



РЕЗОЛЮЦИЯ

Круглого стола № 13 «Вопросы оказания медицинской помощи пациентам с орфанными заболеваниями».

*XII Всероссийский конгресс пациентов
Россия, Москва, 26 ноября 2021 года.*

На площадке XII Всероссийского конгресса пациентов «Вектор развития: пациент-ориентированное здравоохранение» 26 ноября 2021 года состоялся круглый стол «Вопросы оказания медицинской помощи пациентам с орфанными заболеваниями».

Проблема диагностики и лечения редких (орфанных) заболеваний является одной из наиболее острых и актуальных в России. В силу низкой распространенности и сложности редких заболеваний пациенты с редкими заболеваниями находятся в особо уязвимом положении в отношении доступности медицинской помощи. Учреждениям здравоохранения зачастую бывает сложно обеспечить высокоспециализированное лечение или особый уход пациентам со сложными заболеваниями, особенно если количество выявляемых случаев невелико.

За последние годы Россия сделала множество заметных преобразований, направленных на повышение доступности лечения пациентов с редкими заболеваниями: была утверждена научно-техническая программа развития генетических технологий, сформирован федеральный регистр пациентов с жизнеугрожающими острыми и хроническими прогрессирующими орфанными заболеваниями, Комитетом Государственной Думы по охране здоровья был создан Экспертный совет по редким (орфанным) заболеваниям, начата работа по переводу финансирования орфанных заболеваний с регионального на федеральный уровень (так называемая «программа федерализации»), введена прогрессивная шкала налогообложения в целях создания дополнительного финансового ресурса Фонд «Круг добра» для оказания медицинской помощи детям, страдающим тяжелыми жизнеугрожающими и хроническими заболеваниями, в том числе прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями.

Для повышения эффективности лекарственного обеспечения пациентов необходимо обратить внимание на организационные аспекты оказания медицинской помощи, прежде всего гармонизацию всех мер финансовой поддержки лекарственного обеспечения.

Так в настоящий момент лекарственное обеспечение пациентов с редкими (орфанными) заболеваниями разных нозологий обеспечивается из разных программ и разных источников, критериев и процедур для принятия решений о погружении тех или иных нозологий в программы лекарственного обеспечения не разработано. Как результат – сформирован неравный доступ пациентов к лекарственному обеспечению. Начатая в 2019-20 годах программа федерализации, показавшая свою эффективность как в увеличении доступности, так и в оптимизации расходов государства, пока не имеет своего продолжения.

Фонд «Круг добра», обеспечивая детей с тяжелыми жизнеугрожающими и хроническими заболеваниями, в том числе редкими (орфанными) заболеваниями, фактически не интегрирован в систему здравоохранения. Его функционал по лекарственному обеспечению несовершеннолетних пациентов частично дублирует полномочия субъектов Российской Федерации, при этом, не являясь государственным органом, Фонд не имеет закрепленных государственных обязательств, отличных от иных участников системы здравоохранения. Пациенты, получающие препараты за счет средств

Фонда, не обеспечены государственными гарантиями в части продолжения получения поддержки Фонда в течение всего периода терапии; механизм обеспечения непрерывности терапии пациентов, получавших лекарственную терапию за счет средств Фонда «Круг добра», после достижения ими возраста 18 лет не разработан.

При наличии инвалидности такие пациенты могут претендовать на получение лекарственной терапии в рамках оказания государственной социальной помощи либо регионального льготного лекарственного обеспечения. Однако, принимая во внимание высокую стоимость лекарственной терапии, не все субъекты Российской Федерации обеспечивают финансирование системы здравоохранения в объеме достаточном для приобретения соответствующих лекарственных препаратов. В практике получение дорогостоящей лекарственной терапии даже в финансово-благополучных регионах сопряжено с необходимостью судебного подтверждения прав на лекарственное обеспечение. В период судебного разбирательства пациент лишен терапии, что может привести к необратимому прогрессированию заболевания.

В свою очередь сохранные несовершеннолетние пациенты, которые, благодаря помощи Фонда «Круг добра», смогут избежать стойких нарушений функций организма, не имеют правовых оснований для получения лекарственных препаратов за счет государства по достижении 18 лет, что ведет к дальнейшему ухудшению состояния здоровья, прогрессированию заболевания, дальнейшей необратимой инвалидизации.

Фактически все изложенное ведет к неэффективному расходованию средств Фонда «Круг добра» при отсутствии последующей поддержки для совершеннолетних пациентов.

Помимо прочего необходимо развивать и другие организационные аспекты оказания медицинской помощи пациентам с редкими заболеваниями, такие как: система маршрутизации, своевременная диагностика, реабилитация, диспансерно-динамическое наблюдение, консультирование, и другие виды как медицинской, так и социальной помощи, и поддержки. Как показывает мировая практика, благоприятная инфраструктура для ведения пациентов с редкими заболеваниями оказывает существенное влияние на эффективность терапии, снижая риски инвалидизации и увеличивая продолжительность жизни.

Увеличение охвата профилактическими медицинскими осмотрами детей, входящих в группу риска по наследственным заболеваниям обмена веществ является важным направлением своевременного выявления, лечения и предупреждения смертности и инвалидизации детей. Существующая в настоящее время программа диспансеризации детей имеет высокий потенциал для формирования групп высокого риска развития наследственных заболеваний и внедрения программы селективного скрининга для данной категории.

Создание целостной системы, выстроенной вокруг пациентов, повысит эффективность всех мер государственной поддержки и инвестиционную привлекательность данного сегмента рынка как для международных, так и для российских производителей, позволит оптимизировать государственные расходы, в том числе, и дорогостоящие лекарственными препаратами, закупаемые государством.

В связи с вышесказанным участники Круглого стола рекомендуют следующее.

Правительству Российской Федерации, Министерству здравоохранения Российской Федерации:

1. Совершенствовать порядок формирования перечня жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности.
2. Перевести на федеральное финансирование закупок всех дорогостоящих лекарственных препаратов патогенетической терапии для лечения пациентов с жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями.
3. Создать инфраструктуру первичного звена здравоохранения, обеспечить развитие

организационно-правовой и нормативной базы в части организации медицинской помощи по модели «стационар на дому» для проведения фермент-заместительной терапии пациентам с лизосомными болезнями накопления.

4. Интегрировать Фонд «Круг добра» в систему здравоохранения Российской Федерации.
5. Создать условия для непрерывности терапии по достижении возраста 18 лет для пациентов с тяжелыми жизнеугрожающими и хроническими заболеваниями, в том числе редкими (орфанными) заболеваниями, обеспечивавшихся лекарственными препаратами за счет средств Фонда «Круг добра».
6. Совершенствовать систему маршрутизации пациентов с редкими заболеваниями через создание единой функциональной сети медицинских организаций как региональных, так и федеральных, закрепив в порядке оказания медицинской помощи пациентам с редкими наследственными заболеваниями единые подходы: к процедуре регистрации пациентов, требованиям, предъявляемым к сбору данных, организации взаимодействия между уровнями и дисциплинами (включая, в том числе, создание виртуальных многопрофильных врачебных групп в случае мультисистемных патологических состояний).
7. Создать условия для развития программ селективного скрининга детей и подростков, в рамках программы диспансеризации детей и подростков, дополнив национальный проект «Здравоохранение» в части Федерального проекта «Развитие детского здравоохранения, включая создание современной инфраструктуры оказания медицинской помощи детям» мероприятиями по формированию групп риска развития наследственных заболеваний обмена, диспансерно-динамического наблюдения и своевременной маршрутизации детей из данных групп риска на консультацию к генетику.