



**ЗАКОНОДАТЕЛЬНАЯ ДУМА
ХАБАРОВСКОГО КРАЯ**

Муравьева-Амурского ул., д. 19, г. Хабаровск,
Хабаровский край, Российская Федерация, 680000
Тел: (4212) 47 52 19. Факс: (4212) 47 44 57
E-mail: duma@duma.khv.ru, www.duma.khv.ru
ОКПО 00090351, ОГРН 1022700924421
ИНН/КПП 2721024587/272101001

09.06.2023 № 3.3.39-1611

На № _____ от _____

О направлении рекомендаций
круглого стола

Уважаемая Светлана Игоревна!

Направляю Вам для использования в работе рекомендации круглого стола на тему «Актуальные вопросы организации медицинской помощи и лекарственного обеспечения пациентов с редкими (орфанными) заболеваниями 2023 – 2025», проведенного в Законодательной Думе Хабаровского края с участием депутатов Законодательной Думы Хабаровского края, представителей Национальной Ассоциации организаций больных редкими заболеваниями «Генетика», органов исполнительной власти края.

Приложение: на 6 л. в 1 экз.

Председатель Думы

И.В. Зикунова

Ушакова Ольга Вячеславовна
(4212) 47 26 31

051990

М:Итоговые документы Думы\7 созыв\Письма\pismo_080623_07_mb01.docx\mb01\08.06.2023 17:14:00

РЕКОМЕНДАЦИИ
круглого стола на тему
«Актуальные вопросы организации медицинской помощи и
лекарственного обеспечения пациентов с редкими (орфанными)
заболеваниями 2023 – 2025»

26 апреля 2023 года

г. Хабаровск

Заслушав и обсудив информацию об организации медицинской помощи, лекарственного обеспечения и проблемных вопросах реализации прав граждан, страдающих редкими (орфанными) заболеваниями, на получение бесплатной медицинской помощи, обеспечение лекарственными препаратами и специализированными продуктами лечебного питания, участники круглого стола отмечают следующее.

Редкие (орфанные) заболевания остаются актуальной проблемой современного здравоохранения, и осознание этой проблемы – первый шаг к оказанию помощи этой категории граждан и их семьям.

На законодательном уровне Российской Федерации закреплены понятия «редкие (орфанные) заболевания» и «орфанные препараты», определены процедуры, регламентирующие упрощенную регистрацию препаратов для лечения редких (орфанных) заболеваний, создана система учета для некоторых пациентов – Федеральный регистр лиц, страдающих жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями, приводящими к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности (далее – Федеральный регистр).

Федеральным органом исполнительной власти на основании статистических данных сформирован и размещен на его официальном сайте в сети «Интернет» (ст. 44 п. 2 Федерального закона от 21.11.2011 № 323-ФЗ «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» (далее – Федеральный закон № 323-ФЗ) Перечень редких (орфанных) заболеваний, включающий в себя 273 заболевания/группы по МКБ10.

Постановлением Правительства Российской Федерации от 26.04.2012 № 403 утвержден перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности (далее – перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний), который включает только 17 редких (орфанных) заболеваний.

В соответствии с пунктом 10 части 1 статьи 16 Федерального закона № 323-ФЗ организация обеспечения граждан лекарственными препаратами и специализированными продуктами лечебного питания для лечения заболеваний, включенных в перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, относится к полномочиям органов государственной власти субъектов Российской Федерации в сфере охраны здоровья и осуществляется за счет бюджетов субъектов Российской Федерации.

На начало 2023 года в региональном сегменте Федерального регистра лиц, страдающих жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими

(орфанными) заболеваниями, приводящими к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности, зарегистрировано 212 пациентов (с 2021 года количество зарегистрированных лиц увеличилось на 20 %), из них 152 нуждаются в получении лекарственных препаратов, в том числе дорогостоящих, специализированных продуктов лечебного питания.

В связи с увеличением количества пациентов, страдающих редкими (орфанными) заболеваниями, нуждающихся в обеспечении дорогостоящими лекарственными препаратами, специализированными продуктами лечебного питания, увеличились и расходы из регионального бюджета. Так, в 2021 году на приобретение лекарственных препаратов и специализированных продуктов питания расходы составили 170,7 млн. рублей (обеспечено в полном объеме 135 граждан), в 2022 году – 194,3 млн. рублей (обеспечено в полном объеме 138 граждан). В 2023 году объем расходов увеличен до 234,9 млн. рублей (на 2024 год запланирована соответствующая сумма).

Средняя стоимость одного выписанного рецепта в 2021 году составляла 305,8 тыс. рублей, в 2022 году – 406,5 тыс. рублей.

Также обеспечение лекарственными препаратами для лечения детей в возрасте до 18 лет с редкими (орфанными) заболеваниями осуществляется за счет Фонда «Круг добра». С 2023 года пациенты в течение одного года после достижения возраста 18 лет, в случае, если до достижения указанного возраста они получали такую поддержку в рамках деятельности Фонда «Круг добра», обеспечиваются лекарственными препаратами в рамках деятельности данного фонда по заключению Экспертного совета Фонда «Круг добра».

За 2021 год лекарственными препаратами за счет средств Фонда «Круг добра» в Хабаровском крае (далее – край) обеспечены 20 пациентов в возрасте до 18 лет со следующими диагнозами:

12 пациентов с диагнозом спинальная мышечная атрофия (далее – СМА);

7 пациентов с диагнозом муковисцидоз;

1 пациент с диагнозом миодистрофия Дюшенна – Беккера.

Сумма выделенных средств составила 122,5 млн. рублей.

В 2022 году лекарственными препаратами за счет средств Фонда «Круг добра» в крае обеспечены 39 пациентов в возрасте до 18 лет со следующими диагнозами:

13 пациентов с диагнозом СМА;

14 пациентов с диагнозом муковисцидоз;

3 пациента с диагнозом первичный иммунодефицит с дефицитом антителообразования;

2 пациента с диагнозом ахондроплазия;

2 пациента с диагнозом миодистрофия Дюшенна – Беккера;

2 пациента с диагнозом синдром короткой кишки;

2 пациента с диагнозом нейрофиброматоз I типа;

1 пациент с диагнозом буллезный эпидермолиз.

Сумма выделенных средств составила 392,4 млн. рублей.

За время совместной работы министерства здравоохранения края с Фондом «Круг Добра» 44 ребенка обеспечены дорогостоящими лекарственными препаратами и медицинскими изделиями на сумму 514,9 млн. рублей.

Все вышеизложенное означает, что государством принимаются меры по обеспечению граждан доступной и качественной медицинской помощью, используются разные источники финансирования.

В то же время, несмотря на принятие комплекса действенных мер, направленных на расширение доступности лекарственного обеспечения для пациентов с редкими (орфанными) заболеваниями, в том числе принятие значимых нормативных правовых актов в указанной сфере деятельности, в настоящее время в Российской Федерации вопрос обеспечения пациентов с редкими (орфанными) заболеваниями урегулирован недостаточно и требует оперативного решения.

На текущий момент остается проблемным вопрос обеспечения пациентов жизненно необходимыми лекарственными препаратами, не зарегистрированными на территории Российской Федерации. Большинство из незарегистрированных лекарственных препаратов, необходимых для лечения пациентов с орфанными заболеваниями, являются инновационными и дорогостоящими.

Лекарственное обеспечение незарегистрированными лекарственными препаратами детей до достижения ими 19 лет осуществляется за счет средств Фонда «Круг добра», а пациентов, достигших 19 лет, осуществляется исполнительными органами субъектов Российской Федерации в сфере здравоохранения в рамках льгот, установленных для инвалидов в соответствии с постановлением Правительства Российской Федерации от 30.07.1994 № 890 «О государственной поддержке развития медицинской промышленности и улучшении обеспечения населения и учреждений здравоохранения лекарственными средствами и изделиями медицинского назначения» (далее – постановление № 890). При этом отсутствие возможности влияния на размер цены закупаемых незарегистрированных в России лекарственных препаратов создает для регионов большие трудности в своевременном обеспечении терапией пациентов и качестве оказываемой помощи.

Не находит решения проблема введения лекарственного препарата для лечения пациентов старше 18 лет со СМА в условиях стационара. С 2023 года утвержден тариф на оказание данной медицинской услуги, однако не указан источник финансирования на приобретение данного препарата медицинским учреждением.

Кроме этого, в пункте 5 части 2 статьи 81 Федерального закона № 323-ФЗ закреплено, что в рамках Программы государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи органы государственной власти субъектов Российской Федерации устанавливают перечень лекарственных препаратов, отпускаемых населению в соответствии с Перечнем групп населения и категорий заболеваний, при амбулаторном лечении которых лекарственные средства и изделия медицинского назначения отпускаются по рецептам врачей бесплатно или с пятидесятипроцентной скидкой. Перечни групп населения, категории заболеваний утверждены постановлением № 890. В соответствии с данным постановлением инвалиды I, II группы обеспечиваются на очередной год всеми лекарственными средствами, средствами медицинской реабилитации, в том числе не входящими в перечень жизненно необходимых и важнейших лекарственных препаратов для медицинского применения, утвержденный распоряжением Правительства Российской Федерации от 12.10.2019 № 2406-р, и не зарегистрированными на территории Российской Федерации, за счет средств субъекта Российской Федерации. И поскольку данные редкие (орфанные)

заболевания являются инвалидизирующими, обеспечение лекарственными препаратами, не вошедшими в данный перечень, осуществляется за счет средств краевого бюджета, как правило, по решению суда. Финансирование на исполнение судебных решений в 2022 году составило 62,2 млн. рублей.

При этом необходимо учитывать, что ежегодно количество орфанных пациентов и финансовые затраты на обеспечение данной категории граждан увеличиваются.

Сохраняется актуальность проблемы обеспечения безбелковыми и низкобелковыми продуктами лечебного питания детей, страдающих фенилкетонурией. Имеется необходимость расширения перечня специализированных продуктов лечебного питания для детей-инвалидов, утвержденного постановлением Правительства Российской Федерации от 09.04.2015 № 333 «Об утверждении Правил формирования перечня специализированных продуктов лечебного питания для детей-инвалидов». Указанный перечень формируется ежегодно с учетом стандартов медицинской помощи и клинических рекомендаций (протоколов лечения) по вопросам оказания медицинской помощи из специализированных продуктов.

Для увеличения объема производства специализированных продуктов питания требуется проработка вопроса организации и запуска в Российской Федерации производственной линии по изготовлению безбелкового и низкобелкового питания, расширения его ассортимента.

Учитывая вышеизложенное, необходимо дальнейшее развитие и совершенствование программ федерального и регионального лекарственного обеспечения больных редкими (орфанными) заболеваниями.

Помимо вопросов обеспечения лекарственными препаратами и специализированными продуктами лечебного питания, в отношении пациентов с редкими заболеваниями важна организация своевременного оказания медицинской помощи на всех ее этапах. С целью решения данного вопроса необходимо создание Центра орфанных заболеваний в крае, задачами которого будут являться максимально ранняя диагностика редких болезней, своевременное начало лечения, внедрение современных инновационных методов терапии, повышение уровня информированности пациентов и их семей, оказание психологической помощи больным и их семьям, создание объединенного Регистра профильных больных. Тесное сотрудничество с различными медико-генетическими лабораториями, клиниками, специализирующимися в области редких болезней, даст возможность максимально модернизировать протоколы обследования и лечения данных пациентов, тем самым улучшит качество оказываемой медицинской помощи больным с орфанными и другими редкими заболеваниями.

Основой для создания Центра орфанных заболеваний должны стать многолетний опыт работы клиник края, а также научные проекты и фундаментальные экспериментальные исследования, выполняемые в рамках работы Научных центров Российской Федерации.

Также на территории Российской Федерации активно расширяются программы неонатального скрининга, поэтому важно уделять внимание расширению и внедрению программ селективных скринингов на различные нозологические формы заболеваний.

В целях дальнейшего повышения эффективности организации медицинской помощи, лекарственного обеспечения и реализации прав граждан, страдающих редкими (орфанными) заболеваниями, участники круглого стола РЕКОМЕНДУЮТ:

1. Законодательной Думе края совместно с Правительством края:

1.1. Продолжить взаимодействие с федеральными органами государственной власти по совершенствованию нормативной правовой базы в сфере обеспечения граждан, страдающих редкими (орфанными) заболеваниями, доступной и качественной медицинской помощью, в том числе лекарственными препаратами, в рамках программы государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи.

1.2. При взаимодействии с федеральными органами государственной власти содействовать формированию механизма поэтапного перехода на федеральное финансирование медицинской помощи, обеспечения специализированными продуктами лечебного питания, а также лекарственного обеспечения лиц, страдающих редкими (орфанными) заболеваниями.

2. Правительству края при составлении проекта краевого бюджета на 2024 год и на плановый период 2025 и 2026 годов предусмотреть в полном объеме средства на лекарственное обеспечение граждан, страдающих редкими (орфанными) заболеваниями.

3. Министерству здравоохранения края:

3.1. Продолжить ведение и актуализацию регионального сегмента Федерального регистра пациентов, проживающих на территории края, с изучением потребности в лекарственном обеспечении этих граждан. Рассмотреть возможность расширения регионального регистра согласно эпидемиологии края.

3.2. Продолжить реализацию и совершенствование механизма своевременной организации медицинской помощи и обеспечения преемственности лечения пациентов с редкими (орфанными) заболеваниями, достигших 18 лет, при переходе из детской группы во взрослую, в том числе для пациентов, получающих лекарственную терапию за счет средств Фонда «Круг добра», и при необходимости направить в указанный фонд информацию о детях с редкими заболеваниями, нуждающихся в дорогостоящей терапии и реабилитации.

3.3. Сформировать и направить в Комитет Государственной Думы Федерального Собрания Российской Федерации по охране здоровья предложения:

по внесению изменений в пункт 21 части 2 статьи 14 Федерального закона № 323-ФЗ в части расширения перечня редких нозологий, при которых бесплатное обеспечение лекарственными препаратами граждан относится к компетенции Министерства здравоохранения Российской Федерации;

по порядку обеспечения граждан лекарственными препаратами для лечения редких (орфанных) заболеваний, в том числе лекарственными средствами, не зарегистрированными на территории Российской Федерации, для соблюдения преемственности в процессе лечения;

по расширению перечня специализированных продуктов лечебного питания для детей-инвалидов, страдающих фенилкетонурией, безбелковыми и низкобелковыми продуктами лечебного питания.

3.4. Рассмотреть возможность формирования на территории края нейромышечного центра для организации медицинской помощи с использованием междисциплинарного подхода к пациентам с данными патологиями, а также

закрепления в нормативно-правовых актах региональной маршрутизации пациентов с нервно-мышечными заболеваниями и СМА (приказ по маршрутизации).

3.5. Рассмотреть возможность создания на территории края центра редких (орфанных) заболеваний, закрепив в соответствующих нормативных правовых актах правила взаимодействия учреждений федерального и регионального уровней, работающих на территории края.

3.6. В целях улучшения проведения профилактических мероприятий по выявлению группы заболеваний, ассоциированных с гипофосфатемическим рахитом, разработать программу по селективному скринингу детского населения на территории края.

4. Экспертному совету при Комитете Государственной Думы Российской Федерации по охране здоровья по редким (орфанным) заболеваниям рассмотреть возможность:

проведения на федеральном уровне межведомственного мероприятия по вопросам обеспечения граждан с редкими (орфанными) заболеваниями лекарственными препаратами и специализированными продуктами лечебного питания, в том числе производства данных продуктов питания на территории Российской Федерации с участием сенаторов Российской Федерации и депутатов Государственной Думы Федерального Собрания Российской Федерации, а также иных заинтересованных лиц;

разработки механизма обеспечения лекарственными препаратами пациентов старше 18 лет с диагнозом СМА;

расширения спектра диагностических мероприятий, направленных на раннее выявление и профилактику редких (орфанных) заболеваний исходя из текущих возможностей генетической лабораторной службы, финансовых ресурсов и современных достижений в области редких (орфанных) заболеваний.