



# Редкие заболевания – совместные действия

Ю.А. Жулёв

сопредседатель Всероссийского союза пациентов, президент Всероссийского общества гемофилии

# Необходимые элементы системы



- Нормативная база
- Вопросы организации медицинской помощи
- Доступность и качество диагностики и медицинской помощи
- Регистры
- Доступность орфанных и инновационных лекарств
- Образование и информирование профессионального и пациентского сообществ
- Взаимодействие государства и гражданского общества

# Вопросы организации медицинской помощи



Отсутствует стратегия развития системы оказания медицинской помощи пациентам с редкими заболеваниями:

- закрепление полномочий и ответственности за специалистами и ЛПУ;
- взаимодействие между разными уровнями системы и отдельными специалистами;
- стратегия развития лекарственного обеспечения;
- маршрутизация пациента.

# Эволюция (революция?) лечения орфанных заболеваний



Как быстро будут доступны новые технологии?

Как быстро будут доступны новые лекарства?

Кто заплатит за спасение пациентов?

# Вехи лечения гемофилии



II в Н.Э. - первое упоминание о гемофилии в Вавилонском Талмуде

1828 - вводится термин «гемофилия»



Начало XX в. - гемофилия в европейских монархических домах.  
«Царская» болезнь

1940-е - начато применение цельной крови



1964 - начало производства криопреципитата

1968 - плазматические концентраты факторов, профилактика



1982 - первые случаи СПИД у больных гемофилией в странах Запада

1985 - первые вирусинактивированные концентраты факторов



Начало 1990-х - первые рекомбинантные концентраты факторов

2000-е - концентраты факторов пролонгированного действия



2018-19 - препараты подкожного введения

2020-е - генная терапия



# Маршрут орфанного лекарства

- регистрация;
- включение в льготные перечни (ЖНВЛП, ОНЛС, 7ВЗН);
- применение вне стандартов и перечней;
- применение незарегистрированных ЛС;

# Диалог



- Органы власти
- Научное сообщество
- Медицинское сообщество
- Фармацевтические компании
- Пациентские организации



**СПАСИБО ЗА ВНИМАНИЕ!**