



Вопрос дальнейшей федерализации лекарственного обеспечения редких (орфанных) заболеваний. Обзор текущей ситуации.

Ю.А. Жулёв
сопредседатель Всероссийского союза пациентов, президент Всероссийского общества гемофилии

Система централизованных закупок лекарственных препаратов для обеспечения пациентов с высокозатратными нозологиями



Федеральный закон от 26.04.2016 № 112-ФЗ «О внесении изменений в Федеральный закон «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации»

Зафиксирована система централизованных закупок на постоянной основе.

Система централизованных закупок лекарственных препаратов для обеспечения пациентов с высокозатратными нозологиями



Федеральный закон от 03.08.2018 № 299-ФЗ «О внесении изменений в Федеральный закон «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации»

Расширение перечня заболеваний по программе ВЗН:

- гемолитико-уремический синдром;
- юношеский артрит с системным началом;
- мукополисахаридозы I, II и VI типов.

Система централизованных закупок лекарственных препаратов для обеспечения пациентов с высокозатратными нозологиями



Федеральный закон от 27.12.2019 № 452-ФЗ «О внесении изменений в Федеральный закон «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации»

Расширение перечня заболеваний по программе ВЗН:

- апластическая анемия неуточненная;
- наследственный дефицит факторов II (фибриногена), VII (лабильного) X (Стюарта-Прауэра).



Система централизованных закупок лекарственных препаратов для обеспечения пациентов с высокозатратными нозологиями – предложения по дальнейшему расширению

Идиопатическая тромбоцитопеническая пурпура ИТП

- **Количество пациентов – 4 417, из них 925 – дети** (данные Экспертного совета, 25 марта 2019 г.)
- **Наличие регистра – Федеральный регистр**
- **Инвалидизация – 44%** (I Ежегодный бюллетень ЭС)
- **Зарегистрированный препарат – «элтромбопаг»** (включен в перечень ЖНВЛП); «ромиплостим» (включен в перечень ЖНВЛП)
- **Финансовая потребность на всех пациентов в регистре в год – 5 564 647 951 руб.** (данные Экспертного совета, 25 марта 2019 г.)
- **Обеспеченность патогенетической терапией в регионах – 29%** от всех пациентов, включенных в федеральный регистр (I Ежегодный бюллетень ЭС)
- **Дефицит финансирования лекобеспечения – 56%** (I Ежегодный бюллетень ЭС)
- **Дополнительно:** ИТП – второе по числу пациентов, включенных в Федеральный регистр редких жизнеугрожающих заболеваний; третье по показателям летальности среди заболеваний из перечня редких жизнеугрожающих (I Ежегодный бюллетень ЭС)

Система централизованных закупок лекарственных препаратов для обеспечения пациентов с высокозатратными нозологиями – предложения по дальнейшему расширению



Болезнь Фабри

- **Количество пациентов – 107, из них 31 – дети**
- **Зарегистрированный препарат – «агалсидаза альфа» (включен в перечень ЖНВЛП); «агалсидаза бета» (включен в перечень ЖНВЛП)**
- **Финансовая потребность на всех пациентов в регистре в год – 1 118 640 851 руб.** (данные Экспертного совета, 25 марта 2019 г)

и болезнь Нимана Пика

- **Количество пациентов – 37, из них 12-дети** (данные Экспертного совета, 25 марта 2019 г)
- **Зарегистрированный препарат – «миглустат» (включен в перечень ЖНВЛП)**
- **Финансовая потребность на всех пациентов в регистре в год – 245 204 104 руб.** (данные Экспертного совета, 25 марта 2019 г)
- **Наличие регистра – Федеральный регистр**
- **Инвалидизация – 61%** (I Ежегодный бюллетень ЭС, данные по Фабри и Нимана Пика не разделены)
- **Обеспеченность патогенетической терапией в регионах – 68%** от всех пациентов, включенных в федеральный регистр (I Ежегодный бюллетень ЭС, данные по Фабри и Нимана Пика не разделены)
- **Дефицит финансирования лекобеспечения – 46%** (I Ежегодный бюллетень ЭС, данные по Фабри и Нимана Пика не разделены)



Система централизованных закупок лекарственных препаратов для обеспечения пациентов с высокозатратными нозологиями – предложения по дальнейшему расширению

Пароксизмальная ночная гемоглобинурия (ПНГ)

- **Количество пациентов – 412, из них 8-дети** (данные Экспертного совета, 25 марта 2019 г)
- **Наличие регистра – Федеральный регистр**
- **Инвалидизация – 68%** (I Ежегодный бюллетень ЭС)
- **Зарегистрированный препарат – «экулизумаб»** (включен в перечень ЖНВЛП)
- **Финансовая потребность на всех пациентов в регистре в год – 9 682 094 817 руб.** (данные Экспертного совета, 25 марта 2019 г)
- **Обеспеченность патогенетической терапией в регионах – 53%** от всех пациентов, включенных в федеральный регистр (I Ежегодный бюллетень ЭС)
- **Дефицит финансирования лекобеспечения – 46%** (I Ежегодный бюллетень ЭС)
- **Дополнительно:** лекобеспечение при ПНГ - самая большая доля (26%) совокупных расходов субъектов на пациентов с редкими жизнеугрожающими заболеваниями



Система централизованных закупок лекарственных препаратов для обеспечения пациентов с высокозатратными нозологиями – предложения по дальнейшему расширению

Идиопатическая лёгочная артериальная гипертензия (ИЛАГ)

- **Количество пациентов – 918, из них 182 – дети** (данные Экспертного совета, 25 марта 2019 г)
- **Наличие регистра – Федеральный регистр**
- **Инвалидизация – 76%** (I Ежегодный бюллетень ЭС)
- **Зарегистрированный препарат – «мацитентан»** (включен в перечень ЖНВЛП); «риоцигуат» (включен в перечень ЖНВЛП); «илопрост» (не включен в перечень ЖНВЛП); «бозентан» (включен в перечень ЖНВЛП); «силденафил» (не включен в перечень ЖНВЛП)
- **Финансовая потребность на всех пациентов в регистре в год – 3 140 689 355 руб.** (данные Экспертного совета, 25 марта 2019 г)
- **Обеспеченность патогенетической терапией в регионах – 82%** от всех пациентов, включенных в федеральный регистр (I Ежегодный бюллетень ЭС)
- **Дефицит финансирования лекобеспечения – 31%** (I Ежегодный бюллетень ЭС)
- **Дополнительно:** иЛАГ – первое по показателям летальности среди заболеваний из перечня редких жизнеугрожающих, в том числе у детей (I Ежегодный бюллетень ЭС)



Система централизованных закупок лекарственных препаратов для обеспечения пациентов с высокозатратными нозологиями – предложения по дальнейшему расширению

Фенилкетонурия (ФКУ)

- **Количество пациентов (биоферин-чувствительная форма – 12%) – 616, из них 468 – дети**
- (данные Экспертного совета, 25 марта 2019 г)
- **Наличие регистра – Федеральный регистр**
- **Инвалидизация – 61%** (I Ежегодный бюллетень ЭС)
- **Зарегистрированный препарат – «сапроптерин» (включен в перечень ЖНВЛП)**
- **Финансовая потребность на всех пациентов в регистре в год – 2 046 678 557 руб.** (данные Экспертного совета, 25 марта 2019 г)
- **Обеспеченность патогенетической терапией в регионах – 8%** от всех пациентов, включенных в федеральный регистр
- **Дефицит финансирования лекобеспечения – 92%**
- **Дополнительно:** наличие федерального скрининга; пятое по показателям летальности у детей с заболеваниями из перечня редких жизнеугрожающих (I Ежегодный бюллетень ЭС)



Система централизованных закупок лекарственных препаратов для обеспечения пациентов с высокозатратными нозологиями – предложения по дальнейшему расширению

Спинальная мышечная атрофия (СМА)

- **Количество пациентов – 881, из них 712-дети** (данные опроса ВСП и ННИИ общ.здоровья им.Семашко)
- **Наличие регистра** - Благотворительный фонд помощи больным спинальной мышечной атрофией и другими нервно-мышечными заболеваниями «Семьи СМА»
- **Инвалидизация – 100%** (опрос ВСП и институт им. Семашко)
- **Зарегистрированный препарат – «нусинерсен»** (не включен в перечень ЖНВЛП)
- **Финансовая потребность на всех пациентов в регистре в год - 41 855 420 190 руб.** (1-ый год терапии), **20 927 710 095 руб.** (2-ой и последующие годы терапии)



Система централизованных закупок лекарственных препаратов для обеспечения пациентов с высокозатратными нозологиями – предложения по дальнейшему расширению

Болезнь Помпе

- **Количество пациентов – 41, из них 24 – дети** (данные опроса ВСП и ННИИ общ.здоровья им.Семашко)
- **Наличие регистра** - Федеральное государственное бюджетное научное учреждение «Медико-генетический научный центр имени академика Н.П. Бочкова»
- **Инвалидизация – 100%** (опрос ВСП и институт им. Семашко)
- **Зарегистрированный препарат – «алглюкозидаза альфа»** (не включен в перечень ЖНВЛП)
- **Финансовая потребность на всех пациентов в регистре в год - 1 065 402 000 руб.** (опрос ВСП и Семашко)



Система централизованных закупок лекарственных препаратов для обеспечения пациентов с высокозатратными нозологиями – предложения по дальнейшему расширению

Дефицит лизосомной кислой липазы (ДЛКЛ)

- **Количество пациентов – 39, из них 34-дети** (данные опроса ВСП и НИИИ общ.здоровья им.Семашко)
- **Наличие регистра** - Общероссийская общественная организация «Всероссийское общество редких (орфанных) заболеваний»
- **Инвалидизация – 64%** (опрос ВСП и институт им. Семашко)
- **Зарегистрированный препарат – «себелипаза альфа»** (включен в перечень ЖНВЛП)
- **Финансовая потребность на всех пациентов в регистре в год – 872 040 руб.** (данные Экспертного совета, 25 марта 2019 г)



Система централизованных закупок лекарственных препаратов для обеспечения пациентов с высокозатратными нозологиями – предложения по дальнейшему расширению

Мукополисахаридоз тип IVa (МПС Iva)

- **Количество пациентов – 35, из них 33 – дети** (данные опроса ВСП и ННИИ общ.здоровья им.Семашко)
- **Наличие регистра** - Ассоциация медицинских генетиков
- **Инвалидизация – 100%** (опрос ВСП и институт им. Семашко)
- **Зарегистрированный препарат – «элосульфаза альфа»** (не включен в перечень ЖНВЛП)
- **Финансовая потребность на всех пациентов в регистре в год – 1 441 147 370 руб.** (опрос ВСП и Семашко)
- **Дополнительно:** пациенты с иными типами МПС (тип I, II, VI) уже обеспечиваются лекарственной терапией за счет федерального бюджета

Диалог



- Органы законодательной и исполнительной власти
- Экспертный совет по редким (орфанным) заболеваниям Комитета Государственной Думы по охране здоровья
- Научное сообщество
- Медицинское сообщество
- Фармацевтические компании
- Пациентские организации



СПАСИБО ЗА ВНИМАНИЕ!