



РЕЗОЛЮЦИЯ

Круглого стола «Актуальные вопросы организации и обеспечения медицинской помощи пациентам с орфанными заболеваниями. Проблемы и пути решения» Россия, Москва, 29 ноября 2019 года

На площадке X Всероссийского конгресса пациентов «Взаимодействие власти и пациентского сообщества как основа построения пациент-ориентированного здравоохранения в Российской Федерации» состоялся круглый стол «Актуальные вопросы организация и обеспечение медицинской помощи пациентам с орфанными заболеваниями. Проблемы и пути решения».

В работе круглого стола приняли участие представители пациентской организаций, представители экспертных, медицинских и общественных организаций, ключевые лидеры мнений.

Участники круглого стола обсудили разные аспекты проблем редких заболеваний в Российской Федерации: законодательное регулирование, развитие отечественного производства орфанных препаратов и лечебного питания, развитие системы централизованных закупок орфанных препаратов, диагностики, лечения, получения инвалидности, ургентной помощи, паллиативной помощи. Все участники отметили, что в нашей стране уже многое сделано для помощи больным с редкими заболеваниями, прогресс в этой области медицины столь стремительный, что необходимо постоянно совершенствовать законодательство, медицинскую и социальную систему оказания помощи этим больным, выделили ряд проблем, которые требуют решения и отметили растущую обеспокоенность медицинского и пациентского сообщества недостаточным уровнем финансирования лекарственного обеспечения орфанных заболеваний.

Бюджеты субъектов Российской Федерации в большинстве на данный момент являются дефицитными, что приводит к сложностям в своевременных и полных закупках лекарственных препаратов, в том числе для рассматриваемых заболеваний, и в свою очередь нарушает гарантированное право граждан на охрану здоровья. Вместе с этим следует учитывать, что отсрочка в начале терапии пациентов с данными заболеваниями или ее полное отсутствие значительно ухудшает прогноз пациентов и увеличивает риски смерти от осложнений.

Участники круглого стола «Актуальные вопросы организация и обеспечение медицинской помощи пациентам с орфанными заболеваниями. Проблемы и пути решения» приветствовали решение Правительства РФ передать следующие два орфанных заболевания в Программу высоко затратных нозологий (Программа ВЗН), поскольку согласно представленным в Ежегодном бюллетене экспертного совета по редким (орфанным) заболеваниям Комитета Государственной Думы по охране здоровья данным, в большинстве регионов РФ реальная потребность в финансировании лекарственного обеспечения граждан, страдающих редкими заболеваниями, значительно выше выделяемых субъектами РФ бюджетных ассигнований на данное направление.

Факт наличия дефицита бюджетов подтверждается данными, предоставленными в Ежегодном Бюллетене Экспертного совета по редким (орфанным) заболеваниям Комитета Государственной Думы по охране здоровья, согласно которым усредненный показатель дефицита на обеспечение заболеваний, входящих в Перечень, в 2017г. составил 28,1% (по данным 58 субъектов, 78,5% населения РФ). Дефицит бюджета только на обеспечение

непосредственно болезни Фабри и Ниманна-Пика тип С в 2017г. составил 46,4% (по данным 35 субъектов, 54,5% населения РФ).

Фактические расходы на закупку лекарственных препаратов для терапии болезни Фабри и Ниманна-Пика тип С по данным 2017г. составили более 0,5 млрд. руб., при численности пациентов, находящихся на терапии, равному 56. Вместе с этим, число пациентов, нуждающихся в терапии по данным этого же года составило 64. Таким образом, если бы все 64 нуждающихся пациента получали своевременную терапию, в полном объеме с точки зрения и дозировки, и частоты введения, а дефицит бюджета, равный 46,4%, отсутствовал, то совокупный бюджет на 2017г. составил бы 0,73 млрд. руб. или 11,4 млн. руб. на пациента в год. Исходя из представленных расчетов, и с учетом фактического числа пациентов, нуждающихся в терапии, которое по данным субъектов по состоянию на 1 сентября 2018г. составило 120 человек, совокупная потребность в бюджете на полный 2019г. составила 1,37 млрд. руб.

Вместе с этим следует учитывать, что, согласно нормативным документам, при закупках лекарственных препаратов за счет субъектов РФ, может быть реализовано право на применение региональной надбавки, которая в свою очередь не будет использоваться при централизации закупок, что приведет к экономии бюджета в среднем на 18% или 0,24 млрд. руб.

Таким образом, при централизации закупок лекарственных препаратов для терапии болезни Фабри и Ниманна-Пика тип С совокупный бюджет, позволяющий обеспечить всех нуждающихся пациентов в надлежащем объеме, составит 1,12 млрд. руб.

В выступлениях многих участников звучала необходимость создания системного подхода к оказанию качественной медицинской помощи пациентам с редкими заболеваниями. Необходимость разработать и принять клинические рекомендации для редких заболеваний, определить маршрутизацию пациентов с редкими болезнями.

Для редких болезней, входящих в перечень 24 (19) редких болезней - болезнь Фабри, болезнь Ниманна-Пика тип С, наследственный ангионевротический отек, пароксизмальная ночная гемоглобинурия препараты относятся к числу дорогостоящих, пациенты испытывают значительные трудности при получении терапии в регионах, поэтому, безусловно требуется передача финансирования этих редких нозологических форм на федеральный уровень. Более того, централизация закупок для данных нозологий позволит сократить финансовое бремя, в том числе и благодаря возможности передачи препарата из одного региона в другой.

Для ряда редких болезней (болезнь Помпе, дефицит лизосомной кислой липазы, спинальная мышечная атрофия, гипофосфатазия) инновационные препараты уже зарегистрированы, но заболевания не входят в Перечни нозологий, обеспечение которых берет на себя федеральный или региональный бюджет, что требует решения.

По данным общественных и правозащитных организаций, количество регионов, в которых пациенты из-за отказов в обеспечении были вынуждены обращаться в судебные инстанции, превышает половину от всех субъектов. Во многих из них судебные иски – чуть ли не единственный способ получить необходимое лечение. Пациенты не получают лекарства даже после вынесения судебного решения о необходимости терапии (яркие примеры – Татарстан, Нижний Новгород). В итоге, проходят месяцы, а иногда и годы от постановки диагноза до получения терапии.

Многие выступающие говорили о необходимости сделать доступными незарегистрированные орфанные препараты для пациентов с редкими заболеваниями, особенно если это единственная терапия или терапия сохранения жизни и требуется разработка четких критериев для обоснования закупок этих препаратов по жизненным показаниям из средств федерального бюджета.

Как было отмечено в выступлениях ведущих экспертов в области медицинской генетики, с целью улучшения качества и повышения доступности диагностики редких

болезней, необходимо разработать расширять и совершенствовать программы массового и селективного скрининга на наследственные болезни.

Участники круглого стола отметили следующее:

В настоящее время обеспечение высокочувствительных нозологий и редких заболеваний вынужденно требует все более существенных затрат со стороны федерального и региональных бюджетов. При сохранении прежнего порядка формирования бюджетов на лекарственное обеспечение эти средства перераспределяются с прочих групп пациентов, включая социально-значимые заболевания. Увеличение этого разрыва 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 граждан 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 приоритетными направлениями, для 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 круглого стола обращаются в Государственную Думу, Совет Федерации Федерального собрания, Правительство Российской Федерации Министерство здравоохранения, Министерство труда и социальной защиты:

1. Просить Правительство РФ, Минздрав 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 поэтапный план по внедрению централизованных закупок наиболее дорогостоящих орфанных препаратов для редких заболеваний за счет средств федерального бюджета.

- Внести понижающий поправочный коэффициент для порога к рекомендации включения в Перечни медицинского применения для орфанных лекарственных препаратов при проведении оценки клинико-экономических сведений.

- Разработать отдельный алгоритм включения лекарственных препаратов для лечения больных с редкими (орфанными) заболеваниями в перечень жизненно необходимых и важнейших лекарственных препаратов.

- Определить порядок формирования и пересмотра Перечня жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности.

- Осуществить пересмотр перечня орфанных лекарственных препаратов, ведение которого является полномочием Министерств здравоохранения Российской Федерации и применяемых для целей государственной регистрации лекарственных препаратов.

2. Просить Правительство России, Минздрав России, Государственную Думу разработать и законодательно закрепить порядок организации обеспечения незарегистрированными лекарственными средствами (НЛС), включая решение вопроса законодательного закрепления прав на финансирование за счет средств субъектов РФ или средств федерального бюджета.

3. Просить Федеральный фонд ОМС совместно с Минздравом России разработать инструменты оплаты оказания медицинской помощи пациентам с редкими заболеваниями в рамках ВМП с учетом реальной стоимости тарифа, включающего препараты для патогенетической терапии.

4. Просить Правительство РФ, Минздрав России, Минтруд России решить проблему доступности энтерального и парэнтерального питания, оборудования для его введения в том числе в амбулаторном сегменте, для пациентов с редкими заболеваниями, такими как синдром короткой кишки, муковисцидоз (детей и взрослых) и другие.

5. Просить Госдуму РФ, Правительство РФ, Минздрав России ввести в законодательство и в практику понятие «оказание медицинской помощи на дому» при специализированных клиниках для пациентов с тяжелыми хроническими редкими заболеваниями, требующих регулярного пожизненного введения препаратов, энтерального питания и др., что приведет к удешевлению оказания помощи данной категории пациентов и улучшению качества жизни таких пациентов и их семей (данный вид помощи давно используется во многих развитых странах мира).

6. Просить Правительство РФ, Минздрав России расширить перечень заболеваний для проведения неонатального скрининга за счет включения в перечень болезней для которых разработаны эффективные методы диетотерапии и медикаментозной терапии.

7. Просить Минздрав России и другие профильные органы власти разработать и внедрить постоянно обновляемые курсы обучения по редким заболеваниям при повышении квалификации врачей, как педиатров, так и терапевтов, узких специалистов.