

## Счастливый билет лотереи Novartis | Une loterie médicale de Novartis

Auteur: Заррина Салимова, [Базель](#) , 02.01.2020.



© Novartis

Со 2 января компания AveXis, принадлежащая швейцарскому фармацевтическому гиганту Novartis, начнет распределять бесплатно, по принципу лотереи, самый дорогой лекарственный препарат в мире - Zolgensma, предназначенный для лечения спинальной мышечной атрофии у детей.

A partir du 2 janvier, AveXis, une entreprise du géant pharmaceutique suisse Novartis, va offrir le Zolgensma, médicament le plus cher du monde, par tirage au sort aux enfants

souffrant d'amyotrophie spinale.

## Une loterie médicale de Novartis

Спинальная мышечная атрофия (СМА) – это генетическое заболевание, связанное с мутациями гена SMN1, который кодирует белок SMN, необходимый для выживания моторных нейронов, контролирующих мышечную функцию. Без SMN моторные нейроны погибают, в результате чего нарушается работа мускулатуры ног, шеи, головы. Больные СМА испытывают трудности с дыханием и глотанием, не могут есть, сидеть, самостоятельно ходить.

Болезнь поражает в среднем 1 из 10 000 новорожденных во всем мире. Наиболее неблагоприятным считается младенческий тип СМА, который проявляется у малышей в возрасте до 6 месяцев – в этом случае средняя продолжительность жизни часто не превышает двух лет.

В мае 2019 года Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило для лечения СМА у детей до двух лет инновационную генную терапию Zolgensma (AVXS-101), разработанную компанией AveXis, входящей в швейцарский концерн Novartis. В ходе однократной инъекции препарата дефектный ген SMN1 «заменяется» на работающую копию. В организме пациента начинает производиться белок SMN, а выжившие моторные нейроны нормально функционируют. В результате, состояние детей значительно улучшается. На официальном сайте Zolgensma размещены видеоролики, на которых можно увидеть детей, участвовавших в клинических испытаниях Zolgensma и получивших инъекцию в возрасте нескольких месяцев. Три года спустя они играют, бегают, катаются на велосипеде, как все обычные дети. Успех лечения, впрочем, зависит от множества факторов, в частности, от стадии и тяжести заболевания.

Однократная инъекция Zolgensma, которая может подарить больным детям шанс на полноценную жизнь, стоит около 2,2 млн франков – это самый дорогой препарат в мире. На настоящий момент лекарственное средство одобрено только в США.

В середине декабря компания AveXis объявила о начале бесплатной [программы](#) распределения Zolgensma. К участию в программе допускаются больные СМА в возрасте до двух лет, проживающие в тех странах, где препарат пока не одобрен. Начиная со 2 января, запрос от имени пациента может направить его лечащий врач на адрес AveXisMAP@DurbinGlobal.com. Для прохождения терапии также необходимо разрешение Минздрава той страны, где находится пациент.

Счастливики, которые получают бесплатное лечение, будут выбраны по принципу лотереи. Раз в две недели специальная комиссия будет проводить розыгрыш и буквально тянуть жребий. Те, кто не был отобран в этот раз, смогут участвовать в следующей жеребьевке. В общей сложности в 2020 году AveXis планирует выпустить 100 бесплатных доз Zolgensma, количество которых ограничено производственными мощностями компании – препарат пока производится только в одной американской лаборатории.

Решение распределять по принципу лотереи жизненно необходимый препарат вызвало критику во многих странах мира. Так, Швейцарская федерация пациентов считает, что программа на самом деле является способом оказать давление на другие страны, чтобы они одобрили Zolgensma, сообщает RTS.

Ассоциация пациентов SMA Europe выпустила специальное коммюнике, в котором отметила, что каждая спасенная жизнь – это дар, но, тем не менее, назвала подход AveXis спорной практикой, которая заставит детей соревноваться между собой.

Компания AveXis признает, что эта программа не станет решением для всех семей во всех странах, но подчеркивает, что она основана на «принципах справедливости, клинической необходимости и глобальной доступности, чтобы наилучшим образом обеспечить справедливое распределение конечного числа доз, не отдавая предпочтение одному ребенку или конкретной стране». При разработке программы AveXis сотрудничала с независимым консультативным комитетом по биоэтике. Представитель компании также отметил в комментарии WSJ, что это трудная этическая дилемма, и идеального решения нет.

#### [отношения сша и швейцарии](#)

Статьи по теме

[Novartis против рака, склероза и мышечной атрофии](#)

[Novartis и Amgen разработали лекарство нового поколения от мигрени](#)

[Как устанавливается цена на лекарства?](#)

[Швейцарские ученые сделали шаг к победе над мышечной атрофией](#)

[Novartis инвестирует в российскую фармацевтику](#)

---

**Source URL:** <https://www.nashagazeta.ch/news/sante/schastlivyy-bilet-loterei-novartis>