



## РЕЗОЛЮЦИЯ

### Круглого стола «Гармонизация мер государственной поддержки лекарственного обеспечения пациентов с редкими болезнями»

*XIII Всероссийский конгресс пациентов*

*Россия, Москва, 23 ноября 2022 года.*

На площадке XIII Всероссийского конгресса пациентов «Вектор развития: пациент-ориентированное здравоохранение» 23 ноября 2022 года состоялся Круглый стол «Гармонизация мер государственной поддержки лекарственного обеспечения пациентов с редкими болезнями».

Степень доступности льготного лекарственного обеспечения для пациентов с редкими (орфанными) заболеваниями существенно отличается в зависимости от источника финансирования. Наилучшим образом ситуация обстоит с Фондом «Круг добра» (дети до 18 лет) и программой высокочатратных нозологий («14 ВЗН»).

С большим количеством сложностей сталкиваются пациенты с нозологиями, включенными в Перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности, являющимися расходным обязательством субъектов Российской Федерации, а также пациенты, получавшие лекарственное обеспечение в рамках Фонда «Круг добра» после наступления совершеннолетия.

Ограниченность региональных бюджетов может приводить к трудностям с получением необходимых препаратов для данной группы пациентов. Во многих случаях это происходит только по решению суда. Сроки получения жизненно важной терапии могут составлять 6 месяцев и более, что критично для данной группы пациентов и приводит к снижению результатов терапии, инвалидизации смертельным последствиям.

В частности Болезнь Фабри. Это тяжелое прогрессирующее наследственное заболевание, приводящее к инвалидизации пациентов и сокращению продолжительности жизни, в молодом активном возрасте; проявляется внезапными ранними инсультами или почечной недостаточностью. Своевременное применение фермент заместительной терапии позволяет достоверно замедлить прогрессирование болезни Фабри и уменьшить риск возникновения осложнений.

В ряде случаев в регионах отсутствуют четкие схемы маршрутизации пациентов с редкими заболеваниями и информирование пациентов о включении их в регистр программы «14 ВЗН» или регистр жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, а также о стадии и сроках закупки лекарственных препаратов.

Отдельную проблему представляет обеспечение пациентов, которые будут выявлены в рамках программы расширенного неонатального скрининга лекарственными препаратами, поскольку лечение должно начинаться в первые недели жизни, а процесс оформления закупки препарата может составлять несколько месяцев.

Крайне остро стоит вопрос обеспечения взрослых пациентов с редкими заболеваниями. Яркий пример, ультра-орфанная патология синдромом короткой кишки с кишечной недостаточности (СКК-КН). Специфика и тяжесть данного заболевания требует комплексного подхода к лечению пациентов, включающего инновационную терапию, послеоперационное сопровождение и возможность получения терапии в стационаре на дому.

Также необходимо расширение перечня редких заболеваний, в частности включения ассоциированной ЛАГ в перечень жизнеугрожающих хронических прогрессирующих редких заболеваний с целью облегчения доступности терапии для пациентов

В целях решения вышеуказанных проблем участники круглого стола «Гармонизация мер государственной поддержки лекарственного обеспечения пациентов с редкими болезнями» дали следующие рекомендации.

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

1. Развивать систему централизованного лекарственного обеспечения для пациентов с жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями: перевести на федеральное финансирование закупки всех дорогостоящих лекарственных препаратов патогенетической терапии для обеспечения устойчивого доступа пациентов к терапии после достижения 19 лет, с выделением соответствующего финансирования.
2. Необходимо обеспечить преемственность и непрерывность патогенетической терапии при переходе пациента из детской во взрослую службу. Оптимальным решением представляется перевод лекарственного обеспечения пациентов со СМА на федеральный уровень, включение ассоциированной ЛАГ в перечень жизнеугрожающих хронических прогрессирующих редких заболеваний.
3. Рассмотреть вопрос разработки нормативно-правовых документов для ускоренного включения инновационных лекарственных препаратов в программу «14 ВЗН», в федеральные клинические рекомендации и перечень ЖНВЛП с целью оперативного обеспечения доступа пациентов к инновационным препаратам (в течение не более одного календарного года с момента регистрации препарата).
4. Развивать финансирование молекулярно-генетических исследований для диагностики врожденных наследственных заболеваний в рамках Программы государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи;
5. Утвердить базовые критерии по централизации закупки препаратов, являющихся расходным обязательством субъектов Российской Федерации, а именно высокую стоимость терапии и ее доступность в России, а также управляемость заболевания, когда получение своевременной и бесперебойной терапии существенно влияет на результаты лечения, помогает предотвратить инвалидизацию и смертельные последствия для пациентов.
6. Обеспечить пациентов необходимой терапией, после постановки диагноза врачебной комиссией на региональном уровне, в максимально короткий срок, но не более 3-х месяцев после назначения соответствующей терапии.
7. В целях формирования единой системы лекарственного обеспечения необходимо разработать механизм перевода детей, обеспечивающихся из Фонда «Круг добра» в другие программы лекарственного обеспечения по достижении ими 19 лет, с закреплением порядка, сроков и источников финансирования;
8. Внести изменения в правоустанавливающие документы Фонда, позволяющие вводить меры по софинансированию государственных программ лекарственного обеспечения, направленные на:
  - 8.1. Обеспечение преемственности лекарственного обеспечения при переводе детей из Фонда «Круг добра по достижении ими 19 лет» в другие программы.
  - 8.2. Закупку лекарственных препаратов, представляющих особую значимость для здоровья населения, в том числе орфанных, как для лечения детей,

так и для взрослых, с использованием инновационных моделей лекарственного обеспечения.

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

1. Определить порядок оплаты медицинским организациям госпитализаций пациентов с применением высокотехнологических методов лечения с введением лекарственных препаратов, закупленных Фондом «Круг добра», не включенных в систему оплаты по обязательному медицинскому страхованию, а также отсутствующих в перечнях видов высокотехнологичной медицинской помощи.
2. Организовать систему мониторинга за пациентами, получившими высокотехнологичную генную и клеточную терапию, а также разработать систему обеспечения пациентов сопутствующей лекарственной терапией, медицинскими изделиями, доступом к необходимым медицинским услугам и реабилитации вне зависимости от получения статуса инвалидности.
3. С учетом прогрессирующего характера течения редких заболеваний, обладающих индивидуальной динамикой, но ведущих к необратимым изменениям, разработать механизмы ускоренного доступа пациентов к терапии.
4. Регламентировать процесс коммуникации «пациент – врач в регионе – региональный орган управления здравоохранением – Фонд «Круг Добра», в том числе в части сроков и порядка оповещения о процессе рассмотрения заявки на лекарственное обеспечение.
5. Включить доступные зарегистрированные в мире препараты в список обеспечения Фонда «Круг Добра» (для нозологий включенных в перечень обеспечиваемых лекарственными средствами за счет средств Фонда «Круг Добра»).
6. Внедрить комплексный подход к послеоперационному медицинскому сопровождению пациентов с СКК-КН, включающий следующее:
  - 6.1. Разработка и утверждение Клинических рекомендаций по СКК-КН для взрослых и детей в кратчайшие сроки;
  - 6.2. Создание мультидисциплинарных референсных центров для взрослых и детей и направление в них пациентов с СКК-КН в кратчайшие сроки после проведения резекции кишечника;
  - 6.3. С учетом важности ведения регистров пациентов как инструмента оценки общей статистики по заболеваемости и расчета требуемого размера бюджетных ассигнований для обеспечения пациентов необходимой терапией предусмотреть формирование и внедрение регистра взрослых пациентов с СКК-КН, которые заполняется мультидисциплинарной командой;
  - 6.4. Обеспечение референсными центрами маршрутизации пациентов с СКК-КН после выписки из медицинского учреждения, включая четкие разъяснения по последующей схеме лечения и возможностях получения (длительно или пожизненно) парентерального питания и инновационной патогенетической терапии;
  - 6.5. Внести изменения в действующее законодательство, предусматривающее возможность применения стационарозамещающих технологий и обеспечения пациентов с СКК-КН парентеральным питанием на дому, а именно:
    - 6.5.1. Внести изменения в пункт 1 статьи 80 Федерального закона от 11 ноября 2011 г. ФЗ-323 "Об основах охраны здоровья граждан в

Российской Федерации" и включение такого вида помощи как «стационары на дому»;

6.5.2. Предусмотреть обеспечение пациентов с СКК-КН парентеральными и энтеральным питанием, инфузоматом, расходными материалами в рамках Программы государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи

6.6. Разработать механизмы по беспрепятственному обеспечению взрослых пациентов с СКК-КН инновационной патогенетической терапией за счет средств бюджетов регионов.

**Правительству Российской Федерации, Министерству здравоохранения Российской Федерации, Федеральному фонду обязательного медицинского страхования:**

1. Включить диагностические методы необходимые/требуемые для назначения терапии Фондом «Круга Добра» в перечень ОМС

**Министерству здравоохранения Российской Федерации:**

1. Совершенствовать систему маршрутизации пациентов с редкими заболеваниями после выявления соответствующих заболеваний в рамках неонатального скрининга.

2. В связи с накоплением опыта применения генотерапевтических технологий, разработать и согласовать единые критерии оценки эффективности терапии с размещением для общего доступа.

3. Обеспечить нормативными документами применение, в том числе, телемедицинских консультаций пациентов при первичном (на этапе старта терапии) и при повторных (на этапах продления терапии) обращениях.

4. Рассмотреть возможность делегирования проведения федеральных консилиумов региональным орфанным центрам (на этапе продления терапии).

5. Определить критерии назначения и возможности оказания вне амбулаторной паллиативной помощи детям.

6. Рассмотреть вопрос об информировании граждан о включении в регистр «14 ВЗН» и регистр жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, а также информировании о стадии организации закупки лекарственных препаратов через портал «Госуслуги».

**Органам исполнительной власти субъектов Российской Федерации:**

1. В целях повышения доступности и качества оказания медицинской помощи разработать нормативно-правовые акты, определяющие порядок маршрутизации пациентов с редкими заболеваниями на региональном и федеральном уровне. Следует обеспечить преемственность и непрерывность патогенетической терапии при переходе пациента из детской во взрослую службу