



VIII  
Всероссийский 2017  
Конгресс Пациентов



# Вопросы доступности орфанных препаратов в России

**Мясникова Ирина Владимировна**

Сопредседатель Всероссийского Союза Пациентов,  
Председатель правления Всероссийского общества  
орфанных заболеваний

Москва, 2017

## Программы для льготного обеспечения орфанными препаратами в РФ

- Программа 7 Нозологий (Федеральный бюджет (есть регистр))
- Программа «Перечень 24» (Постановление Правительства РФ №403) (есть регистр)
- Региональные бюджеты (890 Постановление Правительства, региональные программы)
- В системе ОМС – в клиниках

# Текущая ситуация по обеспечению орфанными препаратами

- Даже после принятия ФЗ №323, в котором четко указано, что обеспечение пациентов с редкими заболеваниями происходит за счет средств регионального бюджета (статья вступила в силу с 01.01.2012), многие пациенты с редкими нозологиями сегодня не получают необходимого лечения
- Отсутствует перечень орфанных ЛС, которыми должны обеспечиваться пациенты с ЖО и ХП РЗ\*
- Стандарты лечения должны регламентировать перечень ЛС и медицинских процедур, которые показаны данным пациентам, однако утвержденных стандартов лечения всех «орфанных пациентов» нет, проекты стандартов разработаны не для всех нозологий

*По неофициальным данным, в РФ насчитывается около 1,5 – 2 млн. пациентов с редкими заболеваниями, из которых для 30 000 существуют препараты для патогенетического лечения*

## Возможные варианты обеспечения ЛС пациентов с орфанными заболеваниями

### Средства бюджета субъекта РФ

По программе обеспечения пациентов с 24 жизнеугрожающими острыми и хроническими прогрессирующими орфанными заболеваниями

- Пациенты, включенные в регистр, должны получать все необходимые ЛС, зарегистрированные на территории РФ для данных заболеваний, бесплатно за счет средств регионов
- По факту наблюдается сильное недофинансирование данной программы на местах ввиду высокой стоимости лечения и отсутствия средств у субъекта

**Поскольку орфанные препараты преимущественно не входят в перечни ЛС РФ, добиться их получения пациентам довольно сложно**

### Адресно по постановлению правительства РФ №890

*чаще всего через судебные разбирательства*

- Дети первых 3 лет жизни, а также дети из многодетных семей в возрасте до 6 лет
- Инвалиды I группы, неработающие инвалиды II группы, дети-инвалиды в возрасте до 18 лет

### Внебюджетные источники

За счет средств благотворительных фондов и организаций

- Закупаются разово (1-2 курса терапии), в основном, для детей и вновь выявленных пациентов

# Статус идиопатического легочного фиброза в орфанных перечнях

## 216 нозологий (включен)

*Перечень редких заболеваний пересматривается ежегодно. В 2017 году перечень утвержден без изменений и содержит 216 заболеваний*

- Регистрация: не требуется проведения локальных клинических исследований
- Федеральное и региональное финансирование для указанной группы не предусмотрено

## 24 нозологии (не включен)

*Перечень сформирован и утвержден, включает 24 нозологии:*

- Гемолитико-уремический синдром
- Пароксизмальная ночная гемоглобинурия
- Идиопатическая тромбоцитопеническая пурпура
- Наследственный дефицит факторов II
- Классическая фенилкетонурия и др.
- Дефект в системе комплемента
- Преждевременная половая зрелость
- Тирозинемия
- Нарушения обмена жирных кислот
- Болезнь «кленового сиропа»
- Изовалериановая ацидемия, и другие
- Сфинголипидозы
- Адреналовая дисплазия
- Глютарикацидурия
- Галактоземия
- Гомоцистинурия
- Мукополисахаридоз, тип I
- Мукополисахаридоз, тип II
- Мукополисахаридоз, тип VI
- Порфирия
- Нарушения обмена меди (болезнь Вильсона)
- Незавершенный остеогенез
- Легочная артериальная гипертензия (идиопатическая) (первичная)
- Юношеский артрит с системным началом

# Первоочередные меры, необходимые с целью решения проблемы доступности орфанных препаратов

- Включение ИЛФ в Перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан и их инвалидности
- Создание Перечня орфанных препаратов, в который были бы включены препараты патогенетической терапии орфанных заболеваний
- Участие федерального бюджета в софинансировании лекарственного обеспечения для больных с редкими заболеваниями при сохранении финансирования сопутствующего лечения на региональном и муниципальном уровнях
- Организация системы федерального и регионального мониторинга лекарственного обеспечения орфанных пациентов под эгидой Комитета Государственной Думы РФ по охране здоровья, профильных ведомств



VIII  
Всероссийский 2017  
Конгресс Пациентов

**Спасибо за внимание!**

[www.patients.ru](http://www.patients.ru)