

**Выступление Михаила Беяева
на 9^й международной конференции FOR.Italia
Рим, Италия**

20-21 марта 2015г.

В 2009 году группа энтузиастов из России и Беларуси положила основу Российскому сообществу страдающих фибродисплазией – FOP Russia. Учитывая давние связи стран бывшего СССР и отсутствие языковых барьеров сообщество сразу объединило участников из Украины и Беларуси. В 2009 году было профессионально переведено руководство по терапии заболевания за авторством Пенсильванского университета. Также была опубликована статья «Фибродисплазия» в русской Википедии. Весной 2013 года заработал официальный сайт сообщества – forrussia.ru И вот наконец весной 2014 года наша организация была зарегистрирована в Министерстве Юстиции РФ. МОО «Живущие с ФОР» получила статус официальной организации с более широкими полномочиями и возможностями. И летом 2014 года в Москве состоялась 1-я Международная конференция по фибродисплазии с последующим клиническим осмотром 19 пациентов. В мероприятии принимали участие ведущие специалисты по фибродисплазии в России, а так же руководитель лаборатории по исследованию фибродисплазии Пенсильванского университета Фредерик Каплан и заведующий детским отделением больницы города Гармиш-Партенкирхен Рольф Морхарт из Германии. Мероприятие было обеспечено профессиональным синхронным переводом, всем необходимым для нужд инвалидов-колясочников и для клинического осмотра больных. Российские ученые и медики оценили прошедшую встречу как мероприятие высокого класса имеющее огромное значение.

За два последних года нашей деятельности мы уже добились значительных успехов. Мы наладили активную связь с различными государственными органами, с Министерством здравоохранения и многими специализированными научно-медицинскими учреждениями.

Мы ведем активную деятельность в Интернет где сегодня уже доступно большое количество материалов на русском языке, как информационных для обычных людей, так и специализированной медицинской информации. Так же мы продолжаем целенаправленно рассылать врачам и медицинским специалистам в России, Украине и Беларуси информацию по заболеванию. Эти знания позволят врачам снизить вероятность неправильной диагностики FOP и PОН. Благодаря такой постоянной информационно-просветительской деятельности находят новые люди с FOP. И это несомненно большой результат. В данный момент численность нашего сообщества, которое уже включает в себя Россию, Украину, Беларусь, Грузию, Эстонию и Казахстан составляет 50 человек с диагнозами FOP и PОН. А если следовать статистике, FOP хотя и редкое заболевание 1 (один) случай на 2 (два) млн. человек, потенциальное количество пациентов с FOP на территории России и стран бывшего Советского Союза может насчитывать примерно 170 человек. Кроме того мы готовы и можем также оказывать помощь и поддержку сообществам пациентов из других стран – Болгария, Сербия, Македония, Турция, Иран и другие, где еще не столь активно развита деятельность.

Благодаря серьезной научной и медицинской школе, Россия сегодня имеет квалифицированных врачей, имеет современное научное и медицинское оборудование и высококвалифицированных ученых и специалистов. Однако научным изучением FOP в России не занимаются. Тем не менее, проблеме нашего очень редкого заболевания

уже уделяется серьезное внимание как со стороны государства, так и со стороны медицинских клиник. И это полностью наша заслуга. Проведенная в Москве летом прошлого года 1-я Международная конференция оказала огромное влияние на информированность как специалистов, так и СМИ и простых людей. Мы сумели привлечь внимание к нашей проблеме ведущих научно-медицинских учреждений России, прежде всего в Москве и Санкт-Петербурге, получили одобрение и поддержку в Министерстве здравоохранения РФ. Также благодаря во многом усилиям нашего сообщества уже сегодня генетическая диагностика заболевания доступна всем пациентам FOP и PОН не только в России, но и на Украине, в Белоруссии и жителям других соседних государств.

В июле этого года в Москве состоится 2-я Международная конференция посвященная проблемам FOP в России. В отличие от прошлого в этом году конференция продлится 3 дня и мы надеемся что в этот раз будет еще более активный интерес со стороны врачей. Эти встречи имеют огромное значение как для пациентов, так и для врачей. Пациенты получают возможность пройти клинические осмотры у лучших мировых специалистов по FOP и получить ценные рекомендации, а врачи необходимые знания и опыт. И конечно же мы будем делать все возможное чтобы эти встречи были ежегодными.

Мы стараемся обеспечивать публикации в прессе по нашей проблеме и выпускать информационные видео про FOP на русском языке. Нами запланирована целая серия интервью с российскими специалистами по нашей проблеме. Также мы стараемся информационно поддерживать больных FOP и в соседних с нами странах. Сейчас это прежде всего Украина, Белоруссия, Грузия, Эстония и Казахстан. А также проектом нашего сообщества является открытие международного интернет-портала для жителей стран Восточной Европы и Западной и Центральной Азии с информацией по заболеванию на национальных языках.

В меру своих возможностей мы стараемся оказывать помощь и решать проблемы, которые стоят перед нашими больными. Конечно же у нашего сообщества есть свои специфические российские проблемы на которых мне хотелось бы остановиться немного подробнее.

Главной проблемой является квалифицированная медицинская помощь. Я повторяю, научным изучением FOP в России не занимались. Поэтому нет закрепленных за FOP специалистов, нет практики лечения, нет утвержденных регламентов по медикаментозному лечению, а рекомендации иностранных специалистов не всегда могут быть приняты во внимание по нормам закона. Особо остро здесь стоит проблема стоматологической помощи, имеющая серьезную специфику и специалистов по этому вопросу в России на сегодняшний день нет. Мы конечно же стараемся повышать информированность врачей и специалистов и ведем в этом направлении активную деятельность. Для нас стало бы большой помощью видеть на предстоящей летом в июле этого года конференции в Москве кого-нибудь из врачей-стоматологов профессионально знакомым с FOP для осмотра наших пациентов и консультирования российских врачей-стоматологов с особенностями практического лечения пациентов с

FOP. Подобные встречи в целом имеют огромное значение для повышения уровня знаний и информированности о FOP, а особенно стоматология сегодня очень важная необходимость для нас.

Много проблем и в социальной сфере. Дотации инвалидам в России по мировым стандартам очень скромные. Например, помощь от государства ребенку-инвалиду составляет меньше 200\$ в месяц. При этом чаще всего мать такого ребенка вынуждена не работать, чтобы заботиться о нем. Трудоустройство взрослых же инвалидов тоже не простая задача. Хотя здесь и действует государственная программа, но найти работу бывает очень сложно, а учитывая особенности нашего заболевания подчас посильной работы для нас просто нет. И в большинстве случаев инвалиду просто ничего не остается как верить, ждать и надеяться только на помощь от государства.

Другой важной проблемой является обеспечение удобными электрическими инвалидными колясками. На сегодня колясками обеспечено меньше половины больных FOP остро нуждающихся в этом. Учитывая специфические особенности FOP нам подходит далеко не каждая инвалидная коляска. К сожалению ввиду недостаточного финансирования от государства, особенно в регионах, не всегда удается получить даже обычную электрическую инвалидную коляску, не говоря уже о специальных. Мы постоянно ведем работу в этом направлении, ищем возможности, спонсоров, дополнительную помощь от государства.

Также просто огромной проблемой для нашей страны в целом и для больных FOP в частности являются большие расстояния. Инфраструктурные ограничения, социальные проблемы и слабое развитие транспорта в отдаленных регионах России в Сибири и на Дальнем Востоке часто физически не позволяют пациентам с FOP из этих регионов получать необходимую квалифицированную медицинскую помощь. Поэтому для нас важно вовлекать в работу крупные региональные медицинские центры, заинтересовывать, обучать и подготавливать специалистов по FOP.

На данный момент в США и Европе проводятся испытания препарата Palavarotene, который возможно останавливает прогрессирование нашего заболевания. Мы обратились в Министерство здравоохранения с вопросом о возможных перспективах применения такого препарата в России в будущем. И вот такой мы получили ответ (видео).

Мне бы хотелось особенно отметить тот факт, что при проведении 3-ей фазы клинических испытаний в России, будущее лекарство станет доступным больным FOP уже через полгода/год после его официального лицензирования в США и Европе. В том случае, если же клинические испытания не будут проводиться на территории России, препарату предстоит пройти долгий и сложный путь легализации и лекарство станет доступно российским больным, как показывает аналогичная практика, лишь только через 3-5 лет. Такие вот сложности с лицензированием медицинских препаратов конечно связаны с различиями и несогласованностью Российского, Европейского и Американского законодательства в сфере здоровья и фармацевтики.

Позвольте я сейчас немного подробнее расскажу о важности и принципиальном значении проведения 3-ей фазы клинических испытаний именно в России.

Российское сообщество FOP Russia одно из крупных сообществ больных FOP. Многие готовы и изъявили свое желание принять участие в этом исследовании. Однако ввиду особых экономических и политических сложностей выехать для этого в Европу или Америку многим не представляется возможным. Хочу как показательный пример привести прецедент с Анной Ильиной – мужественной девочкой из города Самара. Анна изъявила желание принять участие в Clinical Trials в Париже. Три месяца ушло на оформление для нее Французской визы. К сожалению да, в России это действительно проблема. Когда же визу все-таки оформили у Анны началась Flare Up. Глава исследований в Париже дополнительно запросила особую медицинскую страховку. При этом какую именно конкретно объяснить так и не смогла. Позже глава исследований в Париже перестала отвечать и на наши письма. Какой итог мы имеем? Девочка в острой фазе Flare Up имея желание не может попасть на Clinical Trials. Американской визы у Анны тоже нет и делать визу это опять долгий срок. И мы не уверены что опять не возникнет проблем со страховкой. Мы очень благодарим Эрика Соллмана, одного из членов дирекции Clementia Pharmaceuticals Inc. который очень помогает нам с решением всех этих вопросов. Но ситуация очень важная – большинство участников нашего сообщества практически лишены возможности участвовать в Clinical Trials и Natural History Study. И это очень важный аргумент в пользу проведения всех клинических исследований в России.

Вторым важным моментом хотелось бы отметить, что у нас уже есть как минимум 2 научных медицинских центра в Москве и Санкт-Петербурге полностью готовых к проведению 3-ей фазы испытаний. У них для этого имеются все возможности. Есть все необходимые разрешения и лицензии, есть необходимый опыт в проведении международных исследований такого уровня, имеются специалисты со знанием предметной области и при этом свободно владеющие английским языком. А главное, у них есть желание принять исследование. Мы уже провели необходимые переговоры и получили предварительное согласие от обоих центров. Но, как уже говорилось выше, Россия – большая страна. А как нас заверили в Министерстве здравоохранения РФ подобные клинические испытания как правило мультицентровые и не исключена возможность что дополнительно будут открыты центры в Сибири и на Дальнем Востоке на базе региональных медицинских учреждений. А это просто откроет возможности участия в Clinical Trials практически для всех желающих. Также нас заверили в Министерстве здравоохранения Российская законодательная база позволяет без особенных сложностей начать 3-ий этап исследований в России. Это отработанный механизм который не потребует долгих согласований. Более того подобные клинические исследования всегда приветствуются.

И еще важный факт который особо хочу отметить. По Российскому законодательству чтобы пациент мог получать помощь и дополнительные льготы от государства, необходимо чтобы заболевание могло быть остановлено или вылечено. В случае признания препарата орфанным государством будет обеспечено выделение финансовых квот на препарат и лечение. А это даст серьезный стимул врачам

заниматься лечением и возможность практически всем больным FOP получить на это лечение финансовую помощь. Подобная практика широко используется при лечении других заболеваний.

Подводя итог всему сказанному я бы хотел обратиться к международной организации IFOPA и Clementia Pharmaceuticals Inc. с нашим активным предложением провести 3-ю фазу клинических испытаний в России, так как от такого решения напрямую зависит жизнь и здоровье российских больных FOP и выход препарата Palavarotene на Российский фармацевтический рынок.

Я благодарю вас за внимание. От лица всего сообщества FOP Russia я хочу поблагодарить доктора Фредерика Каплана (университет Пенсильвании, США) и доктора Рольфа Морхарта (Германия) за их неоценимый труд. Мы с нетерпением ждем вас летом в Москве на предстоящей конференции. Также я хочу поблагодарить международную организацию IFOPA и Clementia Pharmaceuticals Inc. за всестороннюю помощь, а также за информационную и финансовую поддержку.