

Протокол № 128
заседания Формулярной комиссии
Министерства здравоохранения Республики Казахстан

г. Астана

«16» июля 2025 года

Председествовал: Адильхан Жандос Койшыбаевич, Заместитель председателя Формулярной комиссии Министерства здравоохранения Республики Казахстан.

Участвовали: Бексултанова Анжела Айдарбековна, Бегалиева Гулдей Турехановна, Костюк Александр Владимирович.

в режиме ZOOM: Ясылов Ермек Амангазынович, Ожмухаметова Эльвира Келгембаевна, Юхневич Екатерина Александровна, Смагулова Газиза Ажмагиевна, Баянбердиева Айгуль Турлыгуловна, Кинятов Аслан Кинятович.

Отсутствовали: Нурлыбаев Ержан Шакирович (трудовой отпуск), Макалкина Лариса Геннадиевна (трудовой отпуск), Алдиярова Нургуль Тлеубаевна (трудовой отпуск).

Секретарь: Байшагирова Гульбану Базарбаевна.

Повестка заседания:

1. О рассмотрении проблемных вопросов ТОО «СК-Фармация» по незакупленным лекарственным средствам по исключению из Перечня закупа Единого дистрибьютора, в том числе вопросы закупа контрацептивных средств.

Докладчик: Есбатырова Лаззат Муратовна – директор департамента совершенствования лекарственной политики РГП на ПХВ «Национальный научный центр развития здравоохранения им. Салидат Каирбековой».

Содокладчик: Мусин Жанайдар Еркемкович – и.о. управляющего директора – член правления ТОО «СК-Фармация».

Содокладчик: Калмыкова Наталья Анатольевна – начальник управления производственного анализа ТОО «СК-Фармация».

Содокладчик: Халыкова Шакизат Джаксынбетовна - руководитель управления охраны здоровья матерей департамента охраны здоровья матери и ребенка.

2. О рассмотрении вопросов актуализации Перечня амбулаторного лекарственного обеспечения по Сахарному диабету и онкологических заболеваний.

Докладчик: Костюк Александр Владимирович – внештатный советник Министра здравоохранения Республики Казахстан.

3. О рассмотрении вопроса по лекарственному средству Нусинерсен.

Докладчик: Алтынова Венера Ханапиевна – директор департамента по медицинским и регуляторным вопросам КФ «University Medical Center», и.о. руководителя Республиканского центра орфанных заболеваний.

4. Разное.

Кворум для принятия решений Формулярной комиссией имеется (участвует – 10 человек, отсутствует – 3 человек).

Приглашенные:

Текебаева Латина Айжановна – главный внештатный детский врач-невролог;

Табаров Адлет Берикболович – заместитель председателя правления РГП на ПХВ «Национальный научный центр развития здравоохранения им. Салидат Каирбековой».

По вопросу «О рассмотрении проблемных вопросов ТОО «СК-Фармация» по незакупленным лекарственным средствам по исключению из Перечня закупа Единого дистрибьютора, в том числе вопросы закупа контрацептивных средств» докладывались Есбатырова Л.М., Мусин Ж.А, Халыкова Ш.Ж.

Решение об исключении принимается в соответствии с приказом и.о. Министра здравоохранения Республики Казахстан от 24 декабря 2020 года № ҚР ДСМ-324/2020 Об утверждении правил формирования перечня закупа лекарственных средств и медицинских изделий в рамках гарантированного объема бесплатной медицинской помощи и (или) в системе обязательного социального медицинского страхования:

14. Принятие решения об **исключении лекарственных средств и изделий медицинского назначения из перечня закупа** Формулярной комиссией рассматривается по инициативе уполномоченного органа при наличии одного из следующих оснований:

1) **исключении** лекарственного средства из **Казахстанского национального лекарственного формуляра** и (или) **Перечня лекарственных средств** и медицинских изделий для бесплатного и (или) льготного **амбулаторного обеспечения** отдельных категорий граждан Республики Казахстан с определенными заболеваниями (состояниями) с учетом лекарственной формы, дозировки, концентрации и объема;

2) **включении альтернативных лекарственных средств** и изделий медицинского назначения, обладающих доказанными клиническими и (или) фармакоэкономическим преимуществом, и (или) особенностями действия, и (или) большей безопасностью при диагностике, профилактике, лечении или реабилитации заболеваний, синдромов и состояний;

3) появлении **сведений о токсичности или высокой частоте нежелательных побочных явлений** при применении лекарственных средств и изделий медицинского назначения, представленных государственным органом в сфере обращения лекарственных средств и медицинских изделий;

4) **приостановлении применения лекарственных средств** и изделий медицинского назначения в Республике Казахстан **решением государственного органа** в сфере обращения лекарственных средств и медицинских изделий;

5) **отмене государственной регистрации** лекарственных средств и изделий медицинского назначения решением государственного органа в сфере обращения лекарственных средств и медицинских изделий;

6) **прекращении производства** лекарственных средств и изделий медицинского назначения либо их поставок в Республику Казахстан и (или) **отсутствии** лекарственного средства и (или) изделий медицинского назначения в Республике Казахстан **более одного календарного года** по информации производителя или его официального представителя в Республике Казахстан;

7) отсутствие заявки на закуп лекарственного средства или изделия медицинского назначения в течение трех лет, на основании информации, предоставленной Единым дистрибьютором.

При исключении лекарственного средства и (или) изделий медицинского назначения на основании подпунктов 1) и 6) настоящего пункта, переходящий остаток реализуется до истечения срока годности.

Из 95 позиций лекарственных средств и медицинских изделий критериям исключения соответствуют:

- 2 позиции лекарственных средств — по подпункту 7 критериев исключения пункта 14 правил формирования Перечня закупок ЕД:

№	ЛС/МИ	Медицинский кодекст түрі/Форма мед. помощи	ХПА/МНН	Дәрілік формасы/Лекарственная форма	ВНИМАНИЕ	Возможная причина не закупа
1	ЛС	Стационар	Доксазозин	таблетка 8 мг	3 года не закупается	нет регистрации
2	ЛС	Стационар	Сыворотка противодифте рийная	препарат, полученный из крови лошадей, подвергшихся гипериммунизации дифтерийным анатоксином. Сыворотка представляет собой прозрачную или незначительно опалесцирующую жидкость	3 года не закупается	нет регистрации

- 18 позиций — по подпункту 6 критериев исключения пункта 14 правил формирования Перечня закупок ЕД:

№	ЛС/МИ	Медицинский кодекст түрі/Форма мед. помощи	ХПА/МНН	Дәрілік формасы/Лекарственная форма	ВНИМАНИЕ	Возможная причина не закупа
1.	МИ	Стационар	Вакуумные пробирки стеклянные для гематологических исследований ЭДТА K2	1 мл		снят с производства
2.	ЛС	Стационар	Галотан	жидкость для ингаляционного наркоза 250 мл	2 года не закупается	снят с производства
3.	ЛС	АЛО; Стационар	Гидрокортизон	мазь 1%		не планируется поставка
4.	ЛС	Стационар	Гидрокортизон	суспензия (микрокристаллическая) для инъекций 2,5% 5 мл		не планируется поставка
5.	МИ	Стационар	Капилляры	80 мкл	2 года не закупается	снят с производства
6.	ЛС	Стационар	Кветиапин	таблетка 200 мг		снят с производства, не планируется поставка

7.	ЛС	Стационар	Натрия фолинат	раствор для инъекций 100 мг/2 мл		не планируется поставка
8.	ЛС	Стационар	Натрия фолинат	раствор для инъекций 400 мг/8 мл		не планируется поставка
9.	ЛС	АЛО; Стационар	Парацетамол	раствор для орального применения не менее 24 мг/мл не менее 90 мл		не планируется поставка
10.	ЛС	АЛО; Стационар	Прамипексол	таблетка 1 мг		не планируется поставка (снят с производства)
11.	ЛС	АЛО; Стационар	Прамипексол	таблетка 0.25 мг		не планируется поставка (снят с производства)
12.	ЛС	АЛО; Стационар	Сальметерол и Флутиказон	порошок для ингаляций 50 мкг/100 мкг 60 доз	2 года не закупается	не планируется поставка
13.	ЛС	АЛО; Стационар	Силиконы	суспензия оральная, 40 мг/мл 30 мл;		не планируется поставка
14.	ЛС	АЛО; Стационар	Симвастатин	таблетка 10 мг	2 года не закупается	не планируется поставка
15.	ЛС	АЛО; Стационар	Симвастатин	таблетка 20 мг		не планируется поставка
16.	ЛС	АЛО; Стационар	Трамадол	капсула 50мг	2 года не закупается	не планируется поставка
17.	ЛС	Стационар	Хлорамфеникол	порошок для приготовления раствора для инъекций 1000 мг	3 года не закупается	не планируется поставка ввиду геополитической ситуации на Украине
18.	ЛС	АЛО; Стационар	Циклезонид	аэрозоль для ингаляций 80 мкг/доза 60 доз		не планируется поставка

В дальнейшем необходимо будет актуализировать список закупа Единого дистрибьютора на основании действующих долгосрочных договоров, Перечня АЛО и Казахстанского национального лекарственного формуляра.

Протокольным поручением Министром здравоохранения было поручено проработать закуп контрацептивных средств совместно с ЮНФПА (UNFPA).

По результатам обсуждения членами Формулярной комиссии Министерства здравоохранения Республики Казахстан приняты решения **РЕКОМЕНДОВАТЬ:**

1. **Исключить из перечня закупа Единого дистрибьютора 17 позиций ЛС и МИ («За» - 7: Адильхан Ж.К., Бексултанова А. А., Бегалиева**

Г.Т., Ожмухаметова Э. К., Смагулова Г. А., Юхневич Е. А., Ясыллов Е. А.; «Против» - 1: Костюк А. В.; Не голосовали - 2: Баянбердиева А.Т., Кинаятов А.К.):

- 1 позицию ЛС в соответствии с подпунктом 7 критериев исключения пункта 14 правил формирования Перечня закупок ЕД:

1) Стационар, Доксозин, таблетка 8 мг;

- 16 позиций ЛС и МИ в соответствии с подпунктом 6 критериев исключения пункта 14 правил формирования Перечня закупок ЕД:

№	ЛС/МИ	Форма мед. помощи	ХПА/МНН	Лекарственная форма
1	МИ	Стационар	Вакуумные пробирки стеклянные для гематологических исследований ЭДТА К2	1 мл
2	ЛС	Стационар	Галотан	жидкость для ингаляционного наркоза 250 мл
3	ЛС	АЛО; Стационар	Гидрокортизон	мазь 1%
4	МИ	Стационар	Капилляры	80 мкл
5	ЛС	Стационар	Кветиапин	таблетка 200 мг
6	ЛС	Стационар	Натрия фолиат	раствор для инъекций 100 мг/2 мл
7	ЛС	Стационар	Натрия фолиат	раствор для инъекций 400 мг/8 мл
8	ЛС	АЛО; Стационар	Парацетамол	раствор для орального применения не менее 24 мг/мл не менее 90 мл
9	ЛС	АЛО; Стационар	Прамипексол	таблетка 1 мг
10	ЛС	АЛО; Стационар	Прамипексол	таблетка 0.25 мг
11	ЛС	АЛО; Стационар	Сальметерол и Флутиказон	порошок для ингаляций 50 мкг/100 мкг 60 доз
12	ЛС	АЛО; Стационар	Силиконы	суспензия оральная, 40 мг/мл 30 мл;
13	ЛС	АЛО; Стационар	Симвастатин	таблетка 10 мг
14	ЛС	АЛО; Стационар	Симвастатин	таблетка 20 мг
15	ЛС	АЛО; Стационар	Трамадол	капсула 50мг
16	ЛС	АЛО; Стационар	Циклезонид	аэрозоль для ингаляций 80 мкг/доза 60 доз

- Направить в Объединённую комиссию по качеству медицинских услуг МЗ РК письмо с предложением пересмотреть клинические протоколы по рассмотренным позициям лекарственных средств.

- Рассмотреть вопрос обеспечения контрацептивными средствами на заседании с участием представителей ЮНФПА (UNFPA), а также ДОЗМИР МЗ РК.

По вопросу «О рассмотрении вопросов актуализации Перечня амбулаторного лекарственного обеспечения по Сахарному диабету и онкологических заболеваний» доложил Костюк А.В:

По результатам голосования членами Формулярной комиссии Министерства здравоохранения Республики Казахстан по вопросу «О рассмотрении вопросов актуализации Перечня амбулаторного лекарственного обеспечения по Сахарному диабету и онкологических заболеваний» приняты решения **РЕКОМЕНДОВАТЬ**:

1. **Исключить из нозологии «Сахарный диабет» Перечня амбулаторного лекарственного обеспечения группу агонистов рецепторов GLP-1 («Лираглутид», «Дулаглутид») («За» - 8: Адильхан Ж.К., Баянбердиева А.Т., Бексултанова А. А., Бегалиева Г.Т., Ожмухаметова Э. К., Смагулова Г. А., Юхневич Е. А., Ясыллов Е. А.; Не голосовали - 2: Костюк А. В., Кинаятлов А.К.);**

2. **Исключить Перечня Амбулаторного лекарственного обеспечения по нозологии «Онкологические заболевания» («За» - 8: Адильхан Ж.К., Бексултанова А. А., Бегалиева Г.Т., Ожмухаметова Э. К., Смагулова Г. А., Юхневич Е. А., Ясыллов Е. А., Кинаятлов А.К.); Не голосовали - 2: Костюк А. В., Баянбердиева А.Т.):**

- 1) Летрозол, таблетка;
- 2) Афатиниб, таблетка;
- 3) Эрлотиниб, таблетка;
- 4) Ципротерон, таблетка, раствор для инъекций;
- 5) Гозерелин, имплантат пролонгированного действия для подкожного введения;
- 6) Лейпрорелин, лиофилизат для приготовления раствора для подкожного введения, порошок лиофилизированный для приготовления суспензии для инъекций;
- 7) Вакцина БЦЖ, порошок для приготовления суспензии для интравизикального введения в комплекте с растворителем;
- 8) Вемурафениб, таблетка;
- 9) Кобиметиниб, таблетка;
- 10) Интерферон альфа 2b, раствор для инъекций;
- 11) Интерферон альфа 2a, раствор для инъекций;
- 12) Тегафур, капсула;
- 13) Эритропоэтин (Эпоэтин альфа), раствор для инъекций;
- 14) Эритропоэтин (Эпоэтин бета), раствор для инъекций.

По вопросу «О рассмотрении вопроса по лекарственному средству Нусинерсен» доложились Алтынова В.Х. и Текебаева Л.А. (приложение 1):

По результатам обсуждения Формулярной комиссией Министерства здравоохранения Республики Казахстан **рекомендовано:**

- Пригласить на заседание по данному вопросу представителя отечественного товаропроизводителя лекарственного средства «Нусинерсен» для обсуждения ценового предложения, а также представителей РГП «НЦЭЛС» по вопросам эффективности и безопасности зарегистрированного препарата.

Прилагаются приложения и аудиограмма на электронном носителе.

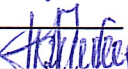
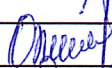
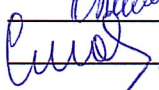
**Заместитель Председателя
Формулярной комиссии МЗ РК**



Адильхан Ж.К.

Члены Формулярной комиссии МЗ РК:

**Секретарь
Формулярной комиссии МЗ РК**

	Баянбердиева А. Т.
	Бегалиева Г.Т.
	Бексултанова А. А.
	Кинаятов А. К.
	Костюк А. В.
	Ожмухаметова Э. К.
	Смагулова Г. А.
	Юхневич Е. А.
	Ясылов Е. А.
	Байшагирова Г.Б.

Оценка эффективности терапии препаратом Нусинерсен (Спинраза)

Терапия СМА. Эффективность Нусинерсен (Спинраза)

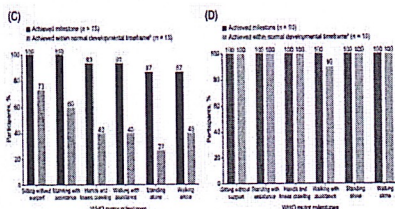
- Варианты лечения СМА продвинулись вперед с появлением трех ключевых препаратов: нусинерсен, онасемноген абепаровек и рисдиплам.
- **Нусинерсен (Спинраза®)** действует путем склеивания фрагментов гена *SMN2*, чтобы увеличить выработку полноразмерного белка *SMN*, который отвечает за осуществление двигательных функций, что привело к значительному их улучшению у детей с СМА как с ранним, так и с поздним началом и одобрено к применению независимо от возраста пациента, количества копий *SMN2* или двигательных способностей.
- СМА классифицируется на типы от 0 до 4 в зависимости от возраста появления симптомов и тяжести снижения двигательной функции. Недавние достижения в лечении СМА, включая нусинерсен (Спинраза), онасемноген абепаровек (Золгенсма) и рисдиплам (Эврисди), значительно улучшили прогноз у пациентов с СМА.

NURTURE (NCT02386553) — это открытое исследование препарата Нусинерсен у детей с двумя копиями гена *SMN2* ($n = 15$) и тремя копиями *SMN2* ($n = 10$), которые начали лечение на досимптоматической стадии спинальной мышечной атрофии (СМА). Предыдущий анализ через ≥ 3 лет показал пользу в отношении **выживаемости, дыхательной функции, достижения моторных этапов развития, а также благоприятный профиль безопасности**. В данной публикации представлены данные ещё за два года наблюдения (дата отсечки: 15 февраля 2021 года).

Continued benefit of nusinersen initiated in the presymptomatic stage of spinal muscular atrophy: 5-year update of the NURTURE study

Thomas D. Crawford MD^{1,2}, Kathryn J. Swoboda MD^{3,4}, Cheryl C. Die Vries MD^{5,6}, Emmanouil Benetos MD^{7,8}, Wuh-Liang Hwu MD, PhD^{9,10}, Richard S. Finkel MD^{11,12}, Jamborn Kirschner MD¹³, Nancy L. Kuntz MD¹⁴, Abdir Hussen Hussen MD^{15,16}, Julie A. Parsons MD¹⁷, Asif Raza MD¹⁸, Montague M. Ryan MD MS^{19,20}, Russell J. Butterfield MD, PhD²¹, Hsiao-Ying Hsu MD²², Tzong-Shyan Chen MD^{23,24}, Valérie A. Bannister MD, PhD^{25,26}, Yuh-Jyh Jong MD, DMSc^{27,28}, Francis Shu MD²⁹, Cong Zhu PhD³⁰, Stephanie Raymond MD³¹, Tiffany R. Liao MD³², Angela D. Partridge MD³³, Richard Foster MSc³⁴, Russell Chan MD³⁵, Zdenek Berger PhD³⁶ | on behalf of the NURTURE Study Group

Результаты исследования. Безопасность



- Дети с тремя копиями гена *SMN2* достигли всех моторных вех развития по классификации Всемирной организации здравоохранения (ВОЗ), и у всех, кроме одного случая, это произошло в пределах нормальных сроков развития.
- Из детей с двумя копиями *SMN2*:
 - все 15 научились сидеть без поддержки,
 - 14 из 15 — ходить с поддержкой,
 - 13 из 15 — ходить самостоятельно.
- Средние баллы по расширенной шкале функциональной моторики Хаммерсмита (HFMSE) продолжали улучшаться.
- У подгруппы детей с двумя копиями *SMN2*, начальным амплитудным ответом сложного мышечного действия 22 мВ и отсутствием арефлексии на старте, были лучшие моторные и немоторные результаты, чем у всех остальных детей с двумя копиями *SMN2*.

- За период исследования, в том числе за дополнительные два года наблюдения ни одно нежелательное явление (НЯ) не было расценено как связанное с препаратом (см. Таблицу S5).
- У 10 участников (40%) отмечались НЯ, которые возможно были связаны с лечением, однако все они разрешились без прекращения терапии, за исключением протеинурии и клонуса у 2 детей.
- У 12 участников (48%) наблюдалось одно или более серьезных нежелательных явлений (СНЯ), и ни одно из них не было расценено как связанное с применением препарата.
- Ни один участник не прекратил лечение и не вышел из исследования из-за побочных эффектов.
- Случаев менингита, гидроцефалии, почечной или печёночной недостаточности не зарегистрировано.
- Клинически значимых изменений, связанных с применением нусинерсена, в показателях крови, биохимии, мочи, коагулограмме, жизненно важных функциях или ЭКГ также не наблюдалось.

Выводы:

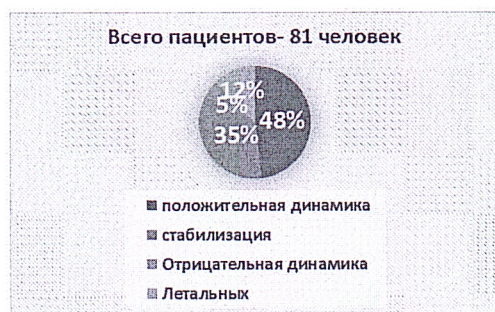
Таким образом, Нусинерсен (Спинраза) прошёл многочисленные международные клинические исследования и продемонстрировал доказанную эффективность и безопасность. Результаты рандомизированных контролируемых испытаний подтверждают его положительное влияние на выживаемость, моторное развитие и качество жизни пациентов, при этом профиль безопасности остаётся благоприятным даже при длительном наблюдении.

Опыт применения Нусинерсен (Спинраза) в Казахстане

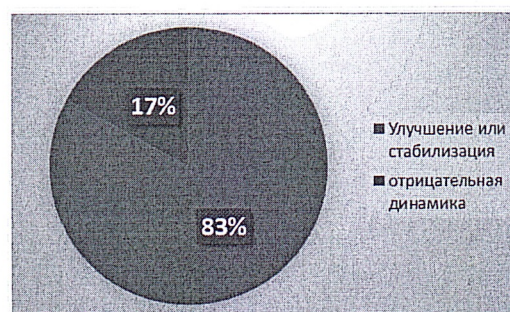
В нашем исследовании оценивается безопасность и эффективность нусинерсена (Спинраза) у детей в реальных клинических условиях с наблюдением в течение 4 лет (2021-2025 годы) в Республике Казахстан.

- В нашем отчете представлены данные об эффективности терапии Нусинерсеном у 81 детей с генетически подтвержденной СМА в течение 4 летнего периода наблюдения.
- Все участники получили интратекальные нагрузочные дозы 12 мг Нусинерсена на 1, 14, 28 и 63 дни, затем поддерживающие дозы каждые четыре месяца.
- Функциональные оценки проводились с использованием шкалы CHOP-INTEND для детей раннего возраста до 2 лет, HFMSE если пациенты после 2 лет.
- Данные собирались во время плановых визитов пациентов, включая клинические лабораторные анализы и параметры основных показателей жизнедеятельности (респираторная поддержка, самостоятельное дыхание и глотание), а также регистрировались нежелательные явления после введения.
- В отчет не включены пациенты, которые не получили препарат вследствие отказа от лечения из-за сколиоза или отказа родителей из-за трудности введения препарата.
- В соответствии с пунктом 3 статьи 177 Кодекса Республики Казахстан от 7 июля 2020 года "О здоровье народа и системе здравоохранения" «Правила формирования перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения» имеется четкий механизм включения заболеваний и препаратов в этот перечень, включая требования к наличию клинических данных и уровню доказательности (Минимально допустимый уровень С).
- 3 декабря 2016 года Нусинерсен (Спинраза) получил FDA approval
- В августе 2022 Нусинерсен (Спинраза) вошел в список АЛО

Структура пациентов с терапией Нусинерсен. Динамика



Результаты: Из 81 детей, в возрасте от 1 месяца до 18 лет получивших Нусинерсен - 39 пациентов (48%) показали выраженную положительную оценку функционального статуса по шкале до 5 баллов, у 35% пациентов (28 человек) наблюдалось стабильное состояние с сохранением двигательных навыков, и только у 5% пациентов (4 человека) наблюдалась отрицательная динамика, в виде снижения по шкале более 3 баллов



- Через 6 месяцев среднее увеличение баллов составило 2,2 балла, продолжаясь до 4 баллов через 12 месяцев.
- К концу исследования у 83% пациентов наблюдалась либо стабилизация, либо улучшение, при этом у нескольких пациентов наблюдались значительные клинические улучшения (8 пациентов прибавили от 5 баллов и выше)

Результаты терапии в РК

- Препарат Нусинерсен (Спинраза) имеет четырёхлетний опыт применения на территории Казахстана. За время наблюдения он подтвердил свою клиническую эффективность и безопасность, способствуя улучшению моторных функций, стабилизации состояния пациентов с СМА и демонстрируя хорошую переносимость в условиях реальной клинической практики
- Лечение Нусинерсеном (Спинразой) значительно улучшает двигательную функцию у детей с СМА 1, 2 и 3 типов.
- Данное исследование демонстрирует важность раннего и непрерывного лечения, при этом у большинства пациентов наблюдается постоянное улучшение или стабилизация двигательной функции.
- Эти результаты подтверждают эффективность Нусинерсена (Спинразы) в лечении СМА; однако необходимы дальнейшие меры для оценки улучшения результатов в виде усиления работы мультидисциплинарной команды, профилактики вирусных инфекций и постоянного доступа к препарату.

Нежелательные явления и летальные случаи

- Нусинерсен в целом переносился хорошо, наиболее частыми нежелательными явлениями были головная боль, боль в пояснице после люмбальной пункции, боли в ногах, рвота, головокружение, корешковый синдром, субфебрильная температура, которые купировались в течение 72 часов
- На лечении Нусинерсеном наблюдались летальные случаи после присоединения инфекции ОРВИ, пневмонии, кори у 12% (10 человек) с тяжелым типом СМА 1 типа.
- Важно отметить, что 7 пациентов со СМА 1 и 2 типа умерли, не дождавшись терапии, в течение 6 месяцев (Астана, Тараз, Жамбылская область, Алматы, Туркестанская область).

Информация и выводы по ЛС Нусинерсен «Лантесенс»

- Химический аналог Нусинерсен «Спираза» производится в России
- Данный препарат был разработан компанией «Генериум» и зарегистрирован 15 апреля 2024 года в Минздраве РФ
- Не применялся на территории США и Европы, имел клинические испытания только на территории РФ. На момент регистрации проведение исследований биоэквивалентности **in vivo (на живых организмах) не проводилось**. Исследовалась только идентичность воспроизведенного и референсного препаратов по качественному и количественному составу действующих и вспомогательных веществ.
- Не имеет одобрения FDA
- Нет открытых источников с информацией о результатах проведенных клинических испытаний по оценке эффективности и безопасности
- фонд «Помощь семьям СМА» (РФ) отправил обращение в Научный центр экспертизы средств медицинского применения Минздрава России в апреле 2025 года от имени 567 пациентов, которые принимают средства с действующим веществом Нусинерсен. В нем семьи пациентов сообщили о недоверии к российскому аналогу от компании «Генериум»
- Нусинерсен в целом переносился хорошо, наиболее частыми нежелательными явлениями были головная боль, боль в пояснице после люмбальной пункции, боли в ногах, рвота, головокружение, корешковый синдром, субфебрильная температура, которые купировались в течение 72 часов
- На лечении Нусинерсеном наблюдались летальные случаи после присоединения инфекции ОРВИ, пневмонии, кори у 12% (10 человек) с тяжелым типом СМА 1 типа.
- Важно отметить, что 7 пациентов со СМА 1 и 2 типа умерли, не дождавшись терапии, в течение 6 месяцев (Астана, Тараз, Жамбылская область, Алматы, Туркестанская область).

Заключения ЭК по неврологии детской:

- Имея многолетний опыт применения препарата Спинраза в странах Европы и США (более 70 стран по всему миру), а также четырёхлетний опыт наблюдения на территории Казахстана, члены Экспертного Комитета по детской неврологии при РЦОЗ считают, что имеются обоснованные основания для продолжения терапии пациентов, уже получающих лечение, а также для назначения Спинразы первичным пациентам со спинальной мышечной атрофией.
- В то же время, в условиях отсутствия достаточной доказательной базы по эффективности и безопасности нового препарата, который не прошел все этапы клинических испытаний, назначение его пациентам не представляется возможным.
- Нусинерсен «Лантесенс» не нашел широкого применения в стране регистрации