

Резолюция
II Всероссийский орфанный форум
Москва, 28 февраля -29 февраля 2020 г

Во II Всероссийском орфанном Форуме, посвященном Международному Дню редких болезней приняли участие более 300 экспертов и представителей общественных организаций из 32 регионов Российской Федерации.

В ходе форума обсуждались различные аспекты проблем редких заболеваний в Российской Федерации: законодательное регулирование, отечественное производство орфанных препаратов и лечебного питания, развитие генетической службы, системы диагностики и лечения редких заболеваний, доступность ургентной и паллиативной помощи, вопросы оплаты диагностики и терапии в рамках обязательного медицинского страхования (ОМС). Все участники отметили, что в нашей стране уже многое сделано для помощи больным с редкими заболеваниями, но прогресс в этой области медицины столь стремительный, что необходимо постоянно совершенствовать законодательство, медицинскую и социальную систему оказания помощи этим больным.

Участники форума приветствовали решение Правительства РФ расширить Программу высоко затратных нозологий (Программа ВЗН) на 7 орфанных заболеваний. В 2019 году было выделено из федерального бюджета 55,7 млрд рублей на закупку лекарств по 12 наиболее высокозатратным нозологиям. В 2020 году сумма увеличена до 61,8 млрд рублей. Увеличилось и количество наименований закупаемых препаратов – пять лет назад их было 18, сейчас уже 39. Федеральные закупки сейчас проводятся в полном объеме, в регионах же, к сожалению, обязательства по лекарственному обеспечению выполняются в зависимости от финансового положения конкретного субъекта федерации.

Необходимость формирования системного подхода к оказанию качественной медицинской помощи пациентам с редкими заболеваниями звучала в выступлениях большинства участников Форума. Также были отмечена острая необходимость разработки и принятия клинических рекомендаций для лечения редких заболеваний, определения порядка маршрутизации пациентов с редкими болезнями и создания единой федеральной Программы лекарственного обеспечения пациентов с жизнеугрожающими редкими орфанными заболеваниями, приводящими к инвалидизации и преждевременной смертности, а также «Дорожной карты» дальнейшего развития системы помощи пациентам с редкими заболеваниями. Именно такой подход позволит устранить дисбаланс и неравенство лекарственного обеспечения граждан, страдающих редкими заболеваниями.

Участники Форума выделили ряд проблем, которые требуют решения и отметили растущую обеспокоенность медицинского и пациентского сообщества недостаточным уровнем финансирования лекарственного обеспечения орфанных заболеваний.

Необходимо создание прозрачных и четких критериев для включения редких болезней в перечень высокозатратных нозологий и заболеваний, обеспечивающихся за счет средств федерального и региональных бюджетов.

Так для ряда редких болезней (болезнь Помпе, спинальная мышечная атрофия, недостаточность альфа 1 антитрипсина, дефицит лизосомной кислой липазы, идиопатический легочный фиброз, хронический миелофиброз, мукополисахаридоз IVa типа, острый миелоидный лейкоз и некоторые другие) на территории Российской Федерации зарегистрированы лекарственные препараты для патогенетического лечения, но данные заболевания не входят в перечни заболеваний, лекарственное обеспечение которых берет на себя региональный или федеральный бюджет, либо возможные ситуации, когда заболевания входят в государственные программы (например, муковисцидоз), но отсутствуют возможности текущие процедуры рассмотрения и включения лекарственных препаратов могут стать непреодолимым барьером для включения инновационной патогенетической терапии в программы возмещения.

Данная ситуация требует решения, так как пациенты испытывают значительные трудности при получении терапии в регионах. Идиопатическая легочная артериальная гипертензия и хроническая легочная гипертензия ассоциированная с заболеваниями соединительной ткани и пороками сердца – пример противоречия между формулировкой орфанного заболевания в перечне жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных заболеваний), приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан и их инвалидности (Перечень 17) и признанием орфанной только одной из его форм.

По данным Бюллетеня экспертного совета по редким заболеваниям при ГД РФ за 2019 год на лечение пароксизмальной ночной гемоглобинурии в России в 2019 году потрачено около 5 млрд рублей, что составило в среднем до 20% от региональных бюджетов на закупку лекарственных препаратов. Ожидалось, что программа ВЗН с 2020 года пополнится этим орфанным заболеванием, но этого не произошло. В то же время, в случае включения в перечень ВЗН пароксизмальной ночной гемоглобинурии, регионы получили бы возможность использовать освободившийся бюджет на обеспечение пациентов с другими орфанными заболеваниями.

Другим примером дисбаланса в равнодоступности необходимой лекарственной помощи является мукополисахаридоз IVa типа (МПС4a). Несмотря на то, что данное заболевание относится к той же самой терапевтической группе, что и мукополисахаридозы I, II и VI типов, он не обеспечивается за счет средств федерального бюджета, как остальные мукополисахаридозы. Это приводит к фактической дискриминации пациентов с МПС4a по отношению к другим пациентам с мукополисахаридозами.

Такие несоответствия формируют группы редких пациентов, имеющих разную степень доступа патогенетической терапии и несбалансированности права на жизненно необходимое лекарство.

Многие выступающие говорили о необходимости сделать доступными незарегистрированные орфанные препараты для пациентов с редкими заболеваниями, особенно если это единственная, жизнесохраняющая терапия, а также облегчить регистрацию для инновационных орфанных препаратов, особенно в случае заболеваний, для которых отсутствует лечение.

В выступлениях ведущих экспертов в области медицинской генетики была отмечена необходимость расширения программы массового и селективного скрининга на наследственные болезни, с целью улучшения раннего выявления редких болезней, позволяющие предотвращать инвалидизацию и преждевременную смертность.

В настоящее время лекарственное обеспечение в области редких заболеваний вынужденно требует все более существенных затрат со стороны федерального и региональных бюджетов. Текущий порядок формирования бюджетов на лекарственное обеспечение приводит к вынужденному противопоставлению между группами пациентов, формируя негативный социальный резонанс как у людей, принимающих решения, так и у населения в целом. Социальное напряжение диктует необходимость скорейшего изменения порядка формирования бюджетов и порядка самого лекарственного обеспечения. В странах с высоким уровнем развития систем здравоохранения вопросы обеспечения пациентов, страдающих жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями, приводящими к сокращению продолжительности жизни или их инвалидности, включены в государственные приоритеты, сформировано отдельное законодательство по разработке и обращению орфанных препаратов, разработаны механизмы обеспечения доступной лекарственной помощи пациентам.

С точки зрения социально-демографической политики, наряду с другими приоритетными направлениями, для российской системы здравоохранения и фармацевтической отрасли является важным развитие локального производства орфанных препаратов. С учетом возрастающих темпов появления подобных препаратов решения с целью удовлетворения потребностей национальной системы здравоохранения должны иметь

комплексный характер, в противном случае нагрузка на бюджетную систему будет нарастать.

Участники II Всероссийского орфанного форума просят:

Правительство РФ, Минздрав России, Минтруд России, Минпромторг России, Минфин России, Государственную Думу и Совет Федерации Федерального Собрания РФ: совершенствовать законодательную базу с целью повышения качества оказания медицинской помощи больным с редкими (орфанными) заболеваниями и, в первую очередь, в части их лекарственного обеспечения, а именно:

- Разработать и внедрить в РФ централизованную закупку лекарственных препаратов, имеющих статус «орфанный» для патогенетического лечения редких заболеваний за счет средств федерального бюджета: болезнь Помпе, спинально-мышечная атрофия, идиопатическая тромбоцитопеническая пурпура (ИТП), недостаточность альфа 1 антитрипсина, дефицит лизосомной кислой липазы, идиопатический легочный фиброз, идиопатическая лёгочная артериальная гипертензия, хронический миелофиброз, мукополисахаридоз IVa типа, болезнь Фабри, пароксизмальная ночная гемоглобинурия, фенилкетонурия и другие.

- Разработать отдельный алгоритм включения лекарственных препаратов, имеющих статус «орфанного» в перечень жизненно необходимых и важнейших лекарственных препаратов и другие ограничительные перечни.

- Разработать критерии, процедуры формирования и периодичность регулярного (не реже одного раза в год) пересмотра Перечня жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности.

- Предусмотреть в нормативно-правовых актах возможность длительного применения подобранных в федеральных медучреждениях специфических препаратов терапии для редких заболеваний с одними и теми же торговыми наименованиями.

- В рамках работы Комиссии Минздрава России по формированию льготных перечней при принятии решений руководствоваться критериями инновационности терапии, обладающей превосходящими характеристиками по эффективности, безопасности или пути введения (приема), а также принимать во внимание критерии значимого повышения качества жизни пациентов, достигнутого в результате применения инновационной терапии, с целью обеспечения качества медицинской помощи, оказываемой пациентам с редкими (орфанными) заболеваниями в соответствии с лучшими мировыми практиками

- Разработать и законодательно закрепить порядок организации обеспечения незарегистрированными лекарственными средствами (НЛС), включая четко прописанный источник финансирования закупки НЛС, с целью повышения доступности инновационных орфанных препаратов для редких больных.

- Создать законодательную базу для ведения регистров пациентов с редкими заболеваниями, для которых уже разработаны методы терапии, в том числе для болезней не входящих в перечень высокочатотных нозологий и 17 редких заболеваний, финансируемых за счет средств регионального бюджета

- Разработать и внедрить механизм позволяющий оказывать медицинскую помощь, включая и лекарственную терапию, в кратчайшие сроки с учетом ургентного характера течения некоторых орфанных заболеваний, в том числе и незарегистрированными лекарственными препаратами и специализированными продуктами лечебного питания.

- Разработать единую трехуровневую систему и внедрить порядок маршрутизации пациентов (детей и взрослых от 18 лет) обеспечивающую преемственность между медицинскими организациями первичного звена, и медицинскими организациями, оказывающими первичную специализированную, в том числе диагностическую, медицинскую помощь и федеральными медицинскими организациями, оказывающими

специализированную и высокотехнологическую медицинскую помощь с максимальным использованием телемедицинских технологий.

- Расширить перечень заболеваний для проведения неонатального скрининга.

- Разработать и внедрить нормативные правовые акты, направленные на развитие программ селективного скрининга на наличие курабельных наследственных заболеваний на ранней клинической стадии, в том числе в рамках проводимой диспансеризации детского населения

- Внедрять новые подходы к обеспечению пациентов с редкими заболеваниями, такие как: программы раннего доступа, ускоренная регистрация инновационных препаратов в России, применение программ «разделения рисков».

- Разработать критерии определения инновационного лекарственного препарата основанного на оценке влияния на качество и продолжительность жизни пациентов и особый порядок рассмотрения инновационных препаратов при включении в государственные программы.

- Разработать инструменты оплаты оказания медицинской помощи пациентам с редкими заболеваниями в рамках ВМП с учетом реальной стоимости тарифа, включающего препараты для патогенетической терапии, транспортные расходы пациентов и логистические затраты на транспортировку и хранение лекарственных препаратов с соблюдением требований холодной цепи.

- Урегулировать на федеральном уровне вопрос определения и оплаты законченного случая лечения больного с редким заболеванием при госпитализации его в стационар или дневной стационар для внутривенного, внутривенного, перорального или любого другого способа введения под контролем врача лекарственного препарата, получаемого пациентом за счет средств федерального или регионального бюджетов, с исключением санкций, налагаемых страховыми медицинскими организациями, за повторные госпитализации по поводу одного и того же заболевания в течение определенного периода времени.

- Внедрить инструменты совершенствования оказания медицинской помощи в стационарных условиях на региональном уровне путем выделения подгрупп клинико—статистических групп для орфанных заболеваний

- Усовершенствовать обеспечение орфанных онкогематологических заболеваний за счет средств ОМС, что позволит сбалансировать бремя регионального и федерального бюджетов

- Решить на законодательном уровне проблему обеспечения в домашних условиях лекарственными препаратами, энтеральным и парэнтеральным питанием, оборудованием для его введения, а также средствами ухода (расширение списка технических средств реабилитации (ТСР), для пациентов с редкими заболеваниями, такими как синдром короткой кишки, гемофилия, муковисцидоз (детей и взрослых), мукополисахаридозы всех типов и другие.

- Ввести в законодательство и в практику понятие и порядок оказания медицинской помощи «стационар на дому», включая медсестринскую и врачебную помощь, для пациентов с тяжелыми хроническими редкими заболеваниями, требующими регулярного пожизненного парэнтерального и энтерального введения препаратов, в том числе парэнтерального питания с использованием медицинских изделий, облегчающих внутривенный доступ, и расходных материалов и др., с последующим закреплением в системе ОМС достаточной тарификации услуг по введению препаратов, что приведет к удешевлению оказания помощи данной категории пациентов, снижению инфекционных осложнений (госпитальных) инфекций и улучшению качества жизни таких пациентов и их семей.

- Определить источники федерального бюджета и соответствующие коды бюджетной классификации для осуществления закупок орфанных лекарственных препаратов, при этом предусмотрев возможность назначения препаратов в стационарных и амбулаторных

условиях в зависимости от лекарственной формы и требований Инструкции по медицинскому применению. Для лекарственных препаратов парентерального введения, применяемых в условиях стационара или дневного стационара под контролем врача, предусмотреть механизм оплаты терапии за счет средств федерального бюджета, соответствующих коду бюджетной классификации для стационарного применения.

- Внедрить механизм дистанционной выписки электронных рецептов, доставки амбулаторных препаратов для пациентов с дистанционным консультированием по применению препарата.

- Проработать предложения по созданию региональных мультидисциплинарных референсных центров орфанных заболеваний и внести их в органы акондательной власти.

- Разработать единую трехуровневую систему и внедрить порядок маршрутизации

- С целью обеспечения быстрого и устойчивого доступности диагностики лечения для граждан Российской Федерации совместно с Министерством экономики, министерством здравоохранения разработать комплекс мер по поощрению локализации передовых зарубежных исследований, разработок и производства препаратов для диагностики и лечения орфанных заболеваний.-

- Ввести дополнения в номенклатуру медицинских услуг - включить тесты, которые применяются для лабораторной диагностики редких (орфанных) заболеваний.

- Принять меры по ускорению регистрации медицинских услуг для диагностики орфанных заболеваний, включенных в номенклатуру медицинских услуг, для возможности их реализации и оплаты в рамках системы ОМС

- Принять меры по беспрепятственному и справедливому установлению инвалидности у пациентов страдающих редкими заболеваниями, в частности, наследственными болезнями обмена веществ, с учетом особенностей их течения и необходимости особых мер государственной поддержки, включая лекарственное обеспечение, получение технических средств и услуг, социальную помощь и реабилитацию. Предусмотреть возможность проведения МСЭ путем телемедицинского освидетельствования.

- Предложить ввести в законодательные акты возможность бесплатного проезда для инвалидов на лечение и реабилитацию за счет средств ФСС в медицинские учреждения без указания их подчинения.

- Разработать и внедрить постоянно обновляемые обязательные курсы, в том числе в рамках программы непрерывного медицинского образования, обучения по редким заболеваниям при повышении квалификации врачей первичного звена здравоохранения, в том числе, педиатров, терапевтов, врачей общей практики, семейных врачей, врачей узких специальностей

- Резко расширить объем бюджетных мест для первичной специализации и постдипломного обучения по специальностям «медицинская генетика», лабораторная генетика.

Пересмотреть стандарт по специальности «медицинская генетика» с целью расширения возможностей амбулаторной и стационарной помощи для пациентов, страдающих редкими заболеваниями.