



Путь пациента с орфанными заболеваниями на примере СМА (спинальная мышечная атрофия)

Равиль Блатов

Руководитель по коммерческим операциям и доступу на рынок
ООО «Джонсон & Джонсон» действующее через свой филиал в РК 050040 г.
Алматы, ул. Тимирязева , 42 павильон 23А.
26 октября 2022 года

Данная презентация предназначена исключительно для информационных целей и не несёт в себе цели продвижения лекарственных препаратов или технологий.

Автор презентации является штатным сотрудником ООО «Джонсон & Джонсон», действующее от имени филиала в Республике Казахстан

ЗНАЧИМОСТЬ СМА

ОПРЕДЕЛЕНИЕ И ХАРАКТЕРИСТИКИ СМА

Прогрессирующее орфанное заболевание, характеризующийся мышечной слабостью и атрофией

ГОСУДАРСТВЕННАЯ ПОДДЕРЖКА

Утвержден КП в 2020 году
Заболевание и ЛС включены в Перечень орфанных заболеваний и ЛС
Уже есть доступная терапия в Перечне АЛО
Создан Мультидисциплинарный центр компетенций (координатор НАО «МУА»)

ПОЧЕМУ ВАЖНО ДЛЯ КАЗАХСТАНА

Рождаемость 450,6 тысяч новорожденных.
Частота встречаемости СМА 1 на 11.000 .
Ежегодно новых пациентов со СМА – 46 человек.
Количество детей со СМА – 128 человек.
Потенциальных пациентов – до 250 человек

ПУТЬ ПАЦИЕНТА СО СМА

ПЕРВИЧНЫЙ ПРИЕМ



Жалобы:

- ✓ мышечная слабость
- ✓ трудности при глотании
- ✓ низкая двигательная активность

ДИАГНОСТИКА



На уровне Педиатра /ВОП

- ✓ ОАК, консультация специалистов, АЛТ, АСТ;

Невролог, на уровне КДУ:

- ✓ Дополнительные исследования;
- ✓ Молекулярно-генетический анализ (MLPA* на СМА)

ЗАСЕДАНИЕ ЭКС



Предоставление документов ЭКС:

- ✓ Результаты молекулярно-генетического анализа (MLPA* на СМА)

- ✓ Другие документы

Заседание ЭКС:

- ✓ Ежемесячное заседание ЭКС
- ✓ Назначение/ Пролонгация/отмена терапии

АДМИНИСТРИРОВАНИЕ



- ✓ Выделение бюджета

- ✓ Сбор заявок и утверждение

- ✓ Проведение тендера

- ✓ Поставка производителями

- ✓ Поставка в МО

ТЕРАПИЯ И РЕАБИЛИТАЦИЯ



- ✓ Инициация терапии

- ✓ Каждые 6 месяцев проведение оценки двигательной способности по шкалам

- ✓ Решения ЭКС о продолжении терапии

- ✓ Сопутствующая реабилитация

от 1 до 12 месяцев

от 1 до 2 месяцев

1 месяц

от 3 до 6 месяцев

От диагностики до получения терапии требуется **от 6 до 20 месяцев**

*Законодательство и экспертное мнение

БАРЬЕРЫ В МАРШРУТЕ ПАЦИЕНТА СО СМА И ПУТИ РЕШЕНИЯ

ПЕРВИЧНЫЙ ПРИЕМ



ДИАГНОСТИКА



ЗАСЕДАНИЕ ЭКС



АДМИНИСТРИРОВАНИЕ



ТЕРАПИЯ И РЕАБИЛИТАЦИЯ



БАРЬЕРЫ

Низкая осведомленность врачей о СМА

Низкая доступность

Загруженность
Частота проведения

Длительность процессов

Ограниченный опыт ведения сложных пациентов

Недостаточные практические навыки

Низкая осведомленность родителей

ПУТИ РЕШЕНИЯ

Обучение врачей

Повышение доступности
Представленность в регионах
Пренатальная диагностика

Рассмотреть увлечение частоты проведения

Неснижаемый запас для орфанных ЛС
Более быстрая реакция на потребность

Обучение практическим навыкам
Обучение родителей
Взаимодействие врачей и родителей
Фокус на реабилитацию

janssen

The logo symbol for Janssen, a stylized blue 'J' shape that curves upwards and then downwards.

PHARMACEUTICAL COMPANIES OF

Johnson & Johnson