

РЕЗОЛЮЦИЯ

V Всероссийского форума по орфанным заболеваниям

(МИА «Россия сегодня», 28 февраля – 1 марта 2023 г.)

V Всероссийский форум по орфанным заболеваниям, приуроченный к Международному Дню редких болезней, состоялся 28 февраля – 1 марта 2023 года в гибридном формате (онлайн-трансляция работы площадки в МИА «Россия сегодня»). В преддверии основной программы Форума состоялись 4 тематических экспертных сессии с участием пациентов и медицинских специалистов, посвященных вопросам внедрения неонатального скрининга и диагностики орфанных заболеваний, моделям организации медицинской помощи орфанным пациентам, стратегии лекарственного обеспечения и реабилитации пациентов с орфанными заболеваниями. Основные проблемы, выявленные в рамках предварительных экспертных сессий, и возможные варианты их решения были озвучены в ходе основной программы Форума.

1. Необходимо отметить поступательное ежегодное повышение доступности медицинской помощи пациентам с орфанными заболеваниями. За год, прошедший со времени проведения IV Всероссийского форума по орфанным заболеваниям, начата реализация программы расширенного неонатального скрининга на 36 наследственных заболеваний (на момент проведения Форума уже было обследовано более 130 тысяч новорожденных, из них у 38 были выявлены наследственные патологии (наследственные болезни обмена, спинальная мышечная атрофия, первичные иммунодефициты), перечень заболеваний, обеспечиваемых Фондом «Круг добра», вырос с 48 до 70 позиций, значительно расширены перечни обеспечиваемых Фондом видов медицинской помощи, медицинских изделий и лекарственных препаратов, одновременно приняты меры по снижению нагрузки на Программу ВЗН за счет перевода лекарственного обеспечения несовершеннолетних пациентов под финансирование за счет средств Фонда «Круг добра», в программу государственных гарантий погружены новые положения о медицинской реабилитации.

В то же время, перед отечественной системой здравоохранения встают всё новые вызовы, требующие оперативного реагирования, вызванные, с одной стороны, изменением геополитической и макроэкономической ситуации, а с другой стороны, появлением новых все более эффективных и более затратных терапевтических опций. Также и программа расширенного неонатального скрининга в сочетании с повышением доступности инновационной лекарственной терапии влечет рост общего числа орфанных пациентов.

При этом сохраняется ряд хронических проблем, с которыми много лет сталкиваются орфанные пациенты на пути к получению жизненно необходимой медицинской помощи, фундаментом которых было и остается отсутствие единой комплексной стратегии оказания медицинской помощи пациентам с орфанными заболеваниями, что, в свою очередь, влечет фрагментарность регулирования, разрозненность нормативных решений и подходов к оказанию помощи пациентам с разными редкими заболеваниями, зачастую отсутствие четкого распределения зон ответственности между различными федеральными органами и субъектами Российской Федерации, необходимого для исключения пробелов в решении вопросов создания и поддержания отдельных элементов обеспечения доступа к медицинской помощи.

2. Согласно статье 72 Конституции Российской Федерации координация вопросов здравоохранения, в том числе обеспечение оказания доступной и качественной медицинской помощи, относится к вопросам совместного ведения Российской Федерации и субъектов Российской Федерации.

В этой связи необходим единый скоординированный стратегический подход к редким заболеваниям – создание целостной системы медицинской помощи пациентам с орфанными заболеваниями, включающей расходные обязательства как федерального, так и региональных бюджетов. При этом объем расходных обязательств должен соотноситься с реальной экономически обоснованной потребностью

Существующая модель **лекарственного обеспечения** редких пациентов включает набор разных программ/правовых актов, предоставляющих принципиально разные возможности доступа к терапии пациентам в зависимости от конкретного диагноза. При этом существующие программы лекарственного обеспечения содержат одновременно как дублирование зон ответственности федерального центра и регионов, не создающее повышенных гарантий доступности терапии, так и «регуляторные дыры», в которых пациенты «теряются» для системы здравоохранения, чтобы потом вновь появиться уже в более тяжелом состоянии и с утратой ранее достигнутого прогресса.

Сейчас законодательство предусматривает:

- обеспечение взрослых пациентов с несколькими орфанными заболеваниями, включенными в Программу ВЗН, за счет средств федерального бюджета, отдельными лекарственными препаратами;

- обеспечение отдельными лекарственными препаратами детей за счет Фонда «Круг добра» по утвержденным в установленном порядке перечням х заболеваний и лекарственных препаратов, а также по Программе ВЗН;

- обеспечение за счет средств регионального бюджета любыми лекарственными препаратами пациентов с 17 орфанными заболеваниями по перечню, утвержденному постановлением Правительства РФ от 26.04.2012 № 403;

- обеспечение лекарствами за счет средств регионального бюджета и субвенций федерального бюджета всех пациентов, которым установлена инвалидность;

- отдельный «большой» перечень орфанных заболеваний, ведение которого осуществляется Минздравом России, используемый в целях определения статуса лекарственных препаратов, но не предусматривающий никакого лекарственного обеспечения.

Несмотря на принципиально разный уровень доступности лекарственной терапии пациентов в зависимости от наличия определенного статуса и вхождения заболеваний в 1 из перечней, из числа указанных выше, абсолютно для каждого из перечисленных случаев существует свой специфичный набор проблем.

2.1. Так, Программа ВЗН, ставшая когда-то настоящим прорывом и на протяжении многих лет представлявшая образцовую модель лекарственного обеспечения, в последние годы испытывает серьезнейший дефицит финансирования в десятки миллиардов рублей, фактически вынуждающий уполномоченное учреждение Минздрава России контрактовать каждый текущий период за счет бюджетов следующих лет.

Осуществленный в текущем году перевод всех несовершеннолетних пациентов из Программы ВЗН в Фонд «Круг добра» позволит замедлить угасание

Программы, но не может ее спасти без дополнительного финансирования и изменения принципов ее наполнения, в частности:

- критерий нулевого влияния на бюджет препятствует включению новых эффективных препаратов;
- нет ни процедуры, ни критериев включения новых нозологий, что не позволяет распространить эффективные механизмы программы на другие заболевания;
- отсутствие возможности подачи дополнительных заявок в части вновь выявленных пациентов в течение года создает неопределенность с доступностью терапии для таких пациентов, либо (в зависимости от подхода региона) приводит к дефициту препаратов в течение года ввиду перераспределения заявленной потребности на новых пациентов;
- отсутствие преемственности диагноза, а также кодирования детских патологий и взрослых состояний. Например, пациентам с установленным системным ювенильным артритом (МКБ-10: M08.2) после достижения возраста 18 лет присваивается другой диагноз (МКБ-10: M06.0, M06.1 и др.), что не позволяет взрослым пациентам продолжать лечение в рамках Программы ВЗН.

2.2. В части Фонда «Круг добра» озвучивались опасения экспертов, связанные с тем, что из дополнительного (временного) источника лекарственного обеспечения, применяемого на период, пока пациента не «подхватит» государственное здравоохранение (как изначально предполагалась его концепция и как работают подобные фондовые структуры в других странах), он превращается в основной и единственный источник для все большего и большего количества заболеваний, включая те, которые раньше обеспечивались, к примеру, Программой ВЗН.

Кроме того, все более угрожающей выглядит ситуация с лекарственным обеспечением взрослеющих подопечных Фонда.

В 2022 году срок лекарственного обеспечения несовершеннолетних пациентов за счет Фонда «Круг добра» был продлен на 1 год после достижения возраста 18 лет, что позволило большинству пациентов избежать критичных последствий в прошедшем году. В то же время, в отсутствие системного решения уже в 2023 году лишатся доступа к терапии часть достигших 19-тилетнего возраста пациентов, у которых на фоне эффективной терапии функции организма сохранились на уровне, не позволяющем получить статус инвалида и, соответственно, претендовать на лекарственное обеспечение. Другая часть пациентов (имеющие статус инвалида) столкнется с высоким риском недоступности дорогостоящих лекарств, которые ранее закупал для них Фонд, ввиду дефицита региональных бюджетов.

2.3. Несмотря на озвученные проблемы, лекарственное обеспечение на федеральном уровне, как правило, намного стабильнее, чем региональное лекарственное обеспечение, где доступность терапии для орфанного пациента напрямую обусловлена размером регионального бюджета и приоритетами регионального министерства здравоохранения.

Наиболее сложной является ситуация с орфанными заболеваниями, не вошедшими в систему централизованного лекарственного обеспечения и не предусмотренными перечнем, утвержденным постановлением Правительства РФ от 26.04.2012 № 403. Пациенты с такими заболеваниями могут рассчитывать на лекарственное обеспечение только при наличии инвалидности.

Фактически, вместо предупреждения инвалидизации и обеспечения препаратами, не дожидаясь и во избежание значимого уровня утраты функций организма, существующая система стимулирует рост числа инвалидов, увеличивая расходы, связанные с дополнительными гарантиями инвалидов, и снижая численность трудоспособного населения.

При этом сама по себе существующая система регионального обеспечения малоэффективна не только с точки зрения пациентов, но и с точки зрения бюджетных расходов, поскольку децентрализованные закупки не позволяют регионам рассчитывать на получение цен на лекарственные препараты, сопоставимые с ценами при крупных заказах.

Стоит отметить, что изначально при формировании перечня заболеваний, утвержденного постановлением Правительства РФ от 26.04.2012 № 403, учитывалось наличие доступных терапевтических опций. Однако, за прошедшие более чем 10 лет медицинская наука и фармацевтика шагнули далеко вперед и сегрегация пациентов с орфанными заболеваниями из «большого» перечня на имеющих и не имеющих беспрепятственного доступа к лекарственной терапии порождает высокий уровень социальной несправедливости. Например, один и тот же препарат показан для пациентов с гемолитико-уретическим синдромом, пароксизмальной ночной гемоглобинурией и оптиконевромиелитом – при первом заболевании обеспечение предусмотрено в рамках Программы ВЗН, при втором – в рамках постановления Правительства РФ № 403, при третьем – не предусмотрено. Похожая ситуация есть и с иными препаратами, например, один из препаратов, включенных в Программу ВЗН для терапии юношеского артрита с системным началом, также показан в лечении иных аутовоспалительных заболеваний и даже закупается для детей за счет Фонда «Круг добра», но взрослые с аутовоспалительными заболеваниями не имеют специального нормативно определенного канала доступа к терапии.

2.4. В этой связи необходим единый системный подход к лекарственному обеспечению орфанных пациентов, включающий, в частности:

а) определение критериев (в т.ч.ценностно-стоимостных) для перевода обеспечения отдельными препаратами с регионального на федеральный уровень (в ВЗН или иную федеральную программу);

б) утверждение правил формирования бюджета ВЗН, предусматривающих ежегодную индексацию на основании данных регистра пациентов;

в) определение источника финансирования лекарственного обеспечения пациентов, обеспечивавшихся Фондом «Круг добра», после 19-тилетия;

г) проактивный пересмотр Минздравом России «большого перечня» орфанных заболеваний (часть 2 статьи 44 Закона №323-ФЗ);

д) утверждение периодичности и порядка пересмотра перечня орфанных заболеваний, подлежащих региональному лекарственному обеспечению (постановление Правительства РФ от 26.04.2012 № 403). При этом необходимо предусмотреть систематическое расширение перечня орфанных заболеваний, утвержденного постановлением Правительства РФ от 26.04.2012 № 403, путем включения в него новых редких (орфанных) заболеваний из перечня, предусмотренного частью 2 статьи 44 Закона №323-ФЗ, отвечающих одновременно двум условиям:

- заболевание относится к жизнеугрожающим и хроническим прогрессирующим заболеваниям, приводящим к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности;

- для лечения заболевания или поддержания функций организма при данном заболевании существует лекарственная терапия или специализированные продукты лечебного питания;

е) перевод лекарственного обеспечения детей с отдельными заболеваниями, включенными в постановление Правительства РФ от 26.04.2012 № 403, в Фонд «Круг добра».

В то же время, в рамках пленарной дискуссии было отмечено, что после предыдущей «федерализации» лекарственного обеспечения ряда орфанных заболеваний некоторые регионы вместо перераспределения финансирования на других орфанных пациентов решили направить высвободившиеся средства на иные цели. Тем самым, позитивный эффект «федерализации» был несколько снижен для системы в целом. Во избежание дальнейшего снижения «орфанных» бюджетов следует рассмотреть введение в законодательство инструментов ограничения прав регионов на немотивированное сокращение соответствующих статей расходов.

Необходимо также предусмотреть единую систему учета пациентов с орфанными заболеваниями. Сейчас учет ведется в отношении отдельных нозологий, включенных в ВЗН или перечень жизнеугрожающих заболеваний (403-ПП). Тем не менее, существующие регистры ведутся недостаточно полно, и не охватывают всей необходимой информации о пациентах для принятия решения о пересмотре программ лекарственного обеспечения орфанных заболеваний.

2.5. В целях **повышения эффективности расходования средств региональных бюджетов** на закупку орфанных препаратов (в части препаратов, обеспечение которыми которых не переданы на федеральный уровень) целесообразно:

а) рассмотреть возможность централизации закупки лекарственных препаратов для пациентов с редкими (орфанными) заболеваниями, являющихся расходным обязательством субъектов Российской Федерации, либо проведения совместных закупок субъектов РФ по таким препаратам, с объединением с закупками аналогичных препаратов для пациентов, получающих терапию в рамках Фонда «Круг добра»;

б) утвердить базовые критерии по централизации закупки препаратов, являющихся расходным обязательством субъектов Российской Федерации, например, высокую стоимость терапии и ее доступность в России, наличие регистра пациентов, а также управляемость заболевания, когда получение своевременной и бесперебойной терапии существенно влияет на результаты лечения, помогает предотвратить инвалидизацию и смертельные последствия для пациентов;

в) сформировать регистр пациентов со всеми нозологиями, которые являются расходным обязательством субъектов Российской Федерации. Регистр является важным инструментом оценки общей статистики по заболеваемости и расчета требуемого размера бюджетных ассигнований для обеспечения пациентов необходимой терапией.

3. Экспертами была отмечена сохраняющаяся проблема с отсутствием четкого регуляторного решения с применением у пациентов препаратов, полученных в рамках программ лекарственного обеспечения, при оказании медицинской помощи за счет средств ОМС.

В Программе государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи на 2023 год присутствуют КСГ для введения в рамках ОМС препаратов, предоставленных пациентом или иной организацией, действующей в интересах пациента из иных источников финансирования. Однако, во-первых, такие тарифы предусмотрены только при лечении онкологических заболеваний, во-вторых, по-прежнему отсутствует решение для многокомпонентной терапии, если только часть препаратов получена из внешнего источника.

4. Одной из важнейших задач системы здравоохранения является своевременное **выявление редкого заболевания** на ранних этапах для обеспечения максимальной сохранности пациента и эффективности терапии. Пациентами и медицинскими специалистами отмечалось, что задержки в постановке окончательного диагноза могут составлять до нескольких лет, даже у пациентов с заболеваниями для которых существует возможность ранней диагностики и начала терапии, что зачастую приводит к утрате перспектив стабилизации пациента, распространена ложная диагностика (в среднем, орфанный пациент получает 3 ложных диагноза до постановки верного), влекущая неверный подбор первоначальной тактики лечения. Ключевыми причинами являются:

- отсутствие должного уровня орфанной настороженности у терапевтов (педиатров), в особенности, если заболевание имеет неспецифичную симптоматику на ранних стадиях;

- отсутствие знаний у профильных специалистов первичного звена для верной квалификации симптоматики и выбора диагностических методов подтверждения диагноза;

- отсутствие технологических возможностей для выявления редких заболеваний в некоторых регионах, а также отсутствие выстроенной системы («пирамиды») диагностики редких заболеваний с референс-центрами (по аналогии с системой в расширенном неонатальном скрининге);

- для большинства орфанных заболеваний существенную проблему составляет отсутствие необходимых диагностических исследований (например, антитела к аквапорину-4) в программе государственных гарантий бесплатного оказания медицинской помощи. Такие исследования доступны зачастую только за счет средств пациентов или, применительно к отдельным заболеваниям, в единичных федеральных медицинских организациях, где такие исследования осуществляются за счет сторонних коммерческих организаций, т.е. вне государственной системы здравоохранения;

- в ряде регионов экспертами была отмечена низкая доступность цитогенетических и молекулярно-генетических исследований в связи с недостатком лабораторий и чрезмерно укрупненными КСГ, не учитывающими критично разный уровень затратоемкости отдельных методов исследований. Например, экспертами отмечалась низкая доступность высокоинформативного секвенирования нового поколения (NGS) ввиду невозможности покрытия стоимости исследования действующими тарифами.

Эти проблемы носят системный характер и могли быть решены в рамках создания стратегии развития системы диагностики редких заболеваний и развития медико-генетической службы в Российской Федерации.

5. В отношении **расширенного неонатального скрининга** были отмечены два основных направления повышения эффективности программы:

- повышение уровня информированности и доверия к программе со стороны населения за счет организации просветительской работы о

неонатальном скрининге и выявляемых заболеваниях среди населения, включая размещение информационных материалов в женских консультациях и роддомах, создание «горячей линии» для родителей о неонатальном скрининге, социальную рекламу скрининга в СМИ;

- создание условий для оперативного доступа к медицинской помощи пациентам, выявленным в рамках неонатального скрининга, включая создание запаса лечебного питания для вновь выявленных пациентов (возможно с использованием ресурсов Фонда «Круг добра», либо с установлением требований по созданию запасов регионами), а также путем мониторинга Минздравом России создания схем маршрутизации выявленных пациентов в регионах с оказанием методического содействия «отстающим» субъектам Российской Федерации.

6. В существующих реалиях серьезные опасения как у пациентского, так и у медицинского сообщества вызывает **отсутствие отечественных тест-систем** для генетических исследований. Необходимость их закупки исключительно за рубежом влечет как увеличение расходов из-за курсовых колебаний, так и снижение физической доступности при введении ограничительных мер со стороны третьих государств.

В части перспективного инструмента повышения лекарственной безопасности было предложено продолжить работу над возрождением производственных аптек, которые могли бы стать базой мелкосерийного изготовления отдельных препаратов, используемых в терапии орфанных заболеваний.

7. Экспертами отмечалась недостаточность правовой базы организации медицинской помощи редким пациентам, в частности, отсутствие единых подходов к маршрутизации пациентов, отсутствие (например, по гемофилии, болезни Дюшенна, оптиконевромиелиту) либо нарушение сроков обновления клинических рекомендаций (например, по нейробластоме), а также отсутствие стандартов по большинству орфанных заболеваний, что, в свою очередь, влечет отсутствие специальных тарифов для специализированной медицинской помощи, покрывающих расходы на помощь редким пациентам.

В части клинических рекомендаций было обращено внимание на участвовавшие случаи несоблюдения **сроков рассмотрения и одобрения клинических рекомендаций**, установленных Приложением №1 к приказу Министерства здравоохранения Российской Федерации от 28.02.2019 № 104н. По ряду клинических рекомендаций процесс рассмотрения и одобрения может занимать год и более, тем самым, в условиях быстрого развития медицинской науки к моменту вступления клинических рекомендаций в силу они зачастую уже теряют свою актуальность и не содержат современных методов диагностики и лечения.

8. Крайне разочарывающим следует признать утвержденный приказом Минздрава России от 20.05.2022 № 344н «Перечень заболеваний или состояний (групп заболеваний или состояний), при которых страдающие ими лица, достигшие совершеннолетия, вправе до достижения ими возраста 21 года наблюдаться и продолжать лечение в медицинской организации, оказывавшей им до достижения совершеннолетия медицинскую помощь при таких заболеваниях или состояниях (группах заболеваний или состояний)».

В указанный перечень попали исключительно заболевания онкологического профиля, тем самым орфанные пациенты иных профилей были лишены возможности продолжать лечение в медицинской организации, оказывавшей им

медицинскую помощь до достижения совершеннолетия. По ряду орфанных заболеваний возраст 20-ти лет переживают только единичные пациенты и «взрослые» врачи просто не имеют необходимых знаний для работы с такими пациентами, при этом для самого пациента создается критично стрессовая ситуация, связанная со сменой врача, который сопровождал его в течение всего времени с постановки тяжелого редкого диагноза.

Исключение **возможности для орфанных пациентов продолжать лечение в «детских» медицинских организациях**, по мнению экспертов, является негуманным, не несет практической пользы для системы здравоохранения, повышая при этом риски для самого пациента.

9. Эксперты выразили обеспокоенность с регулированием вопроса **применения лекарственных препаратов off-label**.

Во-первых, формулировки статьи 14.1 статьи 38 Федерального закона «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» ограничивают возможность назначения препаратов off-label несовершеннолетним пациентам наличием указаний на такой препарат в клинических рекомендациях и стандартах оказания медицинской помощи. В то же время, по ряду большинству орфанных заболеваний отсутствуют клинические рекомендации и, возможно, не появятся в обозримой перспективе ввиду крайне малого количества пациентов и только единичных медицинских специалистов, компетентных в терапии. Даже по тем заболеваниям, по которым разработаны клинические рекомендации, их пересмотр на практике может занять от полугода до нескольких лет, в течение данного периода off-label терапия также остается недоступной.

Тем самым, положения статьи 14.1 статьи 38 Федерального закона «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» лишают орфанных пациентов доступа к терапии.

Во-вторых, за 15 месяцев, прошедших с даты принятия Федерального закона от 30.12.2021 г. № 482-ФЗ (про назначение препаратов off-label), и 9 месяцев с даты его вступления в силу Правительством РФ так и не утверждены предусмотренные ч.14.1 ст.38 Закона № 323-ФЗ требования к препаратам, назначаемым off-label. В отсутствие данных требований невозможно включить препараты в клинические рекомендации.

Можно констатировать, что в настоящее время нормы об использовании препаратов off-label заблокированы и не могут применяться.

10. Отдельно в ходе экспертных дискуссий пациентами отмечалось отсутствие возможности **получения квалифицированной медицинской помощи** и реабилитации **в регионе проживания** и необходимость самостоятельного обращения в федеральные центры для наблюдения и определения тактики лечения. Для пациентов с ограниченными возможностями к передвижению или проживающих в территориально удаленных местностях такая ситуация приводит к утрате доступа к медицинской помощи.

Возможным решением могло бы стать развитие многоуровневой сети медико-генетической службы и службы помощи орфанным пациентам, а также создание в субъектах Российской Федерации специализированных орфанных центров (мультидисциплинарных команд), занимающихся диагностикой, лечением и реабилитацией особых групп пациентов.

В качестве примера экспертами приводился опыт Франции, где выстроена трехуровневая модель орфанной помощи, включающая более 1800 региональных (межрегиональных) центров компетенций (экспертных центров) по отдельным редким заболеваниям, координация которых применительно к отдельным редким заболеваниям (группам заболеваний) осуществляется мультидисциплинарными референс-центрами (более 380). Применительно к разным редким заболеваниям одно и то же учреждение может иметь разный статус. Учреждения, занимающиеся определенным профилем редких заболеваний, (как экспертные, так и референс-центры) объединены в «сеть» по определенному профилю оказания медицинской помощи с единым координатором.

Также отмечалась необходимость усиления акцента в регионах на развитии не столько медицинской, сколько комплексной медико-социальной помощи пациентам с редкими заболеваниями в формате «одного окна».

11. Общими для всех орфанных заболеваний проблемами являются **недостаточный уровень знаний медицинских специалистов** об орфанных заболеваниях, особенно в первичном звене, а также дефицит генетических служб в регионах, недостаток квалифицированных кадров как генетиков, так и профильных специалистов, например, гематологов, работающих с редкими формами онкогематологических заболеваний (острые лейкозы etc.). Необходимо комплексное решение вопроса путем:

- внедрения в среднесрочной перспективе систем поддержки принятия врачебных решений в рамках развития ЕГИСЗ и ВИМИС;

- формирования базы реальной клинической практики по результатам лечения на основе региональных регистров и информационного ресурса Фонда Круг Добра;

- включения в программы НМО обязательных разделов по генетике и орфанным заболеваниям, создания образовательных модулей (курсов) по орфанной настороженности и ранней диагностике орфанных заболеваний (по аналогии с образовательными курсами по онконастороженности);

- государственного заказа на подготовку кадров для медико-генетических служб;

- нормативного закрепления возможности и порядка проведения заочных консультаций врач (из Федерального центра) – пациент (из любой точки РФ) с использованием телемедицинских технологий, что позволило бы пациентам оперативно получить консультацию узкого специалиста.

Также формирование комплексных знаний об орфанных заболеваниях, а также определение приоритетных направлений развития здравоохранения невозможно в отсутствие клинических регистров орфанных заболеваний, ведение которых осуществлялось бы профильными медицинскими центрами на основании данных ЕГИСЗ.

12. В части **развития стационарзамещающих технологий** (в т.ч. стационара на дому) отмечено отсутствие значимых подвижек в регуляторном поле. Отсутствие таковых ведет к росту расходов государства на оказание специализированной медицинской помощи с существенным ухудшением качества жизни пациентов, вынужденных систематически посещать медицинские организации

Ряд редких заболеваний, ассоциированы с поражением костно-суставной и сердечно-сосудистой системы, снижением слуха, нарушением зрения и др., или требуют обширного хирургического вмешательства, что сопровождается

сложным этапом реабилитации. Такие осложнения делают пациентов маломобильными и серьезно осложняют процесс получения жизненно необходимых инфузий в стационаре. Яркий пример, это пациенты с синдромом короткой кишки с кишечной недостаточностью. После обширной резекции кишечника, требуется получение парентерального питания. Это трудоемкий, снижающий качество и ограничивающий образ жизни вид лечения, который требует инфузии в течение 10–18 часов в среднем пять дней в неделю.

Получение рутинной лекарственной инфузии в стационаре связано со сложной логистикой, снижением приверженности к терапии, серьезно ухудшает качество жизни пациента.

В настоящий момент применение стационарозамещающих технологий предусмотрено в рамках организации работы дневных стационаров, согласно приказам Минздрава России от 09.12.1999 № 438 «Об организации деятельности дневных стационаров в лечебно-профилактических учреждениях» и Минздравсоцразвития России от 15.05.2012 № 543н «Об утверждении Положения об организации оказания первичной медико-санитарной помощи взрослому населению», в которых предусматривается возможность организации медицинской помощи посредством организации «стационаров на дому».

Однако существующие приказы не в полной мере описывают механизм организации и оплаты оказания медицинской помощи и лекарственного обеспечения больным при организации стационаров на дому в системе ОМС переноса задачи организации на уровень субъекта РФ.

В условиях отсутствия четких федеральных нозологически ориентированных подходов по применению стационарозамещающих технологий невозможно обеспечить сопоставимый уровень доступности технологий в разных регионах.

13. В части **реабилитации орфанных пациентов** экспертами был отмечен значимый прогресс в данном направлении в текущем году.

Так, в начале 2023 года при Фонде «Круг добра» создана рабочая группа по реабилитации из числа ведущих экспертов, занимающаяся формированием перечня дорогостоящих ТСР для обеспечения детей за счет средств Фонда.

Ряд усовершенствований в направлении медицинской реабилитации произошел в Программе государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи на 2023 год, включая появление новых КСГ и увеличение стоимости уже существующих, появление коэффициента сложности лечения пациента для 1 этапа медицинской реабилитации.

Впервые в Программе появилась медицинская реабилитация на дому, предусматривающая возможность предоставления пациентам медицинских изделий для восстановления функций органов и систем. Также предусмотрена возможность при отсутствии специалиста по реабилитации в клинике, где наблюдается пациент, например, из удаленного региона, организации телемедицинских консультаций пациентов с медицинскими специалистами по реабилитации, в том числе из федеральных центров.

Тем не менее, остается ряд нерешенных проблем:

- тарифы ОМС остаются недостаточными для реабилитации пациентов с редкими заболеваниями, требующими привлечения серьезных мультидисциплинарных команд из специалистов разного профиля;

- дефицит (особенно в удаленных регионах) качественной психологической поддержки пациентов с привлечением специалистов-психологов, обученных работе с редкими пациентами и членами их семей,

- отсутствие во многих регионах специализированных реабилитационных центров (даже на функциональной основе), отсутствие санаторно-курортных учреждений, приспособленных к потребностям пациентов с отдельными заболеваниями (например, нервно-мышечными);

- недостаток знаний и навыков по реабилитации редких пациентов в первичном звене.

14. **В части технических средств реабилитации (ТСР)**, предоставляемых пациентам по Федеральному перечню, отмечалась распространенность случаев несоответствия закупаемых государством ТСР реальным потребностям пациентов, что влечет бесполезность или низкий уровень полезности ТСР для пациентов и, соответственно, свидетельствует о неэффективном расходовании бюджетных средств. Одной из причин является отсутствие единых методологических подходов к реабилитации по конкретным заболеваниям (например, в форме методических рекомендаций по реабилитации, содержащих в том числе описание методик реабилитации (как медицинской, так и немедицинской) и рекомендуемых ТСР в зависимости от функционального состояния пациента.

Проблема с закупкой не подходящих пациенту ТСР усугубляется заниженным размером компенсации за самостоятельно приобретаемые средства реабилитации – такая компенсация рассчитывается, исходя из цены последней закупки «однородных» ТСР, позволяя фактически осуществлять компенсацию по закупочной стоимости средства реабилитации с заведомо не соответствующими потребностям инвалида характеристиками.

В ходе обсуждения темы реабилитации экспертами отмечалась необходимость рассмотреть вопрос о создании на базе Российской детской клинической больницы специализированного НМИЦ медицинской реабилитации детей и подростков в целях координации и организационно-методического руководства медицинскими организациями субъектов Российской Федерации, включая мероприятия по внедрению инновационных медицинских реабилитационных технологий, дистанционный мониторинг состояния здоровья пациентов, и координацию разработки разделов по реабилитации клинических рекомендаций.

Специалистами отмечалась важность создания условий при ряде заболеваний (например, демиелинизирующего характера) для прохождения реабилитации в сочетании с патогенетическим в специализированных центрах, позволяющих совмещать патогенетическую терапию с реабилитацией.

15. Как и в рамках предыдущих Орфанных форумов, экспертами поднимался вопрос труднодоступности **респираторной поддержки** для ряда орфанных пациентов, нуждающихся в кислородных концентраторах, аппаратах НИВА, откашливателях или пневможилетах. Данные устройства в большинстве регионов могут быть предоставлены только в рамках оказания паллиативной помощи.

При этом действующая редакция Положения об организации оказания паллиативной медицинской помощи предусматривает возможность оказания паллиативной помощи только когда отсутствуют или исчерпаны возможности этиопатогенетического лечения.

В последнее время для все большего количества орфанных заболеваний появляются возможности этиопатогенетического лечения, что формально исключает возможность получения паллиативной помощи. В то же время такие пациенты могут нуждаться в респираторной поддержке в силу специфики заболевания.

Для решения данного вопроса необходимо создание условий для респираторной поддержки вне рамок оказания паллиативной помощи.

16. В рамках пленарной дискуссии, посвященной вопросам **обеспечения лечебным питанием** пациентов с орфанными заболеваниями, эксперты обратили внимание на несколько разноуровневых проблем, связанных как с лечебным питанием в целом, так и с обеспечением специализированными продуктами лечебного питания, в частности:

1) согласно постановлению Правительства РФ от 09.04.2015 г. № 333 специализированные продукты лечебного питания в настоящее время доступны только для детей-инвалидов, страдающих одним из 13 орфанных заболеваний - фенилкетонурией, галактоземией, тирозинемией, гомоцистинурией, глютарикацидурией, болезнью «кленового сиропа», изовалериановой ацидезией, метилмалоновой ацидезией, пропионовой ацидезией, нарушениями обмена жирных кислот, а также больных целиакией, муковисцидозом, гистидинемией. Таким образом, доступа к специализированным продуктам лечебного питания лишены:

а) взрослые пациенты с указанными болезнями обмена (кроме фенилкетонурии, при которой обеспечение безбелковыми продуктами питания, белковыми гидролизатами, ферментами, витаминами осуществляется в рамках постановления Правительства РФ от 30 июля 1994 г. № 890);

б) дети, которым не установлена инвалидность (тем самым, во-первых, провоцируется инвалидизация детей для обеспечения доступа к лечебному питанию, во-вторых, происходит временной разрыв между установлением диагноза и обеспечением питанием в период до установления инвалидности);

в) дети и взрослые, страдающие иными заболеваниями, при которых необходимы специализированные продукты лечебного питания в качестве элемента терапии (кроме гепатоцеребральной дистрофии при которой обеспечение безбелковыми продуктами питания, белковыми гидролизатами, ферментами, витаминами осуществляется в рамках постановления Правительства РФ от 30 июля 1994 г. № 890). Например, разработаны специализированные продукты лечебного питания для пациентов с дефицитом транспортера глюкозы I типа (продукты для кетогенной диеты), врожденной мальабсорбцией глюкозы-галактозы (смеси на основе фруктозы), нарушением цикла мочевины (элементные смеси с повышенным содержанием лейцина, изолейцина, валина), врожденного булезного эпидермолиза (смеси с повышенным содержанием белка и энергии, элементные смеси). Также в специализированном лечебном питании нуждаются пациенты с нервно-мышечными, эндокринными заболеваниями, болезнью Крона, синдромом короткой кишки, онкологическими заболеваниями.

В отсутствие лечебного питания нарушается нутритивный статус пациента, что оказывает критичное влияние на течение заболевания и может привести к неэффективности любой инновационной лекарственной терапии и/или дальнейшему снижению функций организма. И наоборот, своевременная нутритивная поддержка, применение специализированных продуктов лечебного питания существенно улучшают течение заболевания и снижают расходы системы здравоохранения в будущем;

2) в целом отсутствуют инструменты обеспечения лечебным питанием, не относящимся к специализированным продуктам лечебного питания, пациентов, жизненно нуждающихся в таком питании;

3) отсутствие системного подхода к развитию отрасли специализированного питания в форме стратегии или программы, предусматривающих комплекс мероприятий по развитию отечественной компонентной базы и производства готовых продуктов лечебного питания с учетом нужд российской системы здравоохранения. В число исполнителей программы (стратегии) должны быть включены Минпромторг России (в части компонентной базы), Минсельхоз России (в части производства готовой пищевой продукции), Минздрав России (в части лечебного питания), Минобрнауки России (в части научной базы) и Минпросвещения России (в части специализированного питания в образовательных учреждениях).

С учетом изложенного, **участники V Всероссийского форума по орфанным заболеваниям просят:**

Федеральное Собрание Российской Федерации, Правительство Российской Федерации, Минздрав России, Минтруд России, Минпромторг России, Минфин России:

1) обеспечить переход от точечного обеспечения доступа к медицинской помощи пациентам с отдельными редкими заболеваниями к созданию единой целостной системы (стратегии) оказания медицинской помощи больным с редкими (орфанными) заболеваниями, включая:

а) определение критериев (в т.ч.ценностно-стоимостных) для перевода обеспечения отдельными препаратами с регионального на федеральный уровень (в Программу ВЗН или иную федеральную программу), включая такие критерии как:

-высокая стоимость терапии

-управляемость заболевания, когда получение своевременной и бесперебойной терапии существенно влияет на результаты лечения, помогает предотвратить инвалидизацию и смертельные последствия для пациентов;

б) утверждение правил формирования бюджета Программы ВЗН, предусматривающих ежегодную индексацию на основании данных регистра пациентов;

в) нормативное определение периодичности и порядка пересмотра перечня орфанных заболеваний, утвержденного постановлением Правительства РФ от 26.04.2012 № 403), исходя из необходимости включения в него редких (орфанных) заболеваний из перечня, предусмотренного частью 2 статьи 44 Закона №323-ФЗ, отвечающих одновременно двум условиям:

– заболевание относится к жизнеугрожающим и хроническим прогрессирующим заболеваниям, приводящим к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности;

– для лечения заболевания или поддержания функций организма при данном заболевании существует лекарственная терапия или специализированные продукты лечебного питания.

г) создание условий для непрерывности терапии по достижении возраста 19 лет для пациентов с тяжелыми жизнеугрожающими и хроническими заболеваниями, в том числе редкими (орфанными) заболеваниями, обеспечивавшихся лекарственными препаратами за счет средств Фонда «Круг добра»

д) переход в среднесрочной перспективе на превентивное лекарственное обеспечение, исходя из приоритета недопущения инвалидизации населения и необходимости предоставления лекарственных препаратов лицам, страдающим инвалидизирующими заболеваниями, вне зависимости от установления инвалидности (до утраты функций организма);

е) дальнейшее развитие системы централизованных закупок лекарственных препаратов (в том числе с использованием смешанного финансирования из бюджетов разных уровней), как инструмента повышения эффективности расходования бюджетных средств, в части лекарственных препаратов, используемых для лечения редких заболеваний;

ж) определение в законодательстве инструментов ограничения прав регионов на немотивированное сокращение расходов региональных бюджетов на лекарственное обеспечение орфанных пациентов при переводе финансирования отдельных заболеваний на федеральный уровень, в том числе, в Фонд «Круг добра»;

2) создать условия для **ускоренного доступа пациентов к инновационной терапии** (препаратам особой значимости), в том числе:

а) предусмотреть регуляторную базу для формирования отдельного перечня для лекарственных препаратов инновационной терапии (лекарственных препаратов особой значимости) и определить период времени, в течение которого препарат может находиться в таком перечне; по истечении данного периода времени - разработка порядка по повторной оценке особой значимости лекарственного препарата и принятию решения о сохранении данного препарата в перечне лекарственных препаратов особой значимости либо погружению его в соответствующие каналы/программы льготного лекарственного обеспечения (ВЗН и т.д.) – в том числе на основании данных реальной клинической практики;

б) проработать вопрос о создании процедуры поэтапного погружения препаратов, представляющих особую значимость для системы здравоохранения, в программу государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи, исходя из необходимости обеспечить доступность препарата с момента его государственной регистрации, включая следующие возможности:

- в целях сокращения временных разрывов возможность опережающего одобрения протоколов клинической апробации (до регистрации лекарственного препарата),

- для препаратов, отвечающих критериям, предусмотренным нормативной базой деятельности Фонда «Круг добра», начало обеспечения пациентов до регистрации лекарственного препарата, включая рассмотрение вопроса о создании условий применения по жизненным показаниям отечественных препаратов, находящихся на 2-3 фазах клинических исследований, до получения регистрации (на безвозмездной основе);

- сокращенные сроки, а также конкретные условия и критерии включения препарата в ограничительные перечни лекарственных препаратов, включения методов лечения с применением препарата в перечни высокотехнологичной медицинской помощи (если применимо);

- в период до регистрации лекарственного препарата обеспечивать пациентов лекарственными средствами, изготовленными в аптечных организациях по индивидуальным рецептам врачей;

3) создать **организационные основы** для обеспечения доступности медицинской помощи пациентам с редкими заболеваниями, в том числе:

а) разработать единые методологические подходы к маршрутизации пациентов с редкими заболеваниями с утверждением либо соответствующих порядков оказания медицинской помощи, либо методических рекомендаций. В том числе, возможна разработка методических рекомендаций профессиональным медицинским сообществом с последующим их доведением профильными главными внештатными специалистами и главным внештатным специалистом – генетиком до сведения органов управления здравоохранением и главных внештатных специалистов регионов;

б) организовать мониторинг и оказание прикладной методической помощи регионам со стороны Минздрава России (профильных главных внештатных специалистов) по созданию схем маршрутизации пациентов с редкими заболеваниями в регионах на основе методологических подходов, предусмотренных предыдущим абзацем;

в) организовать разработку клинических рекомендаций по редким заболеваниям, обеспечив возможность включения в клинические рекомендации сведений о незарегистрированных лекарственных препаратах;

г) обеспечить создание организационной структуры орфанной помощи, включающей:

- федеральные «центры компетенций» (на базе существующих медицинских организаций), за которыми закрепляются определенные орфанные заболевания (по профилям оказания медицинской помощи, либо группам заболеваний (напр., нервно-мышечные) и территориям) для методического сопровождения, общей координации медицинской помощи;

- региональные орфанные центры (на функциональной основе на базе одной или нескольких медицинских организаций), занимающиеся лечением и сопровождением редких пациентов, методической поддержкой региональных медицинских организаций по орфанным заболеваниям. В зависимости от особенностей региона могут создаваться как общие орфанные центры, обладающие компетенциями и специалистами по широкому кругу орфанных заболеваний, так и специализирующиеся на определенных группах заболеваний (например, нервно-мышечные центры, центры эндокринных патологий). Такие центры должны обеспечивать на региональном уровне, в том числе, решение вопросов выбора тактики терапии и оформление заявок на лекарственное обеспечение, динамическое наблюдение, оценку эффективности терапии, формирование рекомендаций по медицинской реабилитации и обеспечению ТСР, сопровождение передачи пациентов из детской во взрослую сеть (преемственность терапии), ведение регистров. Структура центров должна предусматривать все этапы оказания медицинской помощи (профилактика, диагностика, лечение, медицинская реабилитация, возможно также паллиативная помощь);

- создание четкой системы маршрутизации пациента на всех уровнях оказания медицинской помощи;

д) разработать и утвердить порядок диспансерного наблюдения пациентов с жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями;

е) включить орфанные заболевания в Перечень заболеваний или состояний (групп заболеваний или состояний), при которых страдающие ими лица, достигшие совершеннолетия, вправе до достижения ими возраста 21 года

наблюдаться и продолжать лечение в медицинской организации, оказывавшей им до достижения совершеннолетия медицинскую помощь при таких заболеваниях или состояниях (группах заболеваний или состояний);

ж) скорректировать положения Закона № 323-ФЗ о назначении лекарственных препаратов off-label, исходя из необходимости создания условий для назначения таких препаратов детям в случаях отсутствия (или неактуальности) клинических рекомендаций;

з) рассмотреть в качестве альтернативы применению препаратов off-label выписку рецептов на экстемпоральное изготовления лекарственных средств по индивидуальным показаниям и в индивидуальных лекарственных формах и дозировках;

и) в целях сокращения числа случаев нарушения сроков экспертной оценки и одобрения клинических рекомендаций, установленных Приложением №1 к приказу Минздрава России от 28.02.2019 №104н, принять меры по оптимизации нагрузки на сотрудников экспертного учреждения, которые могут включать как увеличение штатной численности сотрудников, занятых в осуществлении экспертной оценки, так и делегирование части функций по экспертной оценке иному учреждению Минздрава России (например, в части проверки соответствия клинических рекомендаций техническим требованиям (подп. «а» (в части соответствия типовой форме и структуре), подп. «б» - «д»), «ж» - «з») п. 8 Приложения №1 к приказу Минздрава России от 28.02.2019 №104н)).

4) в части совершенствования диагностики редких заболеваний:

а) сформировать стратегию развития системы диагностики редких заболеваний и развития медико-генетической службы в Российской Федерации, предусмотрев:

- включение всех необходимых генетических исследований в программу государственных гарантий бесплатного оказания медицинской помощи;

- разработку и внедрение программы селективного скрининга (в группах риска) на наличие врожденных и (или) наследственных заболеваний, для которых существует патогенетическое лечение, на ранней клинической стадии, в том числе в рамках проводимой диспансеризации детского населения с обязательным включением в диспансеризацию раннего возраста селективного скрининга в группах риска на определение ключевых маркеров ряда наследственных, в том числе орфанных, заболеваний, таких как креатинфосфокиназа, холестерин, печеночные трансаминазы, иные маркеры, с последующими генетическими исследованиями при необходимости;

- селективный скрининг (для родственников) на наследственные онкологические синдромы с ежегодным динамическим обследованием при необходимости;

- формирование сети референс-центров для диагностики орфанных заболеваний, в т.ч. заболеваний, не включенных в программу неонатального скрининга (с использованием опыта создания референсных центров в рамках программы расширенного неонатального скрининга);

б) осуществить совершенствование финансового и организационного обеспечения диагностики редких, включая редкие демиелинизирующие, онкологические и онкогематологические, заболеваний в рамках базовой программы ОМС, включая:

- разгруппировку (при необходимости – создание новых) диагностических КСГ в целях обеспечения соответствия тарифов реальным затратам;

сбор от главных внештатных специалистов информации об исследованиях, необходимых для выявления орфанных заболеваний для погружения в программу государственных гарантий;

в) рассмотреть вопрос о проведении пилотного проекта по профилактике тяжелых генетических заболеваний, включающего скрининг носительства на распространенные моногенные заболевания, а также селективный скрининг на редкие заболевания в группах риска (наличие в семье больного ребенка, отдельные этнические группы/регионы), медико-генетическое консультирование и селективную пренатальную молекулярно-генетическую диагностику. По результатам пилотного проекта рассмотреть вопрос о включении мероприятий по профилактике тяжелых генетических заболеваний в программу государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи;

г) усовершенствовать подход к погружению вопросов диагностики в клинические рекомендации, предусмотрев, в частности:

- контроль включения в критерии оценки качества медицинской помощи проведения предусмотренных клиническими рекомендациями исследований для дифференциальной диагностики и назначения лекарственной терапии;

- при подготовке (пересмотре) клинических рекомендаций исключение общих указаний на необходимость проведения исследований (в том числе, общих упоминаний молекулярно-генетических исследований, маркеров) с заменой на указание конкретных показаний к конкретным тестам и требований к составу мультигенной панели;

- обязательное включение в состав рабочих групп по разработке (пересмотру) клинических рекомендаций по заболеваниям, предусматривающим возможность генетической диагностики, медицинских специалистов – генетиков, и лабораторных генетиков, патологанатомов (патоморфологов);

д) обеспечить повышение уровня подготовки медицинских работников путем:

- включения в образовательные стандарты высшего профессионального образования по медицинским специальностям и/или программы НМО обязательных разделов по генетике и орфанным заболеваниям, а также в НМО – курса по неонатальному скринингу для врачей;

- включения в программы НМО для врачей-онкологов, лабораторных генетиков, врачей КДЛ курсов по критериям назначения и практического применения молекулярно-генетических тестов в онкологии;

- формирования государственного заказа на подготовку кадров для медико-генетических служб;

- нормативного закрепления возможности и порядка проведения заочных консультаций врач (из федерального центра) – пациент (из любого региона РФ) с использованием телемедицинских технологий, что позволило бы пациентам оперативно получить по месту жительства консультацию узкопрофильного специалиста и помочь региональным врачам корректно определить тактику лечения;

5) дополнительно **в части создания условий для повышения доверия населения к расширенному неонатальному скринингу:**

- организовать просветительскую работу о неонатальном скрининге и выявляемых заболеваниях, включая создание под эгидой Минздрава России специалистами МГНЦ с привлечением пациентских организаций наглядных материалов для размещения в женских консультациях, роддомах, создание информационного портала о скрининге

- организация «горячей линии» для родителей о неонатальном скрининге, внедрение социальной рекламы о скрининге в СМИ;

- обеспечить создание запаса лечебного питания для пациентов, выявленных в рамках скрининга, в т.ч. возможно за счет Фонда «Круг добра», либо путем установления в нормативных актах требований по созданию запасов субъектами Российской Федерации;

- провести мониторинг Минздравом России наличия схем маршрутизации выявленных пациентов в регионах с последующим оказанием методического содействия «отстающим» субъектам Российской Федерации;

6) обеспечить дополнение орфанными заболеваниями предусмотренного статьей 55 Закона «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» перечня заболеваний или состояний (групп заболеваний или состояний), предусматривающего возможность для пациентов до достижения ими возраста 21 года наблюдаться и продолжать лечение в медицинской организации, оказывавшей им до достижения совершеннолетия медицинскую помощь;

7) в части совершенствования реабилитации инвалидов:

- обеспечить формирование единых методологических подходов к реабилитации по орфанным заболеваниям (например, через методические рекомендации по реабилитации, разрабатываемые специалистами-реабилитологами и врачами по профилю заболевания) с их распространением среди медицинских работников (особенно в первичном звене) и сотрудников органов социальной защиты;

- рассмотреть вопрос о создании на базе Российской детской клинической больницы специализированного НМИЦ медицинской реабилитации детей и подростков в целях координации и организационно-методического руководства медицинскими организациями субъектов Российской Федерации, включая мероприятия по внедрению инновационных медицинских реабилитационных технологий, дистанционный мониторинг состояния здоровья пациентов, и координацию разработки разделов по реабилитации клинических рекомендаций

- организовать проведение образовательных мероприятий федеральными специалистами по медицинской реабилитации для региональных врачей, проведение школ по реабилитации для пациентов и родителей;

- проработать вопрос создания в регионах специализированных реабилитационных центров (в т.ч. на функциональной основе или в рамках орфанных центров) с мультидисциплинарными командами, обученными специфике лечения пациентов отдельных групп редких заболеваний;

- инициировать софинансирование оснащения реабилитационным оборудованием региональных центров в рамках программы «Развитие здравоохранения»;

- обеспечить выделение отдельных групп КСГ для высокочатратной реабилитации пациентов с отдельными орфанными заболеваниями (в особенности с ШРМ 4 и выше);

- обеспечить корректировку порядка расчета размера компенсации за самостоятельно приобретенные ТСР с конкретизацией признаков «однородности» ТСР, чья стоимость учитывается для компенсации, учета размеров инфляции с момента закупки, по которой рассчитывается размер выплат;

- предусмотреть создание в регионах респираторных центров (возможна база орфанных центров), а также условий для обеспечения респираторным оборудованием по медицинским показаниям больных, не имеющих паллиативного статуса

8) в части развития стационарозамещающих технологий:

- профильным экспертным комиссиям Минздрава России оценить перспективы применения стационарозамещающих технологий, включая стационар на дому, по соответствующим профилям;

- предусмотреть возможность применения стационарозамещающих технологий, включая стационар на дому, в порядках оказания медицинской помощи по профилям, относящимся к перспективным направлениям (например, при проведении перитонеального диализа, обеспечении парентеральным питанием пациентов с синдромом короткой кишки с кишечной недостаточностью, лекарственной терапии пациентов со злокачественными новообразованиями).

- предусмотреть в методических рекомендациях по способам оплаты медицинской помощи за счет средств обязательного медицинского страхования и инструкции по группировке случаев подходы к оплате медицинской помощи с применением стационарозамещающих технологий с учетом особенностей оказания медицинской помощи.

- дополнить Положение об организации оказания первичной медико-санитарной помощи детям, утвержденное приказом Минздрава России от 07.03.2018 № 92н, нормами об организации медицинской помощи посредством организации стационаров на дому;

- обеспечить внедрение в регионах системы патронажной помощи для пациентов;

9) в части развития отечественного производства лекарственных препаратов и медицинских изделий:

- сформировать комплексную программу (план действий и дорожную карту) по развитию производственных аптек, включающую совершенствование нормативного правового регулирования, разработку перспективных механизмов реализации преференций и мер государственной поддержки, направленных на модернизацию производственных помещений и материально-технической базы, а также на разработку единых подходов, стандартов, методических рекомендаций, применимых по отношению к изготовлению и отпуску лекарственных препаратов аптечными организациями;

- рекомендовать субъектам Российской Федерации провести анализ состояния материально-технической базы производственных аптек и предусмотреть возможность программы их модернизации;

- рассмотреть возможность ослабления запрета на изготовление аптечными организациями зарегистрированных лекарственных препаратов, предусмотренного ч. 2 ст. 56 Федерального закона от 12.04.2010 № 61-ФЗ «Об обращении лекарственных средств», либо введения исключений из данного запрета для отдельных дозировок или лекарственных форм;

- рассмотреть возможность создания рабочей группы при Минздраве России для определения перечня клинических исследований, в отношении которых существует риск прекращения исследований по решению иностранных фармацевтических компаний с целью определения возможности участия пациентов в локальных клинических исследованиях для обеспечения стабильного лечения пациентов при соблюдении критериев включения в локальные клинические исследования;

- обеспечить развитие отечественного производства тест-систем для генетических исследований, в том числе ПЦР и NGS-тест-систем для онкогенетики;

10) в части совершенствования финансирования медицинской помощи в рамках ОМС:

- урегулировать на федеральном уровне вопрос определения и оплаты законченного случая лечения при госпитализации пациента в стационар или дневной стационар для введения под контролем врача лекарственного препарата, полученного из других источников (Программы ВЗН, региональной льготы), в том числе, путем введения тарифов на введение препарата или усеченных тарифов, не включающих стоимость отдельных препаратов, входящих в схему лекарственной терапии;

- изменение подходов к терапии с применением лекарственных форм, не требующих введения в условиях медицинской организации, в части исключения необходимости посещения медицинской организации для получения таких препаратов в рамках оказания специализированной медицинской помощи в условиях дневного стационара путем:

в краткосрочной перспективе – обеспечения возможности получения пациентом на руки лекарственного препарата в согласованном лечащим врачом (врачебной комиссией МО) объеме для курсового этапного лечения в соответствии с установленной схемой терапии (в том числе, применительно к комбинированным схемам, включающим инъекционные и пероральные формы) и самостоятельного приема препарата пациентом в домашних условиях (в случаях, не требующей круглосуточного стационарного наблюдения) – при оказании медицинской помощи в условиях дневного стационара (в том числе стационаре на дому), с применением при необходимости телемедицинских технологий для организации дистанционного наблюдения;

в среднесрочной перспективе – осуществление лекарственной терапии в рамках оказания первично медико-санитарной помощи в амбулаторных условиях с возмещением ее стоимости за счет средств обязательного медицинского страхования;

11) в части повышения доступности лечебного питания для пациентов:

а) внести изменения в Правила формирования перечня специализированных продуктов лечебного питания для детей-инвалидов, утвержденных постановлением Правительства РФ от 09.04.2015 г. № 333, исключив ограниченный перечень нозологий и предусмотрев возможность включения в перечень специализированных продуктов лечебного питания при любых заболеваниях, если применение специализированного продукта предусмотрено клиническими рекомендациями в рамках диетотерапии детей, страдающих заболеваниями, влекущими стойкое нарушение функций организма, либо включив четкий порядок и периодичность пересмотра перечня заболеваний;

б) предусмотреть в законодательстве порядок обеспечения лечебным питанием детей-инвалидов, страдающих заболеваниями, не являющимися орфанными;

в) проработать вопрос о переходе в среднесрочной перспективе к превентивному (вне зависимости от установления инвалидности) обеспечению специализированными продуктами лечебного питания в амбулаторных условиях пациентов, страдающих определенными, в том числе орфанными, заболеваниями, для которых обязательным является применение в терапии лечебного питания (онкологические пациенты, пациенты с ВЗК, синдромом короткой кишки, нервно-мышечными заболеваниями и др.);

г) инициировать вопрос о создании условий для обеспечения за счет средств Фонда «Круг добра» пациентов с заболеваниями, входящими в перечень Фонда, отдельными специализированными продуктами лечебного питания (как энтеральное, так и парентеральное питание), не предоставляемыми за счет иных источников финансирования, в том числе незарегистрированными;

д) рассмотреть возможность выделения специализированных продуктов лечебного питания из технического регламента Таможенного союза «О безопасности пищевой продукции» в самостоятельный вид продукции с самостоятельным правовым регулированием, отличным от регулирования прочей пищевой продукции;

е) рассмотреть возможность дополнения межгосударственных и национальных актов положениями о возможности ввоза и обращения пищевой продукции для диетического лечебного и диетического профилактического питания для конкретных пациентов по решению уполномоченного государственного органа (по аналогии с ввозом незарегистрированных лекарственных препаратов на основании заключения Минздрава России);

ж) предложить Минпромторгу России возобновить деятельность совета по лечебному питанию, ранее рассматривавшего вопросы развития рынка соответствующей продукции в Российской Федерации.