

## **ИНСТИТУЦИОНАЛЬНЫЕ ОСНОВЫ ЛЕКАРСТВЕННОГО ОБЕСПЕЧЕНИЯ БОЛЬНЫХ СОЦИАЛЬНО ЗНАЧИМЫМИ ЗАБОЛЕВАНИЯМИ НА УРОВНЕ ОТДЕЛЬНЫХ РЕГИОНОВ РОССИЙСКОЙ ФЕДЕРАЦИИ**

**Бондарева Т. М., Гордиенко В. В.**

*Пятигорский медико-фармацевтический институт – филиал ГБОУ ВПО «Волгоградский государственный медицинский университет», г. Пятигорск, России (357532 г. Пятигорск, пр. Калинина 11), e-mail: ta.bondarewa@yandex.ru*

Сегодня перед российской системой здравоохранения стоят очень серьезные задачи: улучшить показатели эффективности здравоохранения, поднять среднюю продолжительность жизни населения до 75 лет. Поэтому существующие программы лекарственного обеспечения направлены в основном на улучшение ситуации в лечении широко распространенных заболеваний, имеющие наибольшее влияние на экономические показатели, заболеваемость, смертность населения. С другой стороны, система здравоохранения призвана обеспечить равный доступ граждан к эффективным медицинским технологиям и лекарственным препаратам, а далеко не все серьезные и социально значимые заболевания имеют широкую распространенность. В связи с этим вопрос оказания медицинской помощи пациентам с редкими заболеваниями становится вопросом этическим. Лекарственная помощь для этих пациентов за счет средств федерального финансирования не предусмотрена, а субъекты РФ имеют неодинаковые финансовые возможности, и у пациентов в так называемых дотационных регионах шансы на получение дорогостоящей помощи очень малы. Поэтому пациенты, страдающие редкими заболеваниями, зачастую остаются незащищенными. Диагноз звучит для них как приговор, в то время как в других странах мира медицинская и лекарственная помощь позволяет продлить и сохранить им жизнь.

Ключевые слова: орфанные заболевания, орфанные лекарственные препараты.

## **INSTITUTIONAL BASES OF PROVISION OF MEDICINES OF PATIENTS WITH SOCIALLY SIGNIFICANT DISEASES AT THE LEVEL OF CERTAIN REGIONS OF THE RUSSIAN FEDERATION**

**Bondareva T. M., Gordienko V. V.**

*Pyatigorsk medico-pharmaceutical institute – branch GBOU VPO «Volgograd State Medical University», Pyatigorsk, Russia (357532 Pyatigorsk, the ave. of Kalinin 11), e-mail: ta.bondarewa@yandex.ru*

Today the Russian health system is faced by very serious problems: to improve indicators of efficiency of health care, to lift average life expectancy of the population till 75 years. Therefore existing programs of provision of medicines are directed generally on improvement of a situation in treatment of the widespread diseases, having the greatest influence on economic indicators, incidence, mortality of the population. On the other hand, the health system is urged to provide equal access of citizens to effective medical technologies and medicines, and not all serious and socially significant diseases have prevalence. In this regard the question of rendering medical care to patients with rare diseases becomes a question ethical. The medicinal help for these patients at the expense of means of federal financing isn't provided, and territorial subjects of the Russian Federation have unequal financial opportunities, and at patients in so-called subsidized regions chances of receiving the expensive help are very small. Therefore the patients having rare diseases, often remain unprotected. The diagnosis sounds for them as a sentence while in other countries of the world the medical and medicinal care allows to prolong and keep them life.

Key words: orfanny diseases, orfanny medicines.

### **Введение**

Редкие (орфанные, сиротские) заболевания – это заболевания, затрагивающие небольшую часть популяции. Многие из них являются генетическими, и, следовательно, могут появиться в любой момент жизнедеятельности человека и сопровождать его в течение всей жизни (80%), остальные представлены редкими инфекциями, аутоиммунными и

онкологическими болезнями, состояниями, возникшими в результате воздействия окружающей среды. В настоящее время в мире зарегистрировано около семи тысяч редких заболеваний, которыми страдают около 250 млн человек, в том числе 30 млн – в Европе. Тем не менее до сих пор не существует единого, широко принимаемого определения орфанных заболеваний, а также единого уровня распространенности заболевания в популяции, при котором его начинают считать редким, а ведение и персонализация пациентов с такими заболеваниями затруднено в связи с отсутствием своевременных методов диагностики и лечения, а также из-за нежелания инновационных фармацевтических компаний вкладывать финансовые ресурсы в разработку лекарственных препаратов (ЛП), не имеющих в перспективе коммерческого успеха.

**Цель исследования** заключается в выявлении особенностей лекарственного обеспечения орфанных больных на уровне отдельных регионов Российской Федерации.

**В работе были использованы методы:** логического, системного, документального и регионального анализа.

**Результаты исследования.** В совокупности орфанными заболеваниями страдает от 6 до 8 % жителей Земли, из них 65 % случаев приводят к инвалидности. Список этих заболеваний постоянно увеличивается, так как ежегодно ученые описывают порядка 5 новых патологических состояний – различных генетических и наследственных нозологий, редких форм онкологии. Перечень редких заболеваний фиксирует во всем мире от 500 до 700 нозологий. При этом большое количество больных не получают должной помощи и не имеют доступа к бесплатным ЛП, применяемым для лечения орфанных заболеваний.

Точных статистических показателей о распространенности орфанных заболеваний в России до сих пор нет, и об общем количестве таких больных в нашей стране пока говорить преждевременно. Вместе с тем, по результатам экспертных оценок, их численность составляет от 300 тысяч до 1,5 – 8,5 млн человек, по данным Министерства здравоохранения Российской Федерации (РФ), сейчас насчитывается 12 785 детей с редкой патологией.

До недавнего времени в нашей стране существовала единственная программа «7 высокочатотных нозологий», в которую вошли 55 тысяч пациентов с такими заболеваниями, как гемофилия, муковисцидоз, гипофизарный нанизм, болезнь Гоше, миелолейкоз, рассеянный склероз, а также последствия после трансплантации органов и (или) тканей [1].

В ряде развитых стран к сиротским заболеваниям относятся те, которые регистрируются с частотой 1:2000 человек. В США заболевание считается орфанным, если общее число больных не превышает 200 тысяч человек живущих в этой стране, а в Европейском союзе – 228 тысяч человек. В настоящее время разработан перечень редких заболеваний, в который вошли 86 заболеваний. Для сравнения – мировой список содержит порядка двух тысяч нозологий. Следует подчеркнуть, что только «7 нозологий»

обеспечивает лекарственными препаратами (ЛП) федеральный бюджет, а все остальные даются на откуп региональному бюджету. Другой сложностью является отсутствие препаратов на фармацевтическом рынке. Их производство осуществляется только за рубежом, где имеется значительная поддержка фармацевтических компаний со стороны государства. Таким образом, в РФ необходимые ЛП не только не выпускаются, но и практически не закупаются, не лицензируются [4].

Лидером в диагностике и лечении редких болезней у детей – Франция. Также преуспели в этом отношении Америка, Германия и Англия. В настоящее время имеются международные регистры, куда включено большое количество пациентов с различными орфанными заболеваниями. Так, например в 2006 г. опубликованы исследования по болезни Фабри у более, чем 600 пациентов разного возраста, в том числе – детей. Изучение проводилось специалистами – учеными разных стран мира. Накоплен огромный опыт по диагностике, лечению, наблюдению за пациентами с редкими заболеваниями, а также данные по состоянию вопроса лекарственного обеспечения таких больных. Разрабатываются новые фармакологические препараты, с целью обеспечения орфанных больных качественными, безопасными и высокоэффективными ЛП. Таким образом, формируется необходимый опыт, накапливаются новые сведения о характере течения заболевания и возможностях фармакотерапии.

В мировой практике обеспечение больных «орфанными» заболеваниями решают сообща государство, бизнес и общественные организации. В разных странах, в том числе и в России, участие государства при финансовом обеспечении лечения больных составляет от 10 до 60%. В нашей стране, как в целом, так и на уровне отдельных регионов, к глубокому сожалению, делаются только первые шаги.

Так, например, по состоянию на 01.11.2012 в Республике Адыгея зарегистрировано 24 пациента, страдающих заболеваниями из Перечня жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, утвержденного приказом МЗ РФ от 26.04.2012 № 403 «О порядке ведения Федерального регистра лиц, страдающих жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями, приводящими к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности, и его регионального сегмента», в том числе: 9 пациентов с идиопатической тромбоцитопенической пурпурой (синдром Эванса); 5 пациентов с нарушениями обмена ароматических аминокислот (классическая фенилкетонурия); 1 пациент с мукополисахаридозом, тип II; 5 пациентов с незавершенным остеогенезом; 1 пациент с легочной (артериальной) гипертензией (идиопатической); 3 пациента с юношеским артритом с системным началом. Работа по созданию регионального сегмента Федерального регистра

продолжается в соответствии с приказом МЗ РФ от 19.11.2012 № 950н «О формах документов для ведения регионального сегмента Федерального регистра лиц, страдающих жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями, приводящими к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности, и порядке их представления» и будет завершена в срок до 31.12.2012. В Республике Адыгея с 2011 года обеспечение необходимыми ЛП лиц, страдающих редкими (орфанными) заболеваниями, предусмотрено в рамках реализации Республиканской целевой программы «Развитие здравоохранения» на 2008-2013 годы.

В 2012 году за счет средств республиканского бюджета Республики Адыгея в рамках реализации указанной программы для обеспечения лиц, страдающих орфанными заболеваниями: мукополисахаридоз II типа, юношеский артрит с системным началом, идиопатическая легочная гипертензия, были закуплены лекарственные препараты Идурсульфаз, Адалимуаб, Абатацепт, Тоцилизумаб, Бозентан на сумму 26 160,9 тыс. рублей. В проекте республиканского бюджета Республики Адыгея по отрасли «Здравоохранение» на 2013 год на эти цели предусмотрено 27 440,0 тыс. рублей. Кроме того, дети с нарушениями обмена ароматических аминокислот (фенилкетонурия) обеспечивались в 2012 году и будут обеспечиваться в 2013 году специализированными продуктами лечебного питания без фенилаланина за счет средств республиканского бюджета Республики Адыгея в рамках реализации Закона Республики Адыгея № 278 от 30.12.2004 «О мерах социальной поддержки отдельных категорий жителей Республики Адыгея».

Для сравнения, на сегодняшний день в Ставропольском крае 147 орфанных больных из них 128 детей, 19 старше 18 лет. Характерно, что наиболее распространенным орфанным заболеванием является фенилкетонурия. Лечение таких больных обходится в 3,8 миллиона руб. в год. Есть и данные по другим болезням: годовое лечение больного легочной гипертензии обходится в 2,5 миллиона, гемоглобурии – 35 миллионов рублей. Последняя – самая затратная, в Ставропольском крае трое жителей страдают этой болезнью, им чуть более 20 лет. Есть и более «дорогие» орфанные больные, содержание каждого из них обходится до 10 миллионов рублей в год. Для края лечение орфанных больных дело неподъемное, в связи с чем и распределены полномочия между федерацией и субъектами. Однако обеспечить всех орфанных больных ЛП здравоохранение Ставропольского края не в состоянии, в связи с высокочатотностью данных патологий. На сегодняшний день федеральным правительством закупается 61 % ЛП для лечения орфанных больных, из них большая часть импортного производства.

Таким образом, на наш взгляд, учитывая высокую стоимость ЛП для лечения больных, страдающих орфанными заболеваниями, и соответственно большую финансовую

нагрузку на бюджеты дотационных субъектов РФ необходимо отнести полномочия по финансовому обеспечению граждан ЛП для лечения редких (орфанных) заболеваний к полномочиям федеральных органов государственной власти РФ.

Большинство ЛП, применяемых при лечении «орфанных» болезней, дорогостоящие и выпускаются малыми партиями, в связи с чем их продажа не покрывает расходы производителя. Во многих странах позиции по ЛП применяемым в лечении «орфанных» заболеваний поддерживаются государственными дотациями. В России же большинство этих ЛП не только не выпускается, но и не закупается из-за слишком низкого спроса. Решить эту проблему невозможно, пока не будет создан реестр «орфанных» больных, не прописана терминология «орфанных» болезней.

Проблема «орфанных» заболеваний носит глобальный характер. Лечение «орфанных» заболеваний требует огромных денежных затрат, но даже самые развитые страны не могут обеспечить полное финансирование медицинской помощи таким больным. Их лечение возможно лишь благодаря внедрению лекарственного страхования (частично оплачивает лечение пациент, остальное страховая компания), а также поддержке государством производителей ЛП для лечения «орфанных» заболеваний. Определенные суммы на лечение таких пациентов поступают от благотворительных организаций [5].

На наш взгляд, с целью оптимизации лекарственного обеспечения больных «орфанными» заболеваниями целесообразно ведение на федеральном уровне нормативных документов по технологии проведения анализа электронных баз данных закупок ЛП в субъектах Российской Федерации (РФ) с целью определения перечня ЛП, подлежащих к закупке по долгосрочным контрактам. Кроме того, должны быть определены четкие критерии, на основании которых ЛП включаются в процедуру закупки по долгосрочным контрактам и методика определения начальной максимальной цены данных контрактов.

В части обеспечения лекарственной безопасности РФ необходимо совершенствование и развитие системы фармаконадзора в нашей стране:

- создание и развитие сети региональных лабораторий контроля качества ЛП;
- совершенствование системы регистрации нежелательных побочных реакций ЛП, расширение объема сбора информации при регистрации нежелательных побочных реакций на воздействие ЛП;
- создание системы обработки регистрируемых данных;
- создание федерального ресурса, позволяющего осуществлять объективную оценку безопасности и эффективности применяемых на территории страны ЛП;

- формирование региональными и федеральными центрами фармаконадзора рекомендаций для осуществления закупок ЛП на федеральном и региональном уровнях с учетом безопасности и эффективности ЛП;
- развитие и оптимизация системы стандартизации лечебного процесса, более гибкое использование ограничительных списков в сочетании со стандартами оказания медицинской помощи;
- осуществление информатизации здравоохранения: разработка и сопровождение электронных информационных ресурсов для врачей и средних медработников, для пациентов; внедрение федерального программного обеспечения, позволяющего вести медицинские карты больных (стационарных и амбулаторных) и осуществлять учет ЛП в электронном виде;
- повышение роли общественных организаций, ассоциаций врачей и медицинских работников в разработке стандартов оказания медицинской помощи и вопросах непрерывного профессионального образования;
- контроля референтных цен;
- гармонизации всех списков (ограничительных);
- формирование перечней орфанных (редких) заболеваний;
- разработка федерального положения о биоаналогах ЛП;
- совершенствование системы контроля качества сырья и субстанций, закупаемых государством для изготовления ЛП;
- утверждение сроков пересмотра и корректировка стандартов оказания медицинской помощи и списков ЛП.

**Выводы.** Таким образом, вопрос оказания медицинской помощи пациентам с «орфанными» заболеваниями становится вопросом этическим. Лекарственная помощь для этих пациентов за счет средств федерального финансирования не предусмотрена, а субъекты РФ имеют неодинаковые финансовые возможности, и у пациентов в так называемых дотационных регионах шансы на получение дорогостоящей помощи очень малы. Поэтому пациенты, страдающие орфанными заболеваниями, зачастую остаются социально незащищенными.

В настоящее время определены две основные тенденции в лечении орфанных заболеваний: это использование в фармакотерапии таргетных ЛП (воздействуют на определенный рецептор, обладающий уникальным действием) и персонифицированная медицина (фармакогенетика), т.е. персонификация лечения на основе выявленных генетических полиморфизмов [2].

Определение проблемных областей и приоритетов дальнейшего развития в России системы лекарственного снабжения для лечения больных орфанными заболеваниями является необходимым и актуальным. Однако этап создания структур управления лекарственным обеспечением населения затягивается и проходит при отсутствии единой методологической основы.

Необходима пациенто-ориентированная система лекарственного обеспечения, которая решала бы задачу лечения (профилактики) конкретной орфанной болезни у конкретного больного, а не абстрактные задачи обеспечения отдельных категорий граждан или поддержки предприятий-производителей.

Реализация этой задачи требует серьезной работы по разработке законодательной и нормативной правовой базы, регламентирующей лечение больных с орфанными заболеваниями и вывода на рынок инновационных орфанных ЛП, а создание устойчивого спроса формирует мотивацию производителей, возможности регулирования цен на ЛП и атрибуты цивилизованного рынка.

Кроме того, для решения проблем больных с редкими заболеваниями важно изучение международного опыта согласно разработанным алгоритмам лечения редких заболеваний, с целью его внедрения в практику отечественного здравоохранения. Необходимо повышение уровня осведомленности об орфанных заболеваниях; объединение пациентов и специалистов, в решении вопросов оказания помощи пациентам с редкими болезнями, как в регионах, так и стимулирование сотрудничества и обмена знаниями внутри России.

### **Список литературы**

1. Белоусов Ю. Б. Орфанные болезни и орфанные лекарства / Ю. Б. Белоусов // Семейная медицина и общая терапия. – 2007. – № 20. – С. 59-60.
2. Бондарева Т. М. Инновационные схемы, влияющие на изменения в подходах к лечению орфанных заболеваний и вывода на Российский фармацевтический рынок таргетных лекарственных препаратов / Т. М. Бондарева, В. В. Гордиенко, С. А. Парфейников // Матеріали Міжнародної науково-практичної internet конференції: Менеджмент та маркетинг у складі с учасної економіки, науки, освіти, практики. – (28-29 березня 2013 року). – Харків, 2013. – С.318-324.
3. Бондарева Т. М. Особенности лекарственного обеспечения отдельных категорий населения в России и за рубежом / Т.М. Бондарева, Г.С. Баркаев // Молодые ученые в решении актуальных проблем науки: сб. работ III Междунар. научн. – практ. конф. – Владикавказ, 2012. – Ч.1. – С. 168-172.

4. Воробьев П. А. Положение о лекарственном обеспечении больных с 7 редкими дорогостоящими заболеваниями на конец апреля месяца 2008 г. / под редакцией П. А. Воробьева. – М., 2008. – С. 24-28.
5. Громеко Л. Лечение орфанных заболеваний / Л. Громеко // Российское агентство медико-социальной информации «АМИ». – 2012.

**Рецензенты:**

Андреева Ирина Николаевна, доктор фармацевтических наук, профессор кафедры УЭФ ФПО Пятигорского медико-фармацевтического института – филиала ГБОУ ВПО «Волгоградский государственный медицинский институт» Министерства здравоохранения Российской Федерации, г. Пятигорск.

Степанова Элеонора Федоровна, доктор фармацевтических наук, профессор кафедры технологии лекарств Пятигорского медико-фармацевтического института – филиала ГБОУ ВПО «Волгоградский государственный медицинский институт» Министерства здравоохранения Российской Федерации, г. Пятигорск.