



**РЕЗОЛЮЦИЯ**  
**Круглого стола №18.**  
**«Генная терапия. Новые технологии в диагностике и лечении»**  
***XIII Всероссийский конгресс пациентов***  
***Россия, Москва, 23 ноября 2022 года.***

В последние годы произошел существенный прорыв в области диагностики и лечения редких и онкологических болезней, прежде всего это связано с появлением методов генотерапии.

Существующие в РФ модели лекарственного обеспечения являются наиболее приспособленными для обеспечения пациентов лекарственной терапией в течение длительного времени. В это же время генная терапия подразумевает в большинстве случаев однократное введение препарата, также этот процесс является в гораздо большей степени персонализированным. Кроме того, для лечения ряда неврологических форм болезней при проведении генотерапии требуется применение довольно сложных нейрохирургических манипуляций, стоимость которых должна учитываться при проведении лечения.

Опыт работы фонда «Круг Добра» с редкими заболеваниями, на примере мышечной дистрофии Дюшенна (МДД) и Спинальной мышечной атрофии (СМА) за последний год продемонстрировал возможность организации адресной и быстрой помощи пациентам с этими редкими заболеваниями. Однако, для лучшего понимания эффективности инновационных методов терапии и их комбинации необходимо создание специализированных регистров, а также экспертных центров, действующих на функциональной основе на базе крупных федеральных и региональных клиник, которые возьмут на себя ответственность обеспечения эффективного и безопасного введения генотерапевтических конструкций для проведения лечения.

Участники круглого стола отметили, что список нозологических форм для которых создаются методы генотерапии растет и требуется привлечение и большего числа финансовых и организационных ресурсов.

В рамках программы государственных гарантий бесплатного оказания медицинской помощи существует возможность обеспечения генотерапией в рамках программы ВМП. Финансовое обеспечение доступа генотерапевтическим технологиям в рамках программы ВМП обеспечит должный уровень контроля за соответствием учреждений, оказывающих соответствующую медицинскую помощь, необходимым требованиям, а также позволит планировать необходимые объемы оказываемой медицинской помощи.

В целях решения вышеуказанных проблем участники круглого стола «Генная терапия. Новые технологии в диагностике и лечении» разработали следующие рекомендации.

**Правительству Российской Федерации, Министерству здравоохранения Российской Федерации:**

1. Создать специальный алгоритм для проведения процедуры подачи предложения о включении генотерапевтических препаратов в перечень ЖНВЛП и процедуры рассмотрения таких предложений с учетом специфических особенностей генотерапевтических препаратов, таких как производственные циклы и существующие и планируемые каналы финансирования.

2. Создать отдельный канал финансирования для генотерапевтических технологий, в том числе с возможностью применения инновационных схем оплаты (в том числе оплата за результат, разделение рисков и другие).
3. Проработать вопрос создания центров «генотерапии» при заболеваниях с поражением нервной системы для обеспечения эффективного и безопасного введения генотерапевтических конструкций.
4. Проработать вопрос комплексной оплаты лечения ребенка с орфанным заболеванием, при применении лекарственных препаратов и медицинских изделий, закупаемых в рамках работы фонда Круг добра, в случаях, когда операции по введению этих препаратов являются технологически сложными, например, требующих проведения сложного нейрохирургического вмешательства на базе стационара, в том числе федерального уровня.
5. Дополнить федеральный проект «Борьба с онкологическими заболеваниями» мероприятием, направленным на повышение охвата детей и взрослых с онкологическими заболеваниями современными методами диагностики таргетных генетических нарушений, влияющих на выбор противоопухолевой терапии. Довести значение этого показателя до уровня лучших зарубежных практик.