

**Красильникова Елена Юрьевна** - руководитель проектного офиса «Редкие (орфанные) болезни» ФГБНУ «Национальный НИИ общественного здоровья имени Н.А. Семашко», член Экспертного совета Комитета Государственной Думы по охране здоровья по редким (орфанным) заболеваниям

В период 2018-2020 гг. вопросы доступности медицинской помощи и лекарственного обеспечения пациентов с редкими заболеваниями в РФ вышли за рамки проблем системы здравоохранения и стали индикатором социальной справедливости и способности законодательной и исполнительной власти обеспечить равный доступ к лекарственной терапии для всех групп пациентов (не только редких)

Реализация законодательных инициатив Совета Федерации о передаче на федеральный уровень полномочий по лекарственному обеспечению пациентов с отдельными редкими заболеваниями, а также предложение Президентом РФ нового источника финансирования (в виде дополнительного налогового вычета) для лекарственного обеспечения детей с редкими заболеваниями сформировали в современной России беспрецедентную платформу для устойчивого финансирования указанной сферы.

Однако с момента возникновения в стране законодательно закрепленного понятия «редкое (орфанное) заболевание» наряду с остро стоящими вопросами финансирования не менее актуальны были и остаются вопросы нормативно-правового регулирования, прогнозирования и планирования развития системы оказания помощи «редкому» пациенту в целом.

Во всем мире «двигателями редкой истории» являются общественные организации пациентов и экспертное сообщество, которые формируют и участвуют в реализации Национальных планов (стратегий) по борьбе с редкими заболеваниями. В декабре 2019 года на заседании Экспертного совета Комитета Государственной Думы РФ по охране здоровья по редким (орфанным) заболеваниям было принято решение о разработке Стратегии по редким заболеваниям «Редкие 2020-2030» (ответственный исполнитель - Национальная Ассоциация организаций больных редкими заболеваниями «Генетика») и «дорожной карты» по редким (орфанным) заболеваниям в РФ (ответственный исполнитель - проектный офис «Редкие (орфанные) болезни» ФГБНУ «Национальный НИИ общественного здоровья имени Н.А. Семашко»).

В период февраль-ноябрь 2020 года 58 экспертов федерального и регионального уровней приняли участие в работе 6 фокус-групп по вопросам организации медицинской помощи и лекарственного обеспечения пациентов с редкими заболеваниями в РФ. **Результаты фокус-групп сформировали «стратегию» и «дорожную карту» по редким заболеваниям в РФ, о ключевых элементах этих двух документов мы сегодня расскажем.**

**Каримова Светлана Игоревна** - президент Национальной Ассоциации организаций больных редкими заболеваниями «Генетика», член Экспертного совета

Комитета Государственной Думы по охране здоровья по редким (орфанным) заболеваниям, генеральный секретарь Евразийского Альянса редких болезней.

К Стратегии мы шли давно, начиная с 2010г., участвовали в программе Европлан (европейские программы по формированию стратегии). В 2019г. Д.А.Морозов заявил о необходимости формирования Стратегии по РЗ и Национальной программы. Наши организации проехали более 20 регионов РФ, участвовали в заседаниях комитетов по здравоохранению законодательных органов гос.власти. Собирали информацию, которую необходимо внести в Стратегию системы оказания помощи пациентам с РЗ в РФ на период с 2020-2030г.г.

Стратегия по развитию системы оказания помощи больным с редкими (орфанными) заболеваниями в Российской Федерации на плановый период 2020-2030 гг. является документом стратегического планирования, разработанным в целях обеспечения системного подхода к профилактике, ранней диагностике, лечению, эпидемиологическим регистрам и клиническим исследованиям, а также решающей вопросы финансового, экономического и социального аспекта помощи пациентам с редкими (орфанными) заболеваниями в Российской Федерации

Реализация Стратегии направлена на формирование и реализацию на федеральном, региональном и муниципальном уровнях скоординированной политики в сфере охраны здоровья и улучшение качества жизни отдельной категории граждан – больных редкими (орфанными) заболеваниями.

#### ЭТАПЫ РЕАЛИЗАЦИИ СТРАТЕГИИ

1 этап 2020 год Подготовительная Стадия Исследовательская

2 этап 2021 - 2023 год Основная стадия - Анализ состояния проблематики и внедрение стратегии

3 этап 2023 - 2030 год Завершающая стадия Реализации стратегии Мониторинг и корректировка

Ожидаемые результаты стратегии: Разработка и внедрение Национальной программы с целью повышения удовлетворенности населения доступностью комплексной помощи и повышения качества жизни. Создание 8 окружных центров по редким заболеваниям по России с целью повышения удовлетворенности населения качеством оказания медицинской помощи. Создание курса клинической генетики в обязательной программе обучения для медицинских ВУЗов страны, с целью улучшения показателей удовлетворенности населения качеством оказания медицинской помощи. Увеличение спектра целевых нозологий редких заболеваний для Российской Федерации в программе обязательного неонатального скрининга. Увеличение мер и действий, направленных на профилактику и раннее выявление редких заболеваний, % выявляемости. Снижение частоты и продолжительности госпитализаций, повышение качества и продолжительности жизни.

10 основных задач, направленных на обеспечение равного доступа пациентов с редкими болезнями к медицинской и социальной помощи:

- Совершенствование информированности общества о проблемах пациентов с редкими (орфанными) заболеваниями
- Совершенствование системы образования медицинских специалистов в области редких болезней.
- Расширение и совершенствование методов ранней диагностики и профилактики редких заболеваний.
- Стимулирование научных исследований и инноваций по редким заболеваниям, особенно в области разработки новых эффективных препаратов и технологий.
- Облегчение доступа пациентов к лечению и качественному оказанию медицинской помощи.
- Улучшение качества жизни больных и социальной поддержки семей с редкими болезнями
- Координация действий по решению проблем РЗ на региональном, межрегиональном и федеральном уровне.
- Участие в международных проектах исследований и разработках
- Разработка и внедрение современных IT ресурсов с применением искусственного интеллекта в публичном и врачебном сообществе
- Повышение роли общественных организаций пациентов, и их поддержка государственными органами власти и профессиональными сообществами.

## **Красильникова Е.Ю. - Дорожная карта**

На практике «дорожные карты» часто являются исполнением поручения правительства, которое в дальнейшем гарантирует ее реализацию. Формируется на менее долгий чем стратегия плановый период 3-5 лет

Не имея такого поручения, мы решили **двигаться вверх** от экспертного сообщества, заручившись поддержкой Комитета по охране здоровья ГД РФ.

В 2020 году проектным офисом были организованы 6 фокус-групп:

- Представители пациентских и благотворительных организаций
- Производители лекарственных препаратов
- Главные специалисты медико-генетической службы
- Представители объединений врачей, медицинского образования в том числе системы НМО
- Специалисты медицинских учреждений федерального и регионального уровней
- Руководители департаментов лекарственного обеспечения и организации мед.помощи субъектов РФ

Работа в группах проходила в формате структурированного мозгового штурма. Всего были обсуждены порядка 200 задач, стоящих перед системой оказания помощи редкому пациенту, половину из которых эксперты сочли приоритетными.

**Команда юристов и организаторов здравоохранения:**

**Александрова Оксана Юрьевна**, заместитель директора по научной работе и образованию ФГБНУ «Национальный научно-исследовательский институт общественного здоровья имени Н.А. Семашко», заместитель директора по учебной работе, декан факультета усовершенствования врачей ГБУЗ Московской области МОНИКИ», член ЭС

**Косолапова Наталья Валерьевна**, к.ю.н. из Центра подготовки управленческих кадров факультета управления в медицине и здравоохранении Российской академии народного хозяйства и госслужбы оценила возможность решения задач на текущий момент и предложила для начала реализовать **6** блоков

- 1) Повышение уровня орфанной осведомлённости в медицинском сообществе
  - ✓ дополнение Федеральных государственных образовательных стандартов нормами о наличии базовых знаний по орфанной патологии
  - ✓ создание в мед.ВУЗах кафедр генетики
  - ✓ внесение дополнений в профессиональные стандарты медицинских работников (включить требования о необходимости знания фенотипа больного редким (орфанным) заболеванием и умения распознавать признаки наличия такого заболевания)
- 2) Расширение программ охвата неонатальным и селективным скринингами
  - ✓ создание Центра по контролю качества неонатального и селективного скрининга детского населения
  - ✓ Разработка (в приоритетном порядке) клинических рекомендаций и стандартов по диагностике и лечению скринируемых заболеваний
  - ✓ Включение селективного скрининга на орфанные заболевания в программы диспансеризации взрослого населения
  - ✓ Создание специального тарифа для проведения селективного скрининга в рамках программ диспансеризации пациентов с редким (орфанным) заболеванием
- 3) Расширение Перечня жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности

- за счет включения в него редких (орфанных) заболеваний, орфанные препараты для лечения, которых зарегистрированы на территории РФ
- 4) Маршрутизация пациентов с редкими (орфанными) заболеваниями для получения первичной медико-санитарной и специализированной, в том числе высокотехнологичной, медицинской помощи, установления последующего диспансерного наблюдения, включающая преемственность между медицинскими организациями различного уровня в назначении терапии, предусматривающая взаимодействие медицинских организаций с разграничением функций
- ✓ Закрепление за Минздравом России полномочия по разработке Положения об организации оказания медицинской помощи пациентам с редкими (орфанными) заболеваниями
  - ✓ Подготовка пакета нормативно-правовых актов, регламентирующих различные аспекты организации такой помощи
  - ✓ Подготовка рекомендуемого алгоритма (схемы) маршрутизации и модели взаимодействия между медицинскими организациями с разграничением функций по координации и диспансерно-динамическому наблюдению за пациентами с редкими (орфанными) заболеваниями.
- 5) Расширение возможностей применения стационарзамещающих технологий по типу стационар на дому
- 6) Координация деятельности органов исполнительной власти РФ и субъектов РФ через создание в Министерстве здравоохранения РФ **департамента по организации медицинской помощи пациентам с редкими (орфанными) заболеваниями**

После согласования дорожной карты на Экспертном совете Комитета по охране здоровья ГД РФ документ будет доступен на сайте Семашко и я буду просить разместить его на сайте Комитета.

«Дорожная карта» - это не документ «в стол», мы открыты для обратной связи и дальнейшей работы. Указанные на текущий момент блоки и задачи будут дополняться по мере реализации и появления новых вызовов.

**ФАКТИЧЕСКИ** мы предлагаем регуляторный конструктор, из которого постепенно будет складываться система качественной медицинской помощи редкому пациенту.

**При наличии интереса** (а такой интерес мы должны сформировать) представители законодательной и исполнительной власти любого уровня в соответствии со своими компетенциями могут взять в реализацию любой из блоков «дорожной карты» для практического улучшения системы оказания помощи редкому пациенту – в карте обозначены документы и

акты, которые необходимо изменить, предложены формулировки и определены участники.

Как всякая «дорожная карта» наша карта имеет целевые индикаторы, однако мы не стали фантазировать относительно цифр, которых необходимо достичь и предлагаем сначала оценить текущую ситуацию, а затем уже определить цели на перспективу.

Помимо привычных индикаторов доступности мед.помощи и обеспеченности лекарственной терапией мы предлагаем по-настоящему качественно оценить уровень существующей системы.

Мы предлагаем точно знать:

- ✓ Охват неонатальным и селективным скринингами (особенно при его расширении)
- ✓ Долю редких пациентов, выявленных на досимптоматической стадии (актуально при расширении скрининга)
- ✓ Доля больных с редкими заболеваниями, выявленными до инвалидизации
- ✓ Пятилетнюю выживаемость и годовую летальность у пациентов, которые обеспечиваются лекарством в рамках федеральной или региональной программ
- ✓ Средние сроки ожидания лекарственной терапии после постановки «редкого» диагноза
- ✓ Реальную смертность от редких заболеваний
- ✓ Количество ВУЗов, включивших в подготовку программы по редким заболеваниям
- ✓ Количество циклов НМО соответствующей тематики
- ✓ Количество врачей и специалистов со средним медицинским образованием, прошедших обучение по направлению орфанной патологии

Сегодня мы акцентируем внимание на организационных мерах, потому что вопросы финансирования лекарственного обеспечения решаются на самом высоком уровне. Механизмы, предложенные в дорожной карте уже учитывают изменения, которые ожидают систему финансирования ЛО редких пациентов с 1 января 2021 года. Мы должны сегодня коснуться и этого вопроса, поэтому я передаю слово Курбангалеевой Екатерине Шамильевне (заместитель председателя Комиссии Общественной палаты РФ по социальной политике, трудовым отношениям и поддержке ветеранов), которая в Общественной палате организовала работу экспертной группы по выполнению поручения Президента о выработке механизма финансирования лекарственного обеспечения детей с редкими заболеваниями из средств дополнительного налогового вычета.

**Курбангалеева Екатерина Шамильевна** - заместитель председателя Комиссии Общественной палаты РФ по социальной политике, трудовым отношениям и поддержке ветеранов.

Проблемой РЗ Общественная палата занимается не очень давно и орфанные заболевания – это лакмусовая бумажка качества и эффективности работы всей системы здравоохранения, т.к, заболевания сложные, прогрессирующие и, порой не излечимые. Лечение, оказание медицинской помощи таким пациентам, находится в авангарде науки и развития медицинских технологий. Мы имеем дело с редким пациентом, и как система мед. помощи может организовать помощь в редком, не частом случае и должна показывать эффективность система как здравоохранения, так и система социальной защиты и система поддержки и профилактики инвалидов. Программа федерализации, которой мы занимаемся при Совете Федерации, где рассматривалась программа 7 ВЗН, которая превратилась в 14 ВЗН, которые вошли в программу федеральную лекарственного обеспечения. На сегодняшний день, занимаемся расширением неонатального скрининга, для профилактики и инвалидизации. Обсуждается новый механизм финансирования лек.обеспечения орфанных заболеваний и многих других проблем, связанных с РЗ. А также обсуждается шестой пункт Дорожной карты.

**Куцев Сергей Иванович** - доктор медицинских наук, профессор, член-корреспондент РАН, директор ФГБНУ «Медико-генетический научный центр имени академика Н.П. Бочкова», главный внештатный специалист по медицинской генетике Минздрава России *«Расширение неонатального (селективного) скрининга»*

Неонатальный скрининг-не только средство диагностики-это обследования всех новорожденных на определенные наследственные заболевания, для которых существует доступное патогенетическое лечение. Все новорожденные скринируются на 5 нозологий. На сегодняшний день на поверхности лежит скрининг на 29 заболеваний, с внедрением всего одного анализа крови. Скрининг на СМА – обязательно должен быть. Вовремя диагностируемое заболевание дает хорошие результаты при своевременном лечении. В нашей стране неонатальный скрининг будет расширен!

Образовательные программы для врачей генетиков и лабораторных крайне генетиков необходимы. Дефицит врачей составляет 80%. Обучение как врачей-генетиков, так и врачей разных специальностей – является основной и своевременной задачей, т. к. Важно помнить о болезнях, которые поддаются лечению-чем раньше выявили, тем быстрее начали лечение.

**Смирнова Наталья Сергеевна** – юрист, член Национального совета экспертов по редким болезням, член Экспертного совета Комитета Государственной Думы РФ по охране здоровья по редким (орфанным) заболеваниям

В настоящее время действует НПА по неонатальному скринингу и приложен ряд изменений, который необходимо внести в данные документы.

Необходимо внести изменение в Приказ здравоохранения о массовом обследовании новорожденных детей и расширить 5 нозологий.

**В Дорожной карте проработаны вопросы о внесении изменения в НПА о селективному скринингу.**

**Трегубова Анна Викторовна** - к.м.н., врач-кардиолог, Волгоградский областной клинический кардиологический центр «Проблемы организации медицинской помощи пациентам с ЛАГ и ХТЭЛ в Волгоградской области».

ЛГ – быстро прогрессирующее состояние, в конечном итоге приводящее к смертельному исходу. Без лечения составляет около 2-х лет.

В РФ орфанным заболеванием является только Идиопатическая ЛАГ. В ВО наблюдается 75% с ЛАГ и ХТЭЛГ. ЛАГ и ХТЭЛГ являются орфанными заболеваниями с тяжелым течением и быстрым прогрессированием. Лекарственное обеспечение пациентов с ЛАГ и ХТЭЛГ сопряжено со значительными сложностями. На фоне приема риоцигуата, выживаемость пациентов с ЛАГ и ХТЭЛГ, в исследовании второй фазы, продлила на шесть лет.

Обеспечение большинства пациентов с показаниями ЛАГ-специфической терапии сопряжено со значительными изменениями: заключение рекомендаций экспертных центров-протоколы ВК с подробным обоснованием назначения терапии-группа инвалидности-обращение в комитет здравоохранения-обращение в суд, прокуратуру-оказание помощи с участием пациентских организаций.

Обеспечение препаратами пациентов в 50% осуществляется на основании решения судов двух инстанций. Сохраняется значительный интервал между закупками, что также влияет на сроки обеспечения препаратами, особенно вновь выявленных пациентов.

На сегодняшний день очень важно включить ХТЭЛГ и вторичных форм ЛАГ в перечень орфанных патологий и создать федеральный регистр.

Перенести финансирование иЛАГ на федеральный уровень, с целью высвобождения средств для других редких нозологий в регионе. Модифицировать схемы закупок, позволяющих сократить время ожидания ЛАГ-специфической терапии. Создать специализированные центры легочной гипертензии в регионах, позволяющие в том числе наблюдать за пациентами после перенесенной ТЭЛА (ранее выявление ХТЭЛГ).

**Смирнова Н.С.**

При установлении диагноза пациенты имеют право на льготное лекарственное обеспечение. Пациенты с остальными формами ЛАГ имеют более ограниченный доступ к лек. обеспечению. Регистры таких пациентов не ведутся, т.к. лек. обеспечение возможно только после установления инвалидности, а не с начала установления диагноза. В Дорожной карте установлен отдел: расширение перечня жизнеугрожающих заболеваний, что

позволит вести регистры всех пациентов и позволит обеспечить и детей и взрослых пациентов с начала установления диагноза.

## **Красильникова Е.Ю.**

Необходимо подключать телемедицину, для обследования пациентов.

**Хвостикова Елена Аркадьевна** - Директор АНО «Центр помощи пациентам «Геном»

Хочу сказать о пациентах с диагнозом «помпе». Дети с этим диагнозом подпадают на обеспечение за счет фонда, который создается по программе президента, а взрослые остаются вне программы. И в связи, мы хотим сказать о том, что вопрос о федерализации этого заболевания не должен исчезнуть. Т.к. дети и взрослые, которые не вошли в программу, по тем или иным причинам, останутся без обеспечения. Вопрос федерализации должен иметь место.

Федерализация в 2020г. не была предложена, т.к. был предложен другой механизм по улучшению обеспечения орфанных заболеваний. Мы должны ставить вопрос о включении этих заболеваний в перечень жизнеугрожающих. И это будет прямая ответственность регионов-ведение регистров. Это дает гарантию того, что дети, которые будут обеспечиваться за счет фонда и по исполнению 18-летия будут автоматически переданы на региональное обеспечения. Эти вопросы предложены в Дорожной карте, для рассмотрения. Фонд – это не государственные программы, гарантирующие лек. обеспечение.

## **Стационарно-замещающие технологии речения**

**Поливиченко Елена Владимировна** - главный внештатный детский специалист паллиативной помощи Минздрава РФ, доктор медицинских наук, профессор кафедры онкологии, гематологии и лучевой терапии педиатрического факультета РНИМУ имени Н.И. Пирогова

Поллиативная медицинская помощь оказывается детям:

- с неизлечимыми заболеваниями или состояниями, угрожающими жизни или сокращающими ее продолжительность
- иногда отсутствуют или исчерпаны возможности этиопатического лечения: по медицинским показаниям или с учетом тяжести – функционального состояния и прогноза основного заболевания.

Поллиативная помощь в РФ -это 70% неврологических детей, остальная часть, включают орфанных пациентов и пациенты с синдром короткой кишки кроются в 22% прочих пациентах.

По опросам 70 субъектов РФ (на март 2020г.) количество детей с синдромом короткой кишки, 100 детей наблюдаются поллиативными службами и будут получать патогенетическую терапию, т. к. Эти дети когнитивно сонхраны. Семьи детей с этим диагнозом хотят оказание всего спектра услуг: патогенетическое лечение, полную линейку перентеральным и энтеральным питание; обеспечение имплантируемым центральным венозным катетером;

санаторно-курортное лечение; реабилитационную помощь. А также полную поллиативную медицинскую помощь.

Нутритивная база по обеспечению детей нутритивной поддержкой на дому довольно ограниченная. Существует перечень медизделий для нутритивной поддержки детей при оказании ПМП на дому. И сегодня, мы возлагаем надежды, на вновь создаваемый фонд, что он сможет профинансировать патогенетическую терапию детей.

**Смирнова Н.С.** – В Дорожной карте проработан вопрос о парентеральном питании и ежедневном введении препаратов в стационаре. И был проработан вопрос о возможности обеспечения пациента на дому, в т.ч. парентеральным питанием-это установление полиативного статуса. Необходимо разрабатывать уже имеющуюся НПБ по оказанию медпомощи в дневном стационаре по типу-стационар на дому. Мы так же предложили внести изменения в НПДокументы федерального и регионального уровня. И возможно сделать и организовать стационары на дому и законодательством это предусмотрено.

Необходимость разработки новых орфанных препаратов в РФ.

**Кудлай Дмитрий Анатольевич**- генеральный директор АО «Генериум».

Основные достижения в мире достигаются благодаря молекулярным биологами и генетикам. Мы должны стать страной спасающей своих граждан. Чем глубже локализация компании, которая работает на территории нашей страны, тем более она будет вовлечена в процессы той страны, в которой она работает. Эти производители должны получать больше льгот, чем те производители, которые занимаются только поставками лекпрепаратов в РФ. Существуют пакеты, которые поддерживают отечественных производителей. Это элементы : панентного права, элементы субсидирования - сколько в портфеле должно быть направлений направленных на лечение редких заболеваний.

**Каримова С.И.**

Мы можем предложить заболевания которые необходимо включить в разработку российских компаний?

**Кудлай Д.А.**

В стратегии компании до 2030 года имеется порядка 12 препаратов для лечения редких заболеваний, включенных в перечень орфанных заболеваний. Порядка 40% - инновационные препараты.

**Марыненоко А.** – директор по и индустриальной политике Ассоциации международных фармацевтических производителей (АИРМ)

Одной из важных задач является – облегчение доступа пациентов к лечению. Координация на региональном и федеральном уровнях. Федерализация. Внедрение скрининга.

Инновационные модели контрактов в РФ: имеется не много информации, если речь идет о новой патогенетической терапии, т.к. препараты имеют низкий уровень доказательности эффективности и безопасности.

В международной практике имеется понятие «соглашение разделения рисков» или «соглашение разделения расходов». Т.е. производитель обязуется компенсировать расходы, если лечение тем или иным препаратом у пациента не эффективно. Компания обязана: обеспечить быстрый доступ пациентов к более эффективному препарату для лечения; быстро провести информацию новых дорогих методах лечения (оплачиваться будут только те результаты терапии, которые будут достигнуты о конкретных пациента по конкретным критериям). Для того, что бы все это начало работать необходимы НПА, которые отсутствуют в данный момент на территории РФ. А также необходимы законодательные изменения: дополнение ФЗ 44 статьей о «соглашении разделения рисков». Ввести Акта правительства на установление полномочия комиссии по ведению прямых переговоров с производителями. Задачей комиссий, для данного типа контракта будет установление критериев и порядка эффективности лек. препаратов для исполнения контрактов. Один из простых механизмов использования закупки лек.средств – централизованная закупка, по типу совместных торгов (бюджетное учреждение или иной механизм), которая происходит централизованно для нужд РФ. Процесс происходит проще и менее затратно, с точки зрения проведения процедур, с учетом количества регионов РФ, совместно с федерализацией.

**Красильникова Е.Ю.** – Предложение расширить Дорожную карту с включением механизмов, которые Вы озвучили, по конкретной группе заболеваний необходимо обсудить.

**Кукава Вадим Васильевич** – Исполнительный директор Ассоциации «Фармацевтические инновации» («Инфарма») ОТ "СТРАТЕГИИ" И "ДОРОЖНОЙ КАРТЫ" К НАЦИОНАЛЬНОЙ ПРОГРАММЕ ПО РЕДКИМ (ОРФАННЫМ) ЗАБОЛЕВАНИЯМ

Очень важно разработать Дорожную карту в разделе государственных закупок – если в процессе все застопорится на том, что препараты не могут быть закуплены для пациентов в должном объеме и надлежащем качестве – это подорвет все усилия в разработке Дорожной карты.

Вопросы о формировании законодательной базы по закупке лек. средств были рассмотрены межведомственной рабочей группой фармпроизводителей в Государственной Думе в октябре 2020г. Были приняты некоторые решения: 1-

создание рабочей группы экспертов на уровне ГД РФ. 2- провести аудит 44 ФЗ о гос.закупках лекарственных средств (не является эффективным). 3- экспертной группе разработать предложения на обсуждение.

Необходимо участие в экспертной рабочей группе Национальной Ассоциации Генетика и института им. Семашко, как представителей орфанных заболеваний, в качестве экспертов, что бы были учтены все нужды пациентов.

### **Красильникова Е.Ю.**

Сегодня мы имеем разные группы орфанных пациентов с разным уровнем помощи и источниками финансирования. Федеральная программа «Развитие здравоохранения» должна быть дополнена национальным проектом «Борьба с редкими (орфанными) заболеваниями», как это было сделано в части онкологических и сердечно-сосудистых заболеваний. Мы убеждены, что к 2022 году мы придем к Национальному проекту.

Единую систему возможно организовать только в рамках единой национальной программы.