



## 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



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



PHARMACEUTICAL COMPANIES OF  
*Johnson & Johnson*