русфонд/rusfond.ru **23 года**

ПОМОГАЕМ ПОМОГАТЬ
**rusfond.ru/app**

**Валерий Панюшкин,**
ГЛАВНЫЙ РЕДАКТОР РУСФОНДА

# Треть всей науки

## Лекарственное регулирование уничтожает онкогематологию

**Завтра — Международный день детей, больных раком. Положение в российской детской онкологии можно описать словами «неплохое, но быстро ухудшается». В начале февраля 142 онкогематолога из разных регионов России обратились в Минздрав РФ с тревожным письмом: онкогематология стагнирует, медицинского прогресса нет, есть регресс. И главная причина — лекарственное регулирование, законы, обязывающие врачей лечить пациентов не оригинальными импортными препаратами, а их отечественными аналогами.**

На первый взгляд кажется, что онкогематологи борются за возвращение препарата онкаспар. Он много лет входил в базовый протокол лечения многих онкогематологических заболеваний. Потом компания-производитель передала производство другой компании, и препарат на территории России автоматически лишился регистрации. Законы устроены так, что теперь вместо онкаспара все российские клиники вынуждены покупать его российский аналог — веро-аспарагиназу. Можно было бы закупать онкаспар и без регистрации, но всем российским клиникам его нужно на 300 млн руб. в год. К тому же законы устроены так, что незарегистрированные лекарства можно покупать только конкретному пациенту, а онкаспар нужен назавтра, оптом, пациентам, которые еще только поступят в клинику.

Веро-аспарагиназа показала себя препаратом менее эффективным: количество рецидивов лейкоза у детей, по словам заместителя директора НМИЦ имени Дмитрия Рогачева (Москва) Алексея Масчана, выросло с 4 до 15%. Но худо-бедно это лекарство лечит — таков аргумент надзорных органов. Лекарство для пациентов, конечно, похуже, но зато лучше для экономики, бюджета, отечественного производителя, фармакологической безопасности страны — и что там еще можно противопоставить благу пациентов.

Нет! Онкаспар является одним из базовых препаратов протокола «Москва — Берлин». Протокол «Москва — Берлин» — это первая, еще 20 лет назад принятая в России современная методика лечения детей, больных раком крови. Благодаря этому протоколу смертность детей от лейкоза в России снизилась с 90 до 20%.

Кроме того, протокол «Москва — Берлин» — это большое многолетнее мультиклиническое исследование. Долгое время это было единственное в России мультиклиническое онкогематологическое исследование. Теперь это одно из трех мультиклинических исследований в этой области — всего трех.

То есть 20 лет назад российские и немецкие врачи выработали методику лечения детей, больных раком крови, и стали за состоянием всех этих детей следить. Следить во всех профильных клиниках страны не ради победных реляций, а ради того, чтобы методику постоянно совершенствовать. Для разных групп пациентов, для разных возрастов, для разных генетических особенностей пациентов, для разных видов лейкоза — это была огромная кропотливая работа.

И теперь из-под этой многолетней кропотливой работы выбито основание — один из базовых препаратов.

Пациентов, которые на третий день лечения начали принимать онкаспар, просто нельзя сравнить с пациентами, которые на третий день начали принимать веро-аспарагиназу. Все многочисленные факторы, влияющие на течение болезни и корректирующие методику лечения в мультиклиническом исследовании, просто перешибаются тем слоноподобным обстоятельством, что пациенты принимают не онкаспар, а веро-аспарагиназу. Что мы можем сказать о тонком влиянии генетических особенностей пациентов на течение разных видов лейкоза, если вместо хорошо исследованного препарата дети принимают отечественный дженерик, про который мы почти ничего не знаем?

Иными словами, лекарственное регулирование, импортозамещение не просто вынуждают наших детей лечиться препаратами похуже, а разом закрывают треть российской онкогематологической науки. У нас и так очень мало науки. В такой огромной стране, как наша, мультиклинических исследований в области онкологии должно производиться не три, а несколько сотен одновременно. Как годы понадобились, чтобы мы заметили положительный эффект от появления протокола «Москва — Берлин», так годы понадобятся, чтобы заметить, насколько в отсутствие этого протокола мы отстаем от мировой науки.

# Ирy Губренко ждут в Новосибирске в марте

НАДЕЖДА ХРАМОВА

**7 февраля в „Ъ“, на rusfond.ru и в эфире ГТРК «Кузбасс» мы рассказали историю 13-летней Иры из Кемеровской области. У девочки тяжелая деформация позвоночника, искривление прогрессирует и уже достигло 4-й степени, нарушены функции органов грудной клетки. Ире нужна срочная операция — установка на позвоночник специальной металлоконструкции. Рады сообщить: вся необходимая сумма (772 246 руб.) собрана. Спасибо, дорогие друзья.**

Всего с 7 февраля 28 956 читателей rusfond.ru, „Ъ“, телезрителей ГТРК «Кузбасс», «Волгоград-ТРВ», «Ингушетия», «Тула», «Томск», а также 143 региональных СМИ — партнеров Русфонда исчерпывающе помогли 27 детям на 25 432 097 руб.

**полный отчет**
rusfond.ru/**sdelano**

# Снова на переломе

## Десятилетнего мальчика спасет операция

**У Егора Вахрушева несовершенный остеогенез: кости у него хрупкие и постоянно ломаются. Болезнь старше Егора — первый перелом мальчик получил еще до рождения. После множества курсов лечения кости стали крепче, переломы случаются реже. Со временем Егор сможет ходить, как обычный здоровый ребенок. Но сейчас ему нужно укрепить правую ногу телескопическим штифтом, который удлиняется вместе с костями. Пока эта нога загипсована — после тяжелого перелома бедренной кости.**

**Егор хочет стать изобретателем, недаром ему хорошо дается математика. Но все-таки главная его мечта — бегать**
ФОТО НАДЕЖДЫ ХРАМОВОЙ

В день, когда все произошло, мама повела Егора в шахматный кружок. Дело было в начале декабря прошлого года.

— Егорка как-то неловко поставил ногу,— рассказывает Елена,— и вдруг закричал от боли. Буквально на ровном месте! И ведь не бежал, шел со мной за руку.

Вообще, переломы для Егора привычное дело. Обе ноги у него успели сломаться и срастись еще до рождения. Родился Егор со сломанной ключицей, а в три месяца — новый перелом. Ребенка направили на консультацию в республиканскую больницу в Ижевске, местный генетик поставила диагноз «несовершенный остеогенез». Поставить-то поставила, но дальше дело не двигалось. После очередного перелома Егору просто накладывали гипс и советовали в следующий раз быть поосторожнее. Хотя куда уж осторожнее, мама и так следит за ним чуть не круглые сутки.

Только через два года эта же генетик на конференции познакомилась с профессором Наталией Беловой и узнала, что заболевание можно лечить, узнала и о специальной программе помощи «хрустальным» детям в московской клинике GMS. И рекомендовала отвезти Егора туда на консультацию.

Врачи сказали, что Егору еще повезло: несовершенный остеогенез у него оказался не в самой тяжелой форме, поэтому лечение хоть и начато с опозданием, но есть надежда на хорошие результаты.

С двухлетнего возраста Егор прошел несколько курсов лечения в GMS на средства, собранные читателями Русфонда. Мальчик окреп, переломы стали случаться реже.

В два года, когда Егора только привезли в клинику, он даже не мог переворачиваться и садиться. А сейчас мальчик не только ходит, но и занимается плаванием. Со временем, возможно, даже будет бегать, как обычный здоровый ребенок его возраста.

Но пока кости еще недостаточно крепкие, особенно бедренные, сильно искривленные после нескольких тяжелых переломов. В пять лет Егору вставили в оба бедра специальные титановые штифты. Один после очередного перелома поменяли на новый, телескопический, который удлиняется по мере роста ребенка. А другой, в правой ноге, пока оставили. Егор потом признался маме, что уже давно замечал: с этим стержнем что-то не то. По утрам он старательно делал приседания, как велел врач, и чувствовал, что стержень сдвинулся, как будто вышел из кости и торчит.

Последний перелом оказался сложным, Егор до сих пор не может ходить. А сейчас это очень нужно — ведь в его жизни много чего изменилось. Во-первых, шахматы. Прошлой весной Егор получил 3-й юношеский разряд, а на недавно прошедшем турнире, в декабре,— том самом, на который они с мамой тогда не дошли,— он надеялся повысить свои показатели. А тут эта нога. Понятно, можно играть и лежа в постели, по интернету. Можно шахматные книжки читать. Но это все не так интересно. Егору нравится, когда напротив него живой соперник, а не компьютер. Ему и так почти не с кем дружить, потому что в школе он пока учится удаленно. Во-вторых, бассейн. Оказалось, что у несовершенного остеогенеза есть по крайней мере один маленький плюсик. Кости у Егора легкие, и он здорово держится на воде — легче, чем другие дети.

— Егорка в воде становится такой расслабленный,— говорит Елена.— Сначала побаивался, но очень быстро стал плавать и нырять.

Успехами в плавании Егор очень гордился. А тут эта нога.

В-третьих, английский. Неподалеку от дома есть хороший кружок, туда ходит много детей из местной школы. С английским дела шли хорошо — опять же до декабря.

— Егор лежит дома уже два месяца,— вздыхает Елена.— Сидит с гаджетами или читает детский детектив. Про то, как ребята занялись расследованием и нашли настоящие бриллианты.

Но быть сыщиком Егор не хочет. Он собрался стать изобретателем, недаром ему хорошо дается математика. Но все-таки главная его мечта — бегать. Правда, вначале надо научиться ходить самостоятельно, а не с мамой за руку. Для этого мальчику нужно укрепить правую бедренную кость раздвижным телескопическим штифтом. Мы уже не раз помогали Егору, осталось довести дело до конца. До осуществления его мечты уже недалеко.

**Алексей Каменский,**
Удмуртия

**КАК ПОМОЧЬ** | **ДЛЯ СПАСЕНИЯ ЕГОРА ВАХРУШЕВА НЕ ХВАТАЕТ 971 ТЫС. РУБ.**

**Педиатр Центра врожденной патологии клиники Глобал Медикал Систем (GMS Clinic, Москва) Алена Гаврина:** «У Егора несовершенный остеогенез средней тяжести. Из-за частых переломов образовались костные деформации обоих бедер. Для их исправления мы установили телескопический штифт в левое бедро. Но недавно произошел перелом правого бедра, ранее установленные стержни не выдержали нагрузки и сместились. Сейчас мальчику необходима экстренная операция — удаление несостоятельных стержней и установка в правое бедро телескопического штифта, который выдерживает большие нагрузки. Только так можно вернуть Егора к активной жизни».

Стоимость телескопического штифта и операции 1 344 000 руб. Компания LVMH Perfumes & Cosmetics (Seldico Russia) внесла 150 тыс. руб. ООО «Армос-Блок» внесло 100 тыс. руб. Компании, пожелавшие остаться неназванными, внесли еще 100 тыс. руб. Телезрители ГТРК «Удмуртия» соберут 23 тыс. руб.
Не хватает 971 тыс. руб.

Дорогие друзья! Если вы решили спасти Егора Вахрушева, пусть вас не смущает цена спасения. Любое ваше пожертвование будет с благодарностью принято. Деньги можно перечислить в Русфонд или на банковский счет мамы Егора — Елены Владимировны Юшкаревой. Все необходимые реквизиты есть в Русфонде. Можно воспользоваться и нашей системой электронных платежей, сделав пожертвование с банковской карты, мобильного телефона или электронной наличностью, в том числе и из-за рубежа *(подробности на rusfond.ru)*.

**Экспертная группа Русфонда**

# Не панацея

## Что говорят специалисты о новом лекарстве от СМА

**Русфонд получает много просьб помочь с покупкой золгензмы — препарата для генной терапии спинальной мышечной атрофии (СМА). Родители тяжелобольных детей надеются, что новое лекарство может остановить развитие болезни. На деле это не так, говорят и зарубежные, и российские специалисты.**

Один из крупнейших экспертов по СМА в Европе профессор Лоран Сервэ утверждает, что золгензма эффективна только для младенцев в возрасте до семи месяцев и не может вылечить детей, у которых уже проявились симптомы СМА. В Валлонском регионе Бельгии, где работает Сервэ, СМА входит в обязательную программу скрининга новорожденных. Это позволяет выявлять генетическое заболевание еще до появления симптомов.

Беспрецедентная цена золгензмы — свыше $2 млн за инъекцию — оправданна лишь в случае, если препарат дают младенцу до появления симптомов, заявил Сервэ в интервью изданию La Libre (перевод опубликован на сайте Русфонда: rusfond.ru/medicine/048).

В России СМА не входит в программу скрининга новорожденных. По оценкам благотворительного фонда «Семьи СМА», в стране ежегодно рождается около 200 детей с этим редким нейромышечным заболеванием, сейчас их примерно 3–5 тыс. В январе комитет Совета Федерации по социальному развитию приступил к рассмотрению возможности лечения таких больных за счет федерального бюджета — это касается и закупок спинразы, другого препарата для терапии СМА, зарегистрированного в России летом 2019 года. Однако, узнав о появлении «чудо-лекарства», родители пациентов хотят, чтобы их лечили золгензмой.

— Золгензма — действительно чудо, над которым долго работали,— говорит детский невролог клиники GMS (Москва) Мария Островская.— О том, что она наиболее эффективна в возрасте до семи месяцев, узнали сравнительно недавно. Исследования продолжаются. Уже известно, что золгензма имеет тяжелые побочные эффекты.

Наблюдения за применением золгензмы ведутся всего четыре года на небольшой группе из 25 пациентов, отмечает Светлана Артемьева, заведующая психоневрологическим отделением №2 НИКИ педиатрии имени Вельтищева (Москва):

— В том, что это эффективный препарат, сомневаться не приходится, но хватит ли одной инъекции на всю жизнь? Этот вопрос еще обсуждается. Может быть, в дальнейшем пациенту потребуется поддержка другими препаратами, тем же рисдипламом или спинразой,— у них разные точки приложения. Клинические исследования показывают, что все препараты, не только золгензма, наиболее эффективны, когда их начинают применять на ранней, досимптомной стадии СМА. Если лечить детей до шести месяцев, то действительно можно остановить прогрессирование болезни и ребенок будет развиваться соответственно возрасту. Но если симптомы уже есть и ребенок потерял какие-то двигательные функции, ситуация иная.

Скрининг новорожденных в России пока находится в стадии пилотного проекта. Если он окажется удачным, генетики будут добиваться введения его по всей стране, сообщила Артемьева.

Ольга Германенко, глава благотворительного фонда «Семьи СМА», говорит, что золгензму сопровождает агрессивный пиар, который действует на родителей пациентов:

— Эта шумиха приводит к тому, что золгензма воспринимается как панацея, как лекарство, которое может излечить ребенка независимо от того, на какой стадии заболевания он находится. Но все не так. СМА пока еще неизлечимое заболевание. При этом у нас сложности с доступом пациентов даже к зарегистрированному препарату — спинразе, и это действительно серьезная проблема.

**Оксана Пашина,**
корреспондент Русфонда

## Из свежей почты

**Захар Михалев, 6 лет, детский церебральный паралич, эпилепсия, требуется лечение. 154 224 руб.**
*Внимание! Цена лечения 196 224 руб.*
*Телезрители ГТРК «Чита» соберут 42 тыс. руб.*

Состояние новорожденного сына врачи оценили как тяжелое, по итогам обследования выявили внутриутробное заражение цитомегаловирусом. Он поразил печень, сердце и центральную нервную систему Захара. В девять месяцев у сына начались судороги, в год диагностировали ДЦП. Врачи подобрали Захару противосудорожную терапию, последний приступ у него случился два года назад. Со временем сын научился ползать, сидеть. Наилучших результатов мы достигли, когда начали лечение в Институте медтехнологий (ИМТ) в Чите. Сын стал больше двигаться, научился делать несколько шагов с поддержкой. Помогите оплатить дальнейшее лечение! *Валентина Михалева, Забайкальский край*

**Невролог ИМТ Елена Малахова (Москва):** «Необходимо научить мальчика самостоятельно стоять и ходить с поддержкой, улучшить его координацию движений, развить речь».

**Симона Колчу, 15 лет, скрытая расщелина верхней губы, недоразвитие верхней челюсти, требуется ортодонтическое лечение. 174 333 руб.**
*Внимание! Цена лечения 320 тыс. руб.*
*Компания «Металлоинвест» внесла 106 667 руб.*
*Телезрители ГТРК «Белгород» соберут 39 тыс. руб.*

Симона родилась со скрытой расщелиной верхней губы и расщелиной нёба. В полгода дочку прооперировали: закрыли нёбную расщелину. Но зубы росли криво, прикус формировался неправильно, усугубилась деформация верхней челюсти. Мы обращались к местным врачам, помочь они нам так и не смогли. Тогда мы поехали в московскую больницу. Там нам сказали, что без операции не обойтись, но сначала нужно провести ортодонтическое лечение. Оплатить его я не могу. Помогите! *Юлия Харитонова, Белгородская область*

**Руководитель Центра челюстно-лицевой хирургии Виталий Рогинский (Москва)**: «Необходимо расширить верхнюю челюсть и нормализовать прикус. После этого станет возможным проведение реконструктивной операции».

**Катя Подковыркина, 1 год, врожденная правосторонняя косолапость, рецидив, требуется лечение. 130 800 руб.**
*Внимание! Цена лечения 156 800 руб.*
*Телезрители ГТРК «Регион-Тюмень» соберут 26 тыс. руб.*

Катя родилась с подвернутой правой стопой, в три недели мы начали лечение: дочке провели курс гипсований и ахиллотомию. Это не помогло, стопа опять искривилась. Тогда врач назначил ношение брейсов. Но носить их не удавалось: стопа не фиксировалась, выскальзывала. Провели еще одну операцию, после которой Катюша сделала первые шаги. Мы так радовались! Но недолго: опять рецидив. Наконец нам посоветовали обратиться к ортопеду Антону Смирных. Он сказал, что Кате нужно провести ахиллотомию и перемещение мышцы. Лечение это платное, а денег у нас нет. *Татьяна Подковыркина, Тюменская область*

**Травматолог-ортопед Международной клиники восстановительной ортопедии Антон Смирных (Тюмень):** «Кате необходимы ахиллотомия и транспозиция передней большеберцовой мышцы на третью клиновидную кость. Перед этим — курс гипсований».

**Полина Лаптева, 5 лет, врожденный порок сердца, спасет эндоваскулярная операция. 116 251 руб.**
*Внимание! Цена операции 350 тыс. руб.*
*Компания «Трансойл» внесла 196 749 руб.*
*Телезрители ГТРК «Омск» соберут 37 тыс. руб.*

В прошлом году местные врачи выявили у Полины нарушение ритма сердца и множественные дефекты межпредсердной перегородки. Нам посоветовали поехать в Томский НИИ кардиологии. Там мы узнали, что у дочки три дефекта перегородки — размером 8, 3 и 2 мм. Правые камеры сердца уже увеличены, кровоток нарушен. Нужна срочная операция. Ее можно сделать без разрезания грудной клетки — при помощи специального импланта. После такой операции дочка забудет о болезни. Но проблема в том, что самим нам операцию не оплатить. Помогите, пожалуйста! *Людмила Лаптева, Омская область*

**Детский кардиолог НИИ кардиологии Виктория Савченко (Томск):** «После щадящей операции девочка быстро восстановится, окрепнет и сможет переносить все нагрузки».

*Реквизиты для помощи есть в фонде. Возможны электронные пожертвования (подробности на rusfond.ru).*

**Почта за неделю** 7.02.20–13.02.20

ПОЛУЧЕНО ПИСЕМ — **95**
ПРИНЯТО В РАБОТУ — **55**
ОТПРАВЛЕНО В МИНЗДРАВ РФ — **4**
ПОЛУЧЕНО ОТВЕТОВ ИЗ МИНЗДРАВА РФ — **4**

**все сюжеты**
rusfond.ru/**pomogite**; rusfond.ru/**minzdrav**

## О РУСФОНДЕ

Русфонд (Российский фонд помощи) создан осенью 1996 года для помощи авторам отчаянных писем в „Ъ“. Проверив письма, мы размещаем их в „Ъ“, на сайтах rusfond.ru, kommersant.ru, в эфире ВГТРК, в социальных сетях, а также в 147 печатных, телевизионных и интернет-СМИ. Возможны переводы с банковских карт, электронной наличностью и SMS-сообщением, в том числе из-за рубежа (подробности на rusfond.ru).
Мы просто помогаем вам помогать. Всего собрано свыше 14,2 млрд руб. В 2020 году (на 13 февраля) собрано 138 948 535 руб., помощь получили124 ребенка. Русфонд — лауреат национальной премии «Серебряный лучник» за 2000 год, входит в реестр НКО — исполнителей общественно полезных услуг. В 2019 году Русфонд выиграл президентский грант на проект «Совпадение. Экспедиция доноров костного мозга», а его Национальный РДКМ — президентский грант на проект «Академия донорства костного мозга», грант мэра Москвы на проект «Спаси жизнь — стань донором костного мозга» и грант Департамента труда и соцзащиты населения Москвы на проект «Столица близнецов». Президент Русфонда Лев Амбиндер — лауреат Государственной премии РФ.

**Адрес фонда: 125315, г. Москва, а/я 110; rusfond.ru; e-mail: rusfond@rusfond.ru**
**Приложение для айфона и андроида rusfond.ru/app**
**Телефон: 8-800-250-75-25 (звонок по России бесплатный), 8 (495) 926-35-63 с 10:00 до 20:00**