***ПРОЕКТ***

**Для резолюции и тезисов на пленарной части:**

На сегодняшний день не существует понятного механизма лекарственного обеспечения пациентов с редкими (орфанными) заболеваниями, не входящими в Перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности. Отсутствуют четкие и прозрачные критерии обновления данного Перечня, а также сроки\регулярность такого обновления.

Несовершенство нормативно-правового регулирования в области лекарственного обеспечения пациентов с орфанными заболеваниями наглядно может быть наглядно продемонстрировано на примере легочной гипертензии. Две редкие формы легочной гипертензии – идиопатическая (первичная) форма легочной гипертензии (иЛАГ) и хроническая тромбоэмболическая легочная гипертензия (ХТЭЛГ) относятся к орфанным заболеваниям, без лечения быстро прогрессируют и приводят к инвалидизации и сокращению жизни пациента. Но при этом первичная форма иЛАГ и хроническая легочная гипертензия имеют разную степень доступности патогенетической терапии, т.к. только иЛАГ включена в перечень жизнеугрожающих редких заболеваний. иЛАГ и ХТЭЛГ имеют похожую клиническую картину, прописанные алгоритмы лечения в российских и зарубежных клинических рекомендациях. Зарегистрированная патогенетическая терапия для этих заболеваний входит в перечень ЖНВЛП и ее цена контролируется государством. Несмотря на сходство двух нозологий гарантированное лекарственное обеспечение получают только пациенты с иЛАГ. Пациенты с ХТЭЛГ и вторичными (ассоциированными) формами ЛАГ могут быть обеспечены необходимыми лекарственными препаратами лишь в случае инвалидности по региональной льготе (Постановление правительства №890). Такое правовое несоответствие формирует группы орфанных пациентов с разной степенью доступности патогенетической терапии, и пациенты с ХТЭЛГ оказываются более уязвлёнными, так как при отсутствии лечения происходит быстрое прогрессирование заболевания, которое приводит к инвалидизации и смерти.

Требуется принятия четких и прозрачных критериев обновления Перечня жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности из числа заболеваний, указанных в части 2 статьи 44, Федерального Закона «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации», а также сроки\регулярность такого обновления.

Помимо эпидемиологического критерия в соответствии с частью 1 статьи 44 Федерального Закона «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» (распространенность не более 10 случаев на 100 000 населения) целесообразно, чтобы приоритет в государственном финансировании имели те орфанные заболевания, по которым существует патогенетическая терапия, зарегистрированная на территории РФ, медицинским сообществом разработаны и утверждены клинические рекомендации по диагностике и лечению таких заболеваний.