

Замены препаратов у пациентов с редкими заболеваниями и вопросы регистрации нежелательных явлений

Мясникова Ирина Владимировна

Председатель правления

Общероссийская общественная организация «Всероссийское общество редких(орфанных) заболеваний

Межрегиональная общественная организация «Помощь больным муковисцидозом»

28 февраля 2020 г., II орфанный форум Москва

Дженерики - факты

- **Дженерики применяются во всех странах мира. Их доля на рынке – от 20 до 80%** эти цифры зависят от общего благосостояния населения и от медицинской культуры населения.
- **Поскольку компании – производители не тратятся на исследования и клинические испытания, а только вкладываются в производство, их цена часто значительно ниже.** Больше количество пациентов могут получить к ним доступ и лечиться.



Дженерики

- **Однако не всегда дженерики одинаковы с брендированными препаратами**
- Дженериком может быть не всякий похожий препарат, а только тот, который обладает доказанной взаимозаменяемостью с оригиналом
- **Взаимозаменяемость 3 параметра:**
- **фармацевтическая эквивалентность** (степень схожести с препаратом-брендом по составу,
- **биоэквивалентность** (обычно рассматриваются скорость и степень всасывания в кровь) ,
- схожесть по **терапевтическому действию**
- *Однако по Российскому законодательству дженерик может быть допущен к производству и продаже, если он успешно прошел испытания только на биоэквивалентность.*

Обращения пациентов в ВООЗ

- С 2013 года в ВООЗ обращаются пациенты с РЗ:
- муковисцидоз (ферменты поджелудочной железы, антибиотики , гепатопротекторы),
- синдром Швахмана-Даймонда (ферменты поджелудочной железы), ЛАГ (силденафил) ,
- пациенты с проявлением эпилепсии и др. по поводу проблем с заменами препаратов. Пациенты сообщают о том, что по их мнению
- - не всегда препараты замены так же эффективны, как и оригиналы
- - периодически возникают нежелательные явления
- - бывает сложно зафиксировать нежелательные явления или неэффективность препаратов и добиться замены

Опрос МОО по РФ по нежелательным явлениям (60 субъектов РФ)

- Всего сообщений с 30.11.по 11.12.2019 - 112
- Вв антибиотики – 23
- Ингаляционные а\б - 20 Гоби , по 1 - Брамитоб, Тоби
- Пероральные а\б – 7
- Ферменты поджелудочной железы (микразим, эрмиталь) – 43
- УДХК - 17
- Все регионы жалуются на отказы в регистрации побочек и неэффективности

Сложности

- бывает сложно зафиксировать нежелательные явления или неэффективность препаратов замены особенно по месту жительства , тк педиатры и терапевты часто мало знакомы с особенностями редких заболеваний, пытаются госпитализировать пациентов для проверки, в больнице же отказываются что-либо фиксировать и еще раз тестировать, поскольку препарат не закуплен данным медучреждением, к том же показаний к госпитализации зачастую нет. Часто процедура многоступенчата и сложна: врач должен обратиться к клиническому фармакологу для отправки рапорта о НЯ, только с зарегистрированного компьютера в системе фармаконадзора; часто пациент получает отказ в замене препарата, поскольку в регионе нет на это денег , или приходится долго ждать закупки.
- - сложно получить решение врачебной комиссии о замене препарат и часто очень сложно добиться закупки даже по решению ВК.
- Все это приводит к нарушению непрерывности лечения пациентов, отказам от лечения, пациенты остаются без помощи, ухудшается их состояние, болезнь прогрессирует. Все это приводит к нервным ситуациям для пациентов и их семей, конфликтам.

Что делать?

- Необходимо ужесточить требования к дженерикам, внести в законодательство требование об обязательных исследованиях на терапевтическую эквивалентность особенно у тяжелых хронических заболеваний. Дженерики должны быть качественными с доказанной эффективностью у пациентов с конкретными редкими заболеваниями.
- Только препараты с доказанной терапевтической эквивалентностью должны закупаться для пациентов с редкими заболеваниями
- Необходимо создать центры экспертизы по различным РЗ, которые смогли бы дать оценку терапевтической эквивалентности препаратов.
- Необходимо перенастроить систему фармаконадзора, чтобы врачу и пациенту было удобно рапортировать о нежелательных и побочных явлениях и заменять препараты в случае необходимости.

Как изменить?

- Внести изменения в клинические рекомендации для детей
- Разработать клин. рекомендации для взрослых в крат. сроки
- Разработать рекомендации по индивидуальному подбору препаратов специалистами по МВ особенно для тяжелых инфекций
- Обеспечить доступность **всех** препаратов включая лечебное питание
- Работа с врачебным сообществом по вопросам фармаконадзора
- Открытие специализированных центров МВ (объединяющих стационарное и амбулаторное звено, диспансерно-динамическое наблюдение)
- Изменение системы госзакупок препаратов для больных МВ – 44ФЗ



Спасибо за внимание!