

**КОМИТЕТ ГОСУДАРСТВЕННОЙ ДУМЫ
ПО ОХРАНЕ ЗДОРОВЬЯ**

ПРОТОКОЛ

заседания Экспертного совета
по охране здоровья по редким (орфанным) заболеваниям

17 декабря 2019 года

17:00

Председательствовал: Председатель Комитета Государственной Думы по охране здоровья, Руководитель Экспертного совета по редким (орфанным) заболеваниям
МОРОЗОВ Дмитрий Анатольевич

Присутствовали:

- | | | |
|---------------------------------------|---|--|
| АПАЗОВ
Александр Дмитриевич | - | Президент ПАО «Фармимэкс» |
| БАКРАДЗЕ
Ирина Всеволодовна | - | Управляющий директор Фонда «Подсолнух» |
| БЕЛЯКОВ
Денис Владимирович | - | Исполнительный директор «Союза пациентов и пациентских организаций» |
| ВИТКОВСКАЯ
Ирина Петровна | - | Заведующий организационно-методическим отделом по педиатрии Департамента здравоохранения г. Москвы |
| ВЛАСОВ
Ян Владимирович | - | Сопредседатель Всероссийского союза общественных объединений пациентов |
| ВОЛГИНА
Светлана Яковлевна | - | Член Совета экспертов по редким болезням |
| ГАРИБЯН
Жанна Рубеновна | - | Член Президиума МБОО «Возрождение» |
| германенко
Ольга Юрьевна | - | Директор благотворительного фонда «Семьи СМА», Руководитель Ассоциации пациентов со спинальной мышечной атрофией |
| ЗАХАРОВА
Екатерина Юрьевна | - | Председатель экспертного совета Всероссийского общества орфанных заболеваний |
| КАРИМОВА
Светлана Игоревна | - | Президент Национальной Ассоциации организаций больных редкими заболеваниями «Генетика» |
| КАРМАЗИНА
Раиса Васильевна | - | Член Комитета Государственной Думы по контролю и Регламенту |
| КРАСИЛЬНИКОВА
Елена Юрьевна | - | Руководитель проектного офиса «Редкие (орфанные) болезни» ФГБНУ «НИИ общественного здоровья им.Н.А.Семашко» |

- МАКСИМКИНА**
Елена Анатольевна
- МИРОНОВ**
Роман Сергеевич
- МИТИНА**
Снежана Александровна
- МИХЕЕВА**
Елена Георгиевна
- МЯСНИКОВА**
Ирина Владимировна
- ПЕТРОЧЕНКОВ**
Георгий Алексеевич
- СМИРНОВА**
Наталья Сергеевна
- СМИРНОВА**
Татьяна Николаевна
- ТАТАРНИКОВА**
Анастасия Александровна
- ТЕРЕХОВА**
Марина Давидовна
- ФРОЛОВА**
Тамара Ивановна
- ХАРЕВСКИЙ**
Андрей Александрович
- ЦЫБИЗОВА**
Татьяна Игоревна
- ШАШУРИНА**
Татьяна Игоревна
- ШИЛОВ**
Евгений Михайлович
- ШИЛОВА**
Марина Магомедовна
- Директор Департамента лекарственного обеспечения и регулирования обращения медицинских изделий Министерства здравоохранения Российской Федерации
 - Руководитель отдела «БиоМарин Интернэшнл (Москва)»
 - Президент МБОО «Общество инвалидов, страдающих синдромом Хантера, другими формами мукополисахаридоза и иными редкими генетическими заболеваниями»
 - Менеджер по работе с органами государственной власти «БиоМарин Интернэшнл (Москва)»
 - Председатель правления Всероссийского общества редких (орфанных) заболеваний
 - Заместитель начальника Управления контроля за реализацией государственных программ в сфере здравоохранения Федеральной службы по надзору в сфере здравоохранения
 - Член Национального Совета экспертов по редким заболеваниям
 - Директор по корпоративным отношениям и взаимодействию с органами государственной власти компании «Мерк»
 - Председатель правления АНО Центр экспертной помощи по вопросам, связанным с редкими заболеваниями «Дом Редких»
 - Председатель правления МБОО «Содействие инвалидам с болезнью Гоше и их семьям»
 - Член Комитета Государственной Думы по охране здоровья
 - Генеральный директор «БиоМарин Интернэшнл (Москва)»
 - Член Комитета Государственной Думы по охране здоровья
 - Председатель МБОО поддержки пациентов с воспалительными заболеваниями кишечника и синдромом короткой кишки «Доверие»
 - Главный внештатный специалист нефролог Минздрава России
 - Исполнительный секретарь Профильной комиссии по нефрологии

По первому вопросу: «Об обеспечении лекарственным препаратом «Спинраза» пациентов, страдающих спинальной мышечной атрофией (далее – СМА)»

Слушали:

1. Директора благотворительного фонда «Семьи СМА» О.Ю.Германенко.
2. Члена Комитета Государственной Думы по контролю и Регламенту Р.В.Кармазину.
3. Директора Департамента лекарственного обеспечения и регулирования обращения медицинских изделий Минздрава России Е.А.Максимкину.

Отметили:

СМА является наследственным заболеванием, характеризующимся поражением центральной нервной системы с задержкой моторного развития.

Организацией, оказывающей поддержку гражданам, страдающим СМА, является Благотворительный фонд «Семьи СМА». На ноябрь 2019 года обозначенный Фонд располагает данными о 881 пациенте, из которых более 80 % - дети (712 детей и 169 взрослых). Подавляющее большинство пациентов имеют статус инвалида/ребенка-инвалида.

16 августа 2019 года в Российской Федерации зарегистрирован лекарственный препарат Спинраза (Nusinersen) для патогенетического лечения СМА (регистрационный номер ЛП-005730). Лекарственный препарат является орфанным препаратом, действие которого направлено на механизм развития заболевания и предназначено исключительно для патогенетического лечения СМА. На сегодняшний день препарат не имеет аналогов.

Основной проблемой на сегодняшний день является отсутствие механизма лекарственного обеспечения пациентов, страдающих СМА, включая источники финансирования, а также маршрутизации больных СМА во всех субъектах Российской Федерации.

СМА не входит как в перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности, утвержденный постановлением Правительства Российской Федерации от 26 апреля 2012 года № 403 (далее – Постановление № 403), так и не входит в перечень нозологий, обеспечиваемых из средств федерального бюджета в соответствии с пунктом 21 части 2 статьи 14 Федерального закона от 21 ноября 2011 года № 323-ФЗ «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» (далее - Федеральный закон № 323-ФЗ).

Право на льготное лекарственное обеспечение у обозначенной категории пациентов возникает на общих основаниях в рамках постановления Правительства Российской Федерации от 30 июля 1994 года № 890 «О государственной поддержке развития медицинской промышленности и улучшении обеспечения населения и учреждений здравоохранения лекарственными средствами и изделиями медицинского назначения».

Обеспечение лекарственным препаратом для лечения СМА относится к полномочиям субъектов Российской Федерации и является существенной нагрузкой на их бюджеты.

Несмотря на наличие правовых оснований на обращения пациентов со СМА в региональные органы государственной власти в сфере здравоохранения об организации лекарственного обеспечения препаратом для патогенетического лечения СМА в их адрес стали поступать отказы, в том числе и пациентам со СМА, которые в настоящее время обеспечены за счет гуманитарной программы производителя и требуют продолжения лечения. Также пациентам со СМА из региональных медицинских организаций поступают отказы в проведении врачебных комиссий для решения вопроса назначения им данного лекарственного препарата.

Вопрос лекарственной терапии пациентов со СМА может быть полностью решен за счет федерализации и централизации закупок.

В настоящий момент Министерство здравоохранения Российской Федерации выбирает 4 центра для клинической апробации лекарственного препарата Спинраза (Nusinersen). Применение лекарственного препарата возможно только в стационарных условиях. Решение о способе изыскания средств на лекарственное обеспечение пациентов, страдающих СМА, будет принято по итогам совещания в Министерстве здравоохранения Российской Федерации до конца 2019 года.

О.Ю.Германенко отметила, что одним из наиболее значительных рисков в рамках отсутствия федерализации обеспечения лекарственными препаратами пациентов со СМА представляется ситуация, при которой оставшиеся на региональном обеспечении пациенты не будут обеспечены лекарственной терапией своевременно и в полном объеме.

Принимая во внимание, что нуждающиеся в организации лечения пациенты со СМА проживают в 79 регионах России и это может вызывать неравенство возможностей субъектов Российской Федерации на своевременное обеспечение лечения, в том числе иных редких заболеваний, члены Экспертного совета пришли к следующему.

Приняты решения:

1. Правительству Российской Федерации:

- рассмотреть возможность организации терапии пациентов со СМА за счет средств федерального бюджета;

- при организации обеспечения лекарственными препаратами пациентов со СМА наладить взаимодействие с компаниями-производителями по вопросам ценообразования при участии Федеральной антимонопольной службы;

- сформировать постоянно действующую межведомственную комиссию по оценке качества оказания медицинской помощи больным СМА с участием пациентских организаций;

- рассмотреть возможность определения специалиста/группы специалистов, уполномоченных координировать действия по организации медицинской помощи пациентам с орфанными заболеваниями.

2. Министерству здравоохранения Российской Федерации:

- создать регистры пациентов со СМА, сформировать потребность в лекарственной терапии и определить финансовые потребности;

- подготовить и направить разъяснения в субъекты Российской Федерации о механизме применения и отпуска лекарственных препаратов, а также финансовых источниках и финансовых механизмах лекарственного обеспечения;

- рассмотреть целесообразность создания межрегиональных центров по организации медицинской помощи пациентам с редкими (орфанными) заболеваниями.

3. Министерству здравоохранения Российской Федерации совместно с Федеральной службой по надзору в сфере здравоохранения:

- обеспечить контроль назначения лекарственного препарата в соответствии с инструкцией применения. В случае необходимости (отказов) на местах организовать и производить назначения на уровне федеральных центров (с предварительным проведением подготовительной работы с центрами, а также увеличением проходимости и сокращением сроков ожидания назначений терапии), прежде всего посредством телемедицинских консилиумов.

По второму вопросу: «Об обеспечении лекарственными препаратами пациентов, страдающих муковисцидозом»

Слушали:

1. Главу Межрегиональной общественной организации «Помощь больным с муковисцидозом» И.В.Мясникову.

2. Директора Департамента лекарственного обеспечения и регулирования обращения медицинских изделий Минздрава России Е.А.Максимкину.

Отметили:

Неудовлетворительное лекарственное обеспечение пациентов, страдающих муковисцидозом, является актуальным вопросом, который требует комплексного и оперативного решения. Ввиду заявлений фармацевтических компаний о прекращении производства и поставок трех лекарственных препаратов – «Тиенам», «Фортум» и «Колистин», Министерство здравоохранения Российской Федерации утвердило «дорожную карту» по повышению качества медицинской помощи больным муковисцидозом, а также подготавливает актуализированные клинические рекомендации и риск-ориентированный список препаратов для проведения контроля качества.

Предложения, обозначенные в рамках рассмотрения организации лекарственного обеспечения пациентов со СМА, целесообразно рассмотреть при организации медицинской помощи пациентам с муковисцидозом.

Приняты решения:

Рекомендовать Министерству здравоохранения Российской Федерации проконтролировать исполнение обязательств по лекарственному обеспечению пациентов, страдающих муковисцидозом.

По третьему вопросу: «О подготовке II тома Ежегодного бюллетеня Экспертного совета по редким (орфанным) заболеваниям»

Слушали:

1. Руководителя проектного офиса «Редкие (орфанные) болезни» ФГБНУ «НИИ общественного здоровья им.Н.А.Семашко» Е.Ю.Красильникову.

2. Председателя Комитета Государственной Думы по охране здоровья Д.А.Морозова.

3. Исполнительного директора «Союза пациентов и пациентских организаций» Д.В.Белякова.

Отметили:

Продолжается подготовка II тома Ежегодного бюллетеня Экспертного совета по редким (орфанным) заболеваниям, который будет включать в себя следующие разделы:

- Результаты федерализации 2019 года: данные субъектов Российской Федерации и Минздрава России.
- Доступность лекарственного обеспечения пациентов с редкими заболеваниями в регионах РФ в 2018-2019 гг.
- Доступность медицинской помощи. Карта учреждений федерального и регионального уровней.
- Редкие нозологии вне льготных программ: данные субъектов, общественных и пациентских организаций.
- Орфанные препараты в России, Европе, США: обзор и анализ.
- Судебная практика. Правовая защита врача.
- Нормативно-правовая база в субъектах Российской Федерации.
- Применение геннотерапевтических технологий: нормативно-правовые возможности в Российской Федерации.
- Общественные организации пациентов с редкими заболеваниями: перечень организаций и фондов с указанием основных направлений, форматов работы и контактной информацией.

По предложению руководителя Экспертного совета Морозова Д.А. первым разделом бюллетеня станет глава о формировании Стратегии и «дорожной карты» по редким заболеваниям в Российской Федерации. Беляков Д.В.

предложил дополнить бюллетень разделом о незарегистрированных лекарственных препаратах.

Приняты решения:

Продолжить подготовку II тома Ежегодного бюллетеня Экспертного совета по редким (орфанным) заболеваниям.

По четвертому вопросу: «Об итогах работы Экспертного совета по редким заболеваниям за 2019 год»

Слушали:

Председателя Комитета Государственной Думы по охране здоровья Д.А.Морозова.

Отметили:

Проведено 4 заседания Экспертного совета: 26 февраля 2019 года, 18 июня 2019 года, 25 октября 2019 года и 17 декабря 2019 года. В 2019 году:

- представлен I том Ежегодного бюллетеня Экспертного совета по редким (орфанным) заболеваниям, обсужден план работы на 2019 год и проведена фотовыставка историй лиц, страдающих редкими заболеваниями.

поднимались вопросы:

- о создании единого регистра граждан, имеющих право на обеспечение лекарственными препаратами, специализированными продуктами лечебного питания, медицинскими изделиями за счет бюджетных ассигнований федерального бюджета и бюджетов субъектов Российской Федерации, при оказании им медицинской помощи в амбулаторных условиях;

- о правовом регулировании незарегистрированных лекарственных препаратов и незарегистрированного лечебного питания;

- о регистрах редких (орфанных) заболеваний. Алгоритм предоставления сведений о пациенте с редким (орфанным) заболеванием в региональный сегмент федерального регистра;

- о проекте 2 тома Ежегодного бюллетеня Экспертного совета по редким (орфанным) заболеваниям;

- об организации оказания медицинской помощи гражданам, страдающим редкими (орфанными) заболеваниями, на территории Приволжского федерального округа;

- о социальной защите детей, страдающих фенилкетонурией. Проблема снятия инвалидности у детей до 18 лет при положительной динамике лечения;

- о лекарственном обеспечении пациентов, страдающих редкими (орфанными) заболеваниями:

- проблемы использования незарегистрированных лекарственных препаратов и продуктов лечебного питания;
- целесообразность централизации обеспечения лекарственными препаратами орфанных пациентов и создание на базе имеющихся перечней единой государственной программы орфанного обеспечения;
- о референсных центрах по группам редких (орфанных) заболеваний в субъектах Российской Федерации.

Приняты решения:

Продолжить деятельность Экспертного совета Комитета Государственной Думы по охране здоровья по редким (орфанным) заболеваниям, направленную на совершенствование организации медицинской помощи пациентам, страдающим орфанными заболеваниями.

**Председатель
Комитета Государственной Думы
по охране здоровья**



Д.А.Морозов