

КОМИТЕТ ГОСУДАРСТВЕННОЙ ДУМЫ ПО ОХРАНЕ ЗДОРОВЬЯ

РЕЗОЛЮЦИЯ РАСШИРЕННОГО ЗАСЕДАНИЯ ЭКСПЕРТНОГО СОВЕТА ПО РЕДКИМ (ОРФАННЫМ) ЗАБОЛЕВАНИЯМ

г. Москва, ул. Самарская, 1,
отель Radisson Blue Олимпийский

28 февраля 2020 года

Взаимодействие органов государственной власти с пациентскими, научными и общественными организациями представляется особенно актуальным для развития стратегических направлений организации медицинской помощи гражданам. Такое взаимодействие эффективнее всего в формате мероприятий, когда обмен мнениями экспертов и специалистов по вопросам от пациентов происходит напрямую.

29 февраля - Международный день редких заболеваний. Расширенное заседание Экспертного совета по редким (орфанным) заболеваниям приурочено к этому событию, чтобы повысить осведомленность общества о редких заболеваниях, а также привлечь внимание лиц, определяющих политику государства в области здравоохранения, к проблемам пациентов, страдающих орфанными заболеваниями.

Диагностика и лечение редких заболеваний стали доступны в конце 20 века благодаря развитию технологий генетического тестирования. Вместе с тем из-за небольшого количества пациентов большинство редких заболеваний мало изучены и менее 5% из них имеют доказанные методы лечения.

Впервые с редкими заболеваниями отечественная система здравоохранения столкнулась в 2007 году, когда в отдельную федеральную программу было выделено 7 нозологий, требующих применения лекарственных препаратов с высокой стоимостью, в том числе 4 редких заболевания (болезнь Гоше, муковисцидоз, гипопизарный нанизм, гемофилия). В Федеральном законе от 21 ноября 2011 года № 323-ФЗ «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» впервые ввелось понятие «редкое (орфанное) заболевание», а Федеральным законом от 22 декабря 2014 года № 429-ФЗ установлено понятие «орфанный лекарственный препарат». Следует отметить, что это было прецедентом в мировой практике: Россия – единственная страна, на законодательном уровне установившая понятие «орфанные заболевания» и основы организации медицинской помощи редким пациентам.

С 2012 года начинает формироваться система учета пациентов (Федеральный регистр), страдающих жизнеугрожающими и хроническими

прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями, приводящими к сокращению продолжительности жизни или к инвалидности, а обязательства по лекарственному обеспечению граждан с такими заболеваниями возлагаются на субъекты Российской Федерации.

В настоящее время на территории Российской Федерации живут пациенты с более чем 250 нозологическими формами и группами редких нозологий (суммарно это более 1000 нозологических форм), из которых только 28 включены в программы льготного лекарственного обеспечения федерального и регионального уровней, а пациенты учитываются в соответствующих федеральных регистрах.

Обязанность обеспечения льготными лекарственными препаратами таких пациентов привела к беспрецедентному росту расходов на эти цели в субъектах Российской Федерации: совокупный бюджет с 2012 года по 2020 год вырос в 4 раза. Доля расходов на лекарства для пациентов с редкими заболеваниями в региональных программах льготного лекарственного обеспечения в среднем увеличилась до 20%.

Основное финансовое бремя сформировали 10 жизнеугрожающих редких нозологий: пароксизмальная ночная гемоглобинурия (Маркиафавы-Микели), идиопатическая тромбоцитопеническая пурпура (синдром Эванса), мукополисахаридозы (тип I, тип II и тип VI), гемолитико-уремический синдром, легочная (артериальная) гипертензия (идиопатическая) (первичная), нарушения обмена ароматических аминокислот (классическая фенилкетонурия, другие виды гиперфенилаланиемии), юношеский артрит с системным началом, другие сфинголипидозы: болезнь Фабри (Фабри-Андерсона), Ниманна-Пика. Расходы на льготное лекарственное обеспечение пациентов с этими нозологиями в 2018 году составили более 80% бюджета субъектов Российской Федерации на все жизнеугрожающие редкие заболевания.

В среднем уровень обеспеченности лекарственными препаратами у пациентов с жизнеугрожающими редкими заболеваниями в 2018-2019 гг. составил 54%, а дефицит финансовых средств в бюджетах субъектов Российской Федерации – около 30%.

В рамках федеральной программы «7 высокочатотных нозологий» к 2019 году льготное лекарственное обеспечение за счет средств федерального бюджета получали 18 493 пациента с редкими заболеваниями. Федерализация с 2019 года лекарственного обеспечения еще пяти жизнеугрожающих редких заболеваний с преимущественно детской когортой пациентов (гемолитико-уремический синдром, юношеский артрит с системным началом, мукополисахаридозы тип I, II, VI) предоставила возможность лечения за счет

федерального бюджета каждому 5 ребенку, включенному ранее в Федеральный регистр лиц, страдающих жизнеугрожающими редкими заболеваниями. Федерализация с 2020 года еще 2-х нозологий (апластическая анемия неуточненная, наследственный дефицит факторов II, VII, X) дополнительно предоставит льготное лекарственное обеспечение за счет федерального бюджета 1 547 пациентам.

В период с 2012 по 2020 год в Российской Федерации зарегистрированы лекарственные препараты для лечения целого ряда редких заболеваний: дефицит лизосомной кислой липазы, мукополисахаридоз тип IVA, хроническая тромбоэмболическая легочная гипертензия, спинальная мышечная атрофия и другие. Учет пациентов с этими заболеваниями ведут общественные организации, однако получить льготную лекарственную терапию за счет бюджетов субъектов Российской Федерации можно только при наличии инвалидности, нередко по решению суда. Группа «новых» редких заболеваний (всего около 30) также нуждается в государственном «орфанном» регулировании.

В целях обеспечения системного подхода к совершенствованию медицинской помощи и лекарственного обеспечения пациентов с редкими (орфанными) заболеваниями, в том числе не включенными в льготные программы федерального и регионального уровней, необходимы качественные изменения, направленные на актуализацию нормативно-правового регулирования сферы организации медицинской помощи пациентам с редкими заболеваниями.

В связи с изложенным, участники заседания

р е к о м е н д у ю т:

Правительству Российской Федерации рассмотреть целесообразность предложений о необходимости:

1. Разработки плана дальнейшей работы по переводу на федеральное финансирование лекарственного обеспечения пациентов, страдающих орфанными заболеваниями, лечение которых обеспечивается за счет средств бюджетов субъектов Российской Федерации, а также не входящими в перечень таких заболеваний, но для которых разработана и зарегистрирована в Российской Федерации лекарственная терапия. При разработке указанного Плана подготовить единые критерии включения и исключения заболеваний и порядок регулярного пересмотра Перечня жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности, а также Перечня орфанных заболеваний, обеспечиваемых лекарственными препаратами в соответствии с пунктом 21 части 2

статьи 14 Федерального закона от 21 ноября 2011 года № 323-ФЗ «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации».

2. Разработки порядка и критериев закупки орфанных препаратов незарегистрированных на территории Российской Федерации за счет федерального и региональных бюджетов

3. Создания Федерального ресурсного центра орфанных заболеваний.

4. Разработки системы взаимодействия между клиниками федерального и регионального уровней, участвующих в системе оказания помощи пациентам с орфанными заболеваниями.

5. Разработки единой системы регистрационного учета пациентов, страдающих редкими заболеваниями.

6. Создания системы налоговых стимулов и льгот для поддержания отечественных производителей наборов для лабораторной диагностики и препаратов для лечения редких (орфанных) заболеваний с учетом лучших мировых практик.

7. Создания единой системы диагностики и ведения детей с орфанными заболеваниями. В рамках этой системы сформировать комплекс мер по расширению спектра выявляемых нозологий и обеспечению врачей на местах информацией по диагностике и ведению пациентов с редкими заболеваниями.

8. Создания единой информационной платформы для инвалидов и детей-инвалидов по процедуре оформления инвалидности, выплатам, льготам и лекарственному обеспечению по каждой нозологии.

9. Расширения применения телемедицинских технологий.

10. Разработки схемы бесперебойного обеспечения детей лечебным питанием и лекарственными препаратами, в том числе разработки порядка централизации закупочных процедур орфанных препаратов производимых субъектами Российской Федерации в рамках Федерального закона от 5 апреля 2013 года № 44-ФЗ «О контрактной системе в сфере закупок товаров, работ, услуг для обеспечения государственных и муниципальных нужд».

Членам Экспертного совета по редким (орфанным) заболеваниям совместно с Министерством здравоохранения Российской Федерации:

1. Разработать Национальный план (стратегию) в области редких (орфанных) заболеваний «Редкие 2020-2030», отражающий потребности пациентов в качественной и своевременной медицинской помощи на всех этапах течения редкого заболевания. В рамках Национального плана предусмотреть стратегию по созданию регистров по редким заболеваниям. Подготовить список состояний, для которых актуально создание регистров. Предусмотреть участие общественных организаций в данной работе.

2. Разработать и внедрить процедуру включения лекарственных препаратов, признанных при регистрации орфанными, в перечни лекарственных препаратов (ЖНВЛП, ОНЛС, ВЗН).

3. Подготовить «Дорожную карту» и федеральную программу по редким (орфанным) заболеваниям, позволяющие в несколько этапов создать современную устойчивую систему профилактики, диагностики, организации медицинской помощи и льготного лекарственного обеспечения пациентов с редкими заболеваниями, проживающих на территории Российской Федерации.

4. Обсудить меры, направленные на реализацию указанных предложений и совершенствование организации оказания медицинской помощи пациентам, страдающим орфанными заболеваниями, на следующем заседании Экспертного совета Комитета Государственной Думы по охране здоровья по редким (орфанным) заболеваниям с участием представителей Правительства Российской Федерации.

**Председатель Комитета
Государственной Думы
по охране здоровья**

Д.А.Морозов

**Уполномоченный при Президенте
Российской Федерации
по правам ребенка**

А.Ю.Кузнецова

**Сопредседатель
Всероссийского союза пациентов**

Ю.А.Жулев

**Председатель правления
Всероссийского общества
редких (орфанных) заболеваний**

И.В.Мясникова