



Всероссийское  
общество  
орфанных  
заболеваний



Пресс-релиз

03.03.2020 г.

## **СИСТЕМА ОРГАНИЗАЦИИ ЛЕЧЕНИЯ ОРФАННЫХ ЗАБОЛЕВАНИЙ ДОЛЖНА БЫТЬ ЦЕНТРАЛИЗОВАНА**

Больные орфанными (редкими) заболеваниями должны получить доступ к современному лечению, в том числе, и инновационными препаратами, не зарегистрированными в России. Для этого закупка дорогостоящих лекарств должна быть переведена на федеральный уровень. Необходим комплексный подход к обеспечению качественной медицинской помощи таким пациентам, повышение профессиональной подготовки врачей и качества диагностики, развитие производства необходимых препаратов на российских предприятиях, разработка надлежащей нормативной базы.

Эти и другие ключевые вопросы обеспечения помощи пациентам с орфанными заболеваниями вошли в повестку II Всероссийского Орфанного форума, который состоялся 28-29 февраля 2020 года в Москве.

С 2019 года Форум ежегодно проводится по инициативе Всероссийского союза пациентов и Всероссийского общества орфанных заболеваний при поддержке Минздрава и Минпромторга России.

“За последние годы нам удалось изменить отношение к людям, страдающим орфанными заболеваниями, лечению таких болезней, организовать продуктивный диалог с Минздравом, Минпромторгом, медицинским и научным сообществом – и это далеко не все достижения пациентского движения”, – заявил сопредседатель Всероссийского союза пациентов Юрий Жулев, открывая форум.

258 нозологий на данный момент включено в утвержденный Минздравом России перечень орфанных заболеваний. В целом редкими заболеваниями в России страдает 1,5% населения России или около двух миллионов человек. Их лечение высокочрезвычайно, в том числе по причине отсутствия централизованного подхода к диагностике и лечению.

### **Централизация закупок**

Сегодня в России действуют две федеральных программы поддержки пациентов с орфанными заболеваниями. Первая, это федеральная программа "7 высокочрезвычайно нозологий", которая в 2019 году расширена за счет новых пяти заболеваний ("12 нозологий"), а с 2020 года дополнится еще двумя. Вторая – "жизнеугрожающие и хронические прогрессирующие редкие заболевания", объединяющая более 20 нозологий и действующая для пациентов в регионах.

55,7 млрд рублей в 2019 году было выделено из федерального бюджета на закупку лекарств по 12 наиболее высокочрезвычайно нозологиям. В 2020 году сумма увеличена до 61,8 млрд рублей. Увеличилось и количество закупаемых препаратов – пять лет назад их было 18, сейчас уже 39. Такие данные на Форуме привела директор департамента лекарственного обеспечения и регулирования обращения медицинских изделий Минздрава России Елена Максимкина.

Перечень высокочрезвычайно нозологий будет расширяться и дальше, поэтому федерализация закупок является наиболее эффективным решением. Такого мнения придерживаются представители власти и пациентских организаций.



Всероссийское  
общество  
орфанных  
заболеваний



“Обеспечение лекарствами пациентов с орфанными заболеваниями должно финансироваться из федерального бюджета, – подчеркнула Елена Максимкина. – Федеральные закупки сейчас проводятся в полном объеме, в регионах обязательства по лекарственному обеспечению выполняются в зависимости от финансового положения конкретного субъекта федерации. Проведение торгов централизованно поможет оптимизировать закупочные цены. Появится возможность перераспределять закупленные лекарства между пациентами, живущими в разных регионах. Сейчас готовятся поправки в законодательство о госзакупках с целью совершенствования закупок на региональном уровне”.

“По нашим наблюдениям, на уровне субъектов РФ в принятии решений существуют серьезные проблемы, – отметил сопредседатель Всероссийского союза пациентов Ян Власов. - Не помешает наличие конкретной нормы закона об ответственности регионов за неисполнение обязательств перед пациентами, на уровне регионов решения министерства должны быть обязательными для исполнения”.

### **Расширение перечня орфанных препаратов**

Повышение эффективности работы с фармкомпаниями, вывод новых препаратов на российский рынок – эти вопросы стали еще одной ключевой темой дискуссии на форуме.

“Мы видим несколько возможностей для обеспечения необходимой медицинской помощью пациентов с орфанными заболеваниями и снижения затрат государства на закупки дорогостоящих лекарств. Среди них – централизация закупок, реализация программ раннего доступа, регистрация инновационных препаратов в России,” – сообщил председатель Комитета по охране здоровья Государственной думы Дмитрий Морозов.

Важнейшее направление, которое также может обеспечить доступ пациентов к необходимому лечению - разработка и производство собственных лекарств. “Сейчас в разработке более 20 проектов, на поддержку которых из бюджета выделено 800 миллионов рублей – заявил Первый заместитель министра промышленности и торговли Сергей Цыб. – За последние годы создано несколько отлично работающих лекарств для лечения гемофилии. Планируется вывод на рынок препарата для лечения болезни Гоше, на стадии регистрации - лекарство от апластической анемии и ювенильного артрита, идут клинические испытания препаратов для лечения наследственного ангионевротического отека и мукополисахаридоза типа II. Запланированы доклинические испытания российского геннотерапевтического препарата для лечения спинальной мышечной атрофии”.

### **Что дальше**

"Следующим этапом в организации лечения пациентов с орфанными заболеваниями, должен стать переход на единый формат регионального и федерального законодательства, установлении понятных и прозрачных правил обеспечения пациентов препаратами. Закон есть, но он не выполняется, неправильно трактуется, неправильно выполняется маршрутизация пациента", – отметил Юрий Жулёв.

Трудности с диагностикой часто обусловлены недостаточными знаниями врачей. "Поиск способов лечения редких болезней до сих пор является вызовом не только для России, но и для всего мира. Редкие болезни – сложная и, как правило, дорогостоящая тема. С одной стороны, она затрагивает относительно небольшое количество людей, а с другой – является отражением развития инновационного направления в отечественной медицине," - подчеркнула Сопредседатель ВСП, Председатель правления Всероссийского общества орфанных заболеваний Ирина Мясникова.



Всероссийское  
общество  
орфанных  
заболеваний



"Необходимо решать вопрос точности диагностики и маршрутизации детей с орфанными заболеваниями. Это может быть решено в формате ресурсного центра, аккумулирующего все знания направления и также вырабатывающего стандарты лечения. Об этом просят родители, об этом говорят доктора. Следующий вопрос – информационного обеспечения: очень важно, чтобы родители получали своевременно ту информацию, которая им нужна", – с такой инициативой в рамках форума выступила уполномоченный по правам ребенка Анна Кузнецова.

Согласно данным, приведенным детским омбудсменом, за последние пять лет в России на 60% выросло число детей с редкими диагнозами, что в том числе связано с улучшением выявляемости.

Вместе с тем, в регионах вопрос диагностики орфанных патологий стоит по-прежнему остро. "Если врачи и сумеют поставить правильный диагноз, дальнейшие перспективы для пациента во многом зависят от уровня лабораторной диагностики. В целом она доступна в Москве, Санкт-Петербурге, Новосибирске, Уфе, в других городах – миллионниках такая возможность ограничена. Поэтому сложно в целом установить, какое реальное число смертей среди пациентов связано с редкими болезнями," – рассказала председатель экспертного совета Всероссийского общества орфанных заболеваний Екатерина Захарова.

Всего в 2020 году в работе Форума приняли участие около 300 делегатов, представлявших общественные организации пациентов, органы власти, медицинское и научное сообщество, СМИ.

Фотоархив Форума доступен по ссылке <https://bit.ly/2uJg2rq>

Информационная служба Всероссийского конгресса пациентов  
[www.patients.ru](http://www.patients.ru)