время препарат будет доступен для пациентов из Германии. Аевкисис ведет переговоры с правительствами и страховыми компаниями других стран, входящих в состав ЕС, чтобы как можно скорее запустить программу доступа к препарату "Day One", и тем самым ускорить возможность получения пациентами востребованной терапии.

В настоящий момент препарат не зарегистрирован для клинического применения в Российской Федерации, и его 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».

С уважением,

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



Булатов В.А.