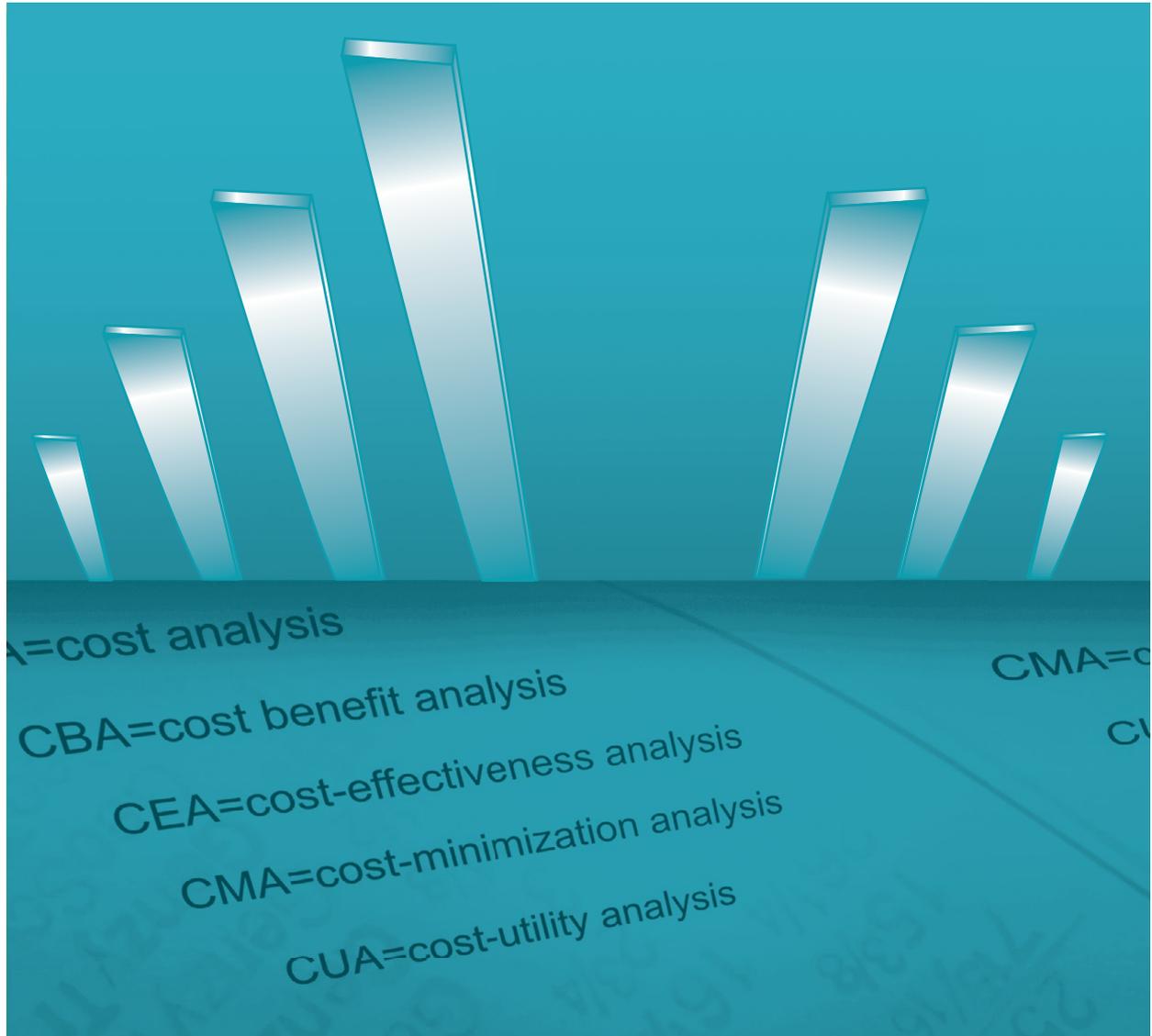


Фармакоэкономика

Современная Фармакоэкономика и Фармакоэпидемиология



FARMAKOEKONOMIKA
Modern Pharmacoeconomic and Pharmacoepidemiology
2020 Vol. 13 No4

www.pharmacoeconomics.ru

- Фармакоэкономический анализ назначения antimicrobных препаратов первого выбора для амбулаторного лечения нетяжелой внебольничной пневмонии
- Анализ социально-экономического бремени спинальной мышечной атрофии в Российской Федерации
- Фармакоэкономическая целесообразность применения лекарственного препарата Гемангиол (пропранолол, раствор для приема внутрь) при лечении пролиферирующей инфантильной гемангиомы, требующей системной терапии

№4 **Том 1**
2020



<https://doi.org/10.17749/2070-4909/farmakoekonomika.2020.068>

ISSN 2070-4909 (print)

ISSN 2070-4933 (online)

Анализ социально-экономического бремени спинальной мышечной атрофии в Российской Федерации

Колбин А. С.^{1,2}, Влодавец Д.В.³, Курьлев А. А.¹, Балыкина Ю. Е.²,
Проскурин М. А.², Мишинова С.А.¹, Германенко О.Ю.⁴,
Колбина Н.Ю.⁵

¹ Федеральное государственное бюджетное образовательное учреждение высшего образования «Первый Санкт-Петербургский государственный медицинский университет имени академика И.П. Павлова» Министерства здравоохранения Российской Федерации (ул. Льва Толстого, д. 6-8, Санкт-Петербург 197022, Россия)

² Федеральное государственное бюджетное образовательное учреждение высшего образования «Санкт-Петербургский государственный университет» (Университетская набережная, д. 7-9, Санкт-Петербург 199034, Россия; наб. р. Фонтанки, д. 154, Санкт-Петербург 190103, Россия)

³ Обособленное структурное подразделение «Научно-исследовательский клинический институт педиатрии имени академика Ю.Е. Вельтищева Федерального государственного автономного образовательного учреждения высшего образования «Российский национальный исследовательский медицинский университет имени Н.И. Пирогова» Министерства здравоохранения Российской Федерации» (ул. Талдомская, д. 2, Москва 125412, Россия)

⁴ Благотворительный фонд помощи больным спинальной мышечной атрофией и другими нервно-мышечными заболеваниями «Семь СМА» (ул. Борисовские пруды, д. 48, Москва 115408, Россия)

⁵ Федеральное государственное бюджетное учреждение «Национальный медицинский исследовательский центр имени В. А. Алмазова» Министерства здравоохранения Российской Федерации (ул. Аккуратова, д. 2, Санкт-Петербург 197341, Россия)

Для контактов: Колбин Алексей Сергеевич, e-mail: alex.kolbin@mail.ru

РЕЗЮМЕ

Введение. Спинальные мышечные атрофии (СМА) – это клинически и генетически разнородная группа орфанных заболеваний, характеризующихся прогрессирующей дегенерацией мотонейронов и потерей их функции. Выделяют четыре типа СМА, из которых тип I является наиболее неблагоприятным. Пациенты со СМА в течение жизни нуждаются как в разнообразной медицинской, так и социальной помощи, суммарные затраты на которую ранее в РФ не рассчитывались.

Цель. Расчет социо-экономического бремени СМА в РФ для всей популяции пациентов с учетом прямых медицинских, прямых немедицинских и непрямых затрат до момента внедрения патогенетической терапии и после ее внедрения. Оценка влияния патогенетической терапии на динамику социально-экономического бремени СМА в РФ.

Материалы и методы. При расчетах бремени СМА использовали информацию из реестра пациентов, системы ОМС и социального обеспечения граждан в РФ. При оценке бремени учитывали прямые медицинские затраты (диагностика, лекарственное и хирургическое лечение, реабилитация), прямые немедицинские затраты (выплата пособий), а также непрямые затраты (неполученный ВВП). Характеристика популяции пациентов была взята из негосударственного реестра пациентов со СМА в РФ. Источником информации о ценах служили: тарифы ОМС и высокотехнологичной медицинской помощи, прайс-листы коммерческих клиник, лабораторий и поставщиков медицинских изделий. Горизонт моделирования – 5 лет. Расчеты были выполнены по двум сценариям: 1) до момента внедрения в практику патогенетической терапии; 2) при текущем уровне охвата патогенетической терапией.

Результаты. Реестр содержит информацию о 998 пациентах со СМА, из которых 21% – СМА I типа. В сценарии 1 бремя СМА в РФ составило 2,37 млрд руб./год. (2,38 млн руб./пац./год) наибольшую долю затрат составляли затраты на стационарную медицинскую помощь (30,8%) и реабилитацию (32,3%). Бремя СМА I типа составило 1,6 млрд руб./год. (1,5 млн руб./пац./год). В сценарии 2 бремя СМА в РФ составило 5,4 млрд руб./год. (5,4 млн руб./пац./год), доля затрат на патогенетическую терапию была наибольшей (43%).

Заключение. Бремя СМА в РФ является существенным по мере расширения доступа пациентов к патогенетической терапии. Бремя СМА будет возрастать, однако при этом рост затрат на патогенетическую терапию должен сопровождаться снижением других прямых и непрямых затрат.

КЛЮЧЕВЫЕ СЛОВА

Спинальная мышечная атрофия, бремя заболевания, затраты.

Статья поступила: 28.10.2020 г.; в доработанном виде: 30.11.2020 г.; принята к печати: 17.12.2020 г.

Конфликт интересов

Авторы заявляют об отсутствии необходимости раскрытия финансовой поддержки или конфликта интересов в отношении данной публикации.

Вклад авторов

Колбин А. С. – сбор, анализ и интерпретация данных;
 Влодавец Д.В. – сбор, анализ и интерпретация данных;
 Курылев А. А. – сбор, анализ и интерпретация данных;
 Балыкина Ю. Е. – математическое моделирование и расчеты;
 Проскурин М. А. – математическое моделирование и расчеты;
 Мишинова С.А. – сбор данных;
 Германенко О.Ю. – сбор, анализ и интерпретация данных;
 Колбина Н.Ю. – сбор, анализ и интерпретация данных.

Для цитирования

Колбин А. С., Влодавец Д.В., Курылев А. А., Балыкина Ю. Е., Проскурин М. А., Мишинова С.А., Германенко О.Ю., Колбина Н.Ю. Анализ социально-экономического бремени спинальной мышечной атрофии в Российской Федерации. *ФАРМАКОЭКОНОМИКА. Современная Фармакоэкономика и Фармакоэпидемиология*. 2020; 13 (4): 337-354 <https://doi.org/10.17749/2070-4909/farmakoeconomika.2020.068>

The social-economic burden of spinal muscular atrophy in Russia

Kolbin A. S.^{1,2}, Vlodavets D.V.³, Kurylev A. A.¹, Balykina Yu. Ye.², Proskurin M. A.², Mishinova S.A.¹, Germanenko O.Yu.⁴, Kolbina N.Yu.⁵

¹ Pavlov First Saint Petersburg State Medical University (6-8 L'va Tolstogo Str., Saint Petersburg 197022, Russia)

² Saint-Petersburg State University (7-9 Universitetskaya Emb., Saint Petersburg 199034, Russia; 154 riv. Fontanka Emb., Saint Petersburg 190103, Russia)

³ Veltischev Research and Clinical Institute for Pediatrics of the Pirogov Russian National Research Medical University (2 Taldomskaya Str., Moscow 125412, Russia)

⁴ Charitable foundation for aid patients with spinal muscular atrophy and other neuromuscular diseases "SMA Families" (48 Borisovskie Prudy Str., Moscow 115408, Russia)

⁵ Almazov National Medical Research Center (2 Akkuratova Str., St Petersburg 197341, Russia)

Corresponding author: Aleksei S. Kolbin, e-mail: alex.kolbin@mail.ru

SUMMARY

Introduction. Spinal muscular atrophies (SMA) are clinically and genetically heterogeneous congenital orphan diseases that lead to progressive spinal motoneurons degeneration and loss of their function. There are 4 types of SMA with type I being the most severe. SMA patients need lots of services (medical, social etc.) throughout their life and the cost of the care has never been calculated in Russia before.

Aim. The study aims to calculate the socio-economic burden of SMA in the Russian Federation for direct medical procedures and indirect costs before the introduction of pathogenetic therapy and after its implementation. The assessment of the impact of pathogenetic therapy on the dynamics of the socio-economic burden of SMA in the Russian Federation was performed.

Materials and methods. The data from patient-reported SMA registry, insurance medical companies, epidemiological, and rehabilitation care data were compiled into the model. The authors accounted for direct medical (diagnostics, drugs, surgery, orthopedics, rehabilitation, and family) and nonmedical expenditures including indirect (loss of GDP) costs. Characteristics of the patient population have been taken from the national SMA register. The sources of costs data included governmental healthcare and insurance companies' tariffs, price lists of commercial companies, clinics, and laboratory services. The modeling time horizon was 5 years. The two following calculation scenarios were evaluated: 1) none of the patients with SMA receive pathogenetic therapy 2) the share of pathogenetic therapy is stable during the time horizon at the current level.

Results. National SMA register contains the information about 998 patients; 21% of them have SMA I type. In the first scenario, the total social-economic burden of SMA in Russia was 2.37 billion RUR/year (2.38 million RUR/patient/year); the share of in-patient care and rehabilitation were 30.8% and 32.3%, respectively. SMA type I burden was 1.6 billion RUR/year (1.5 million RUR/patient/year). In the second scenario, the total SMA burden was 5.4 billion RUR/year, the highest share of pathogenetic therapy was 43%.

Conclusion. The SMA economic burden in Russia is significant and growing along with the increase in the share of pathogenetic therapy, but this growth should be compensated by lowering other direct and indirect costs.

KEY WORDS

Spinal muscular atrophy, disease burden, cost.

Received: 28.10.2020; **in the revised form:** 30.11.2020; **accepted:** 17.12.2020

Conflict of interests

The authors declare they have nothing to disclosure regarding the funding or conflict of interests with respect to this manuscript.

Author's contribution

Kolbin A. S. – collection, analysis, and data interpretation;
 Vlodayets D.V. – collection, analysis, and data interpretation;
 Kurylev A. A. – collection, analysis, and data interpretation;
 Balykina Yu. Ye. – mathematic modeling and calculation;
 Proskurin M. A. – mathematic modeling and calculation;
 Mishinova S.A. – data collection;
 Germanenko O.Yu. – collection, analysis, and data interpretation;
 Kolbina N.Yu. – collection, analysis, and data interpretation.

For citation

Kolbin A. S., Vlodayets D.V., Kurylev A. A., Balykina Yu. Ye., Proskurin M. A., Mishinova S.A., Germanenko O.Yu., Kolbina N.Yu. The burden of spinal muscular atrophy in Russia. *FARMAKOEKONOMIKA. Sovremennaya farmakoeconomika i farmakoepidemiologiya / FARMAKOEKONOMIKA. Modern Pharmacoeconomics and Pharmacoepidemiology*. 2020; 13 (4): 337-354 (in Russ.) <https://doi.org/10.17749/2070-4909/farmakoeconomika.2020.068>.

Основные моменты**Что уже известно об этой теме?**

- ▶ Традиционно выделяют такие понятия, как глобальное бремя болезни и социально-экономическое бремя заболевания. Полноценное глобальное бремя болезни для спинальной мышечной атрофии в мире не рассчитывали
- ▶ Социально-экономическое бремя заболевания до настоящего времени остается в плоскости экспертного обсуждения, методы по расчету не стандартизированы, трактовка результатов сложна
- ▶ Спинальные мышечные атрофии (СМА) – группа клинически и генетически гетерогенных наследственных заболеваний, вызванных прогрессирующей дегенерацией мотонейронов передних рогов спинного мозга. Самой распространенной группой являются проксимальные СМА I, II, III и IV типа. Пациенты со СМА в течение жизни нуждаются в разнообразной медицинской и социальной помощи, что требует высоких затрат с позиции государства

Что нового дает статья?

- ▶ В России ранее не изучали социально-экономическое бремя СМА. Исследование направлено на анализ экономического бремени СМА с учетом прямых немедицинских затрат на выплату пенсий и пособий и непрямых затрат в виде недополученного валового внутреннего продукта
- ▶ Исследования способствуют более полному пониманию текущего бремени СМА

Как это может повлиять на клиническую практику в обозримом будущем?

- ▶ В свете появления инновационных терапевтических вмешательств данное исследование проводится с целью обнаружения потенциала для снижения общего бремени СМА в случае внедрения патогенетической терапии

ВВЕДЕНИЕ / INTRODUCTION

Спинальные мышечные атрофии (СМА) – группа клинически и генетически гетерогенных наследственных заболеваний, вызванных прогрессирующей дегенерацией мотонейронов передних рогов спинного мозга [1]. Выделяют проксимальные и дистальные СМА, самой распространенной группой являются проксимальные СМА 1, 2, 3 и 4-го типов [2]. В основе заболевания лежит прогрессирующая дегенерация альфа-мотонейронов передних рогов спинного мозга, приводящая к формированию симметричного вялого пареза поперечнополосатых мышц с их перерождением [1–4]. По этиологии СМА является генетическим заболеванием, при котором возможны все типы наследования (аутосомно-доминантный, аутосомно-рецессивный, X-сцепленный). Наиболее часто встречающаяся форма – ранняя детская с аутосомно-рецессивным типом наследования. Ген, кодирующий синтез белка SMN (англ. – survival motor neuron protein – белок выживания мотонейронов),

Highlights**What is already known about this subject?**

- ▶ There are such concepts as the global burden of the disease and social-economic burden. A full-scale global burden of spinal muscular atrophy was not assessed
- ▶ The social-economic burden is still discussed by experts. The methods of its assessment are not standardized and the interpretation of the results is complicated
- ▶ Spinal muscular atrophies (SMA) are clinical and genetic heterogeneous congenital diseases caused by a progressing, degeneration of motoneurons of the ventral horns of the spinal cord. The most widespread group of SMA is proximal SMA of types I, II, III, and IV. Patients with SMA need various types of medical and social care, which imposes high costs on the state.

What are the new findings?

- ▶ In Russia, there were no studies on the social-economic burden of SMA. The study aimed to analyze the economic burden of SMA considering direct non-medical costs on the allowance and indirect costs (loss of GDP)
- ▶ The study results contribute to a better and complete understanding of the current SMA burden

How might it impact on clinical practice in the foreseeable future?

- ▶ Due to the appearance of the innovative therapeutic drug, the present study was performed to reveal the potential for a decrease in the general burden of SMA in the case of the implementation of pathogenetic therapy

ответствен за развитие спинальной мышечной атрофии раннего детского возраста с аутосомно-рецессивным типом наследования. Локализация гена – локус 5q13. При делеции 7–8 экзонов в гене SMN развивается спинальная мышечная атрофия. В зависимости от времени начала и типа клинического течения заболевания СМА подразделяют на четыре типа [2].

Поскольку тип заболевания существенно влияет на тяжесть и прогноз, для расчетов социально-экономического бремени заболевания необходимо оценивать затрачиваемые ресурсы здравоохранения и общества в целом для каждого типа СМА. По данным реестра фонда «Семьи СМА» в РФ на 31.12.2019 г. диагностировано 913 пациентов со СМА, на середину 2020 г. – 998 пациентов (табл. 1).

Как видно из данных, представленных в таблице 1, частота встречаемости позднего типа (тип 4) менее 1%, обычно имеет дебют во взрослом возрасте и медленно прогрессирует, прогноз обычно доброкачественный [1]. Учитывая доброкачественный прогноз и

Таблица 1. Частота встречаемости подтипов спинальных мышечных атрофий (СМА) и средняя продолжительность жизни пациентов.
Table 1. The occurrence rate of spinal muscle atrophies (СМА) and the average life expectancy.

Тип СМА	Частота встречаемости, %	Распределение пациентов в реестре, % [38]	Средняя продолжительность жизни (процент выживших)			Итоговая (процент выживших)*
	Lally C. [5]		Oskoui M. [6]	Manna M. [7]	Chung B. [8]	
Тип 1 «Болезнь Верднига-Гофманна»	57	21	1 год (80%) 2 года (74%) 4 года (65%) 10 лет (50%)	2 года (62%) 4 года (62%) 10 лет (8%)	2 года – 40% 4 года – 30% 10 лет – 30%	1 год (80%) 2 года (58%) 4 года (52%) 10 лет (30%)
Тип 2 «Хронический инфантильный тип»	29	49,4	Нет данных	2 года (100%) 4 года (100%) 10 лет (82%)	Нет данных	2 года (100%) 4 года (100%) 10 лет (82%)
Тип 3 «Болезнь Кугельберга-Веландер»	13	29,4	Нет данных	2 года (100%) 4 года (100%) 10 лет (100%)	Нет данных	2 года (100%) 4 года (100%) 10 лет (100%)
Тип 4 «Поздний тип»	<1	0,2	Нет данных	Нет данных	Нет данных	Нет данных

* Средняя арифметическая.

* Arithmetic mean.

минимальное количество пациентов, при расчете бремени болезни затраты на ведение пациентов с 4-м типом СМА в настоящий расчет не включали. Большую долю пациентов с СМА составляют пациенты со СМА 1-го типа, при этом возраст начала заболевания у таких пациентов менее 6 мес. [2]. Однако из-за невысокой продолжительности жизни пациентов со СМА 1-го типа в реестре доля таких пациентов составляет 21%, а большинство пациентов приходится на СМА 2-го и 3-го типов.

Несмотря на то, что пациенты со СМА в течение жизни нуждаются как в разнообразной медицинской, так и социальной помощи, что требует высоких затрат с позиции государства, исследования в области здравоохранения в отношении СМА не проводились и суммарные затраты ранее в РФ не рассчитывались.

Исследование направлено на анализ экономического бремени СМА в РФ с учетом прямых немедицинских затрат на выплату пенсий и пособий и не прямых затрат в виде недополученного валового внутреннего продукта. Таким образом, результаты исследования способствуют более полному пониманию текущего бремени СМА. В свете появления инновационных терапевтических вмешательств данное исследование проводится с целью обнаружения потенциала для снижения общего бремени СМА в случае внедрения патогенетической терапии.

МАТЕРИАЛЫ И МЕТОДЫ / MATERIALS AND METHODS

Источник информации по пациентам

Существует несколько международных исследований социально-экономического бремени СМА [9–11]. Несмотря на то, что авторы этих исследований использовали различные методологические подходы к расчету, все они опирались на данные регистров и/или реестров оказания медицинской помощи, в которых содержалась информация о конкретных пациентах и затратах на оказание медицинской помощи. Безусловно, такой подход при расчете бремени заболевания является наиболее точным. Однако в РФ такого рода национальных регистров не существует, а следовательно, отсутствует возможность точно определить объем медицинской помощи каждому больному СМА. Учитывая вышеизложенное, устоявшаяся методология расчета социально-экономического бремени орфанного заболевания в условиях РФ на сегодняшний день неприменима, именно поэтому для расчета бремени СМА была использована методология моделирования с расчетом среднего объема медицинских и социальных услуг для одного пациента со СМА (отдельно по каждому типу заболевания) и оценкой стоимости

каждой такой услуги. Таким образом, в силу объективных обстоятельств, расчет бремени СМА в РФ носит оценочный характер, а его результаты свидетельствуют о порядке затрат на лечение СМА.

В виду ограниченных статистических данных показатели частоты встречаемости различных состояний и/или осложнений, а также госпитализаций и других видов медицинской и социальной помощи, взяты из зарубежных исследований, что вносит определенные ограничения в оценку бремени СМА.

Структура оцениваемых затрат

Учитывали прямые медицинские, прямые немедицинские затраты, не прямые затраты.

Прямые медицинские затраты

Затраты на диагностику;

Затраты на лечение:

Затраты на лечение в стационарных условиях:

- Госпитализации по причине СМА;
- Госпитализации при развитии осложнений СМА;
- Стационарная травматолого-ортопедическая помощь.

Затраты на лечение в амбулаторных условиях:

- Затраты на патогенетическую лекарственную терапию;
- Затраты на симптоматическую лекарственную терапию.

Затраты на реабилитацию:

- Затраты на реабилитационные мероприятия (услуги);
- Затраты на респираторную поддержку;
- Затраты на нутритивную поддержку;
- Затраты на технические средства реабилитации;
- Затраты на санаторно-курортное лечение;
- Затраты на паллиативную помощь.

Прямые немедицинские затраты

Затраты на выплату пенсий и пособий

Непрямые затраты

Недополученный ВВП.

Источники информации о стоимости

Стоимость медицинских услуг оценивали по тарифам в системе обязательного медицинского страхования (ОМС) [12,13], в случае отсутствия тарифа на определенную медицинскую услугу информацией об источнике цен служили прейскуранты государственных медицинских организаций, а в случае отсутствия в

Таблица 2. Перечень медицинских услуг для диагностики спинальных мышечных атрофий (СМА), предусмотренных стандартом оказания первичной медико-санитарной помощи детям СМА.

Table 2. The list of medical services for the diagnostics of spinal muscular atrophies (CMA) that are included in the standard plan of primary medical care for children with CMA.

Код медицинской услуги	Наименование	Усредненный показатель частоты предоставления	Усредненный показатель кратности применения	Цена (тариф), руб.	Ссылка	Стоимость на курс, руб.
V03.016.004	Анализ крови биохимический общетерапевтический	1	1	25,40	[13]	25,40
V03.016.006	Анализ мочи общий	1	1	58,96	[13]	58,96
A12.05.056	Идентификация генов	1*	1	3950,00	[19]	3950,00
A12.06.019	Исследование ревматоидных факторов в крови	0,3	1	250,00	[20]	75,00
A09.05.099	Исследование уровня аминокислотного состава и концентрации аминокислот в крови	0,05	1	3 460,00	[21]	173,00
A09.05.043	Исследование уровня креатинкиназы в крови	1	1	165,00	[20]	165,00
A09.05.039	Исследование уровня лактатдегидрогеназы в крови	0,9	1	165,00	[20]	148,50
A09.05.054	Исследование уровня сывороточных иммуноглобулинов в крови	0,3	1	433,50	[13]	130,05
A09.05.074	Исследование уровня циркулирующих иммунных комплексов в крови	0,3	1	500,00	[22]	150,00
A09.05.207	Исследование уровня молочной кислоты в крови	0,05	1	300,00	[23]	15,00
A09.05.208	Исследование уровня пировиноградной кислоты в крови	0,05	1	1 500,00	[24]	75,00
A05.23.009.010	Магнитно-резонансная томография спинного мозга (один отдел)	0,2	1	8 100,00	[25]	1620,00
A09.09.001	Микроскопическое исследование нативного и окрашенного препарата мокроты	0,1	1	130,00	[22]	13,00
A08.02.001	Морфологическое исследование препарата мышечной ткани	0,3	1	1 300,00	[20]	390,00
A13.23.012	Общее нейропсихологическое обследование	0,3	1	2 000,00	[26]	600,00
V03.016.003	Общий (клинический) анализ крови развернутый	1	1	117,81	[13]	117,81
V01.006.001	Прием (осмотр, консультация) врача-генетика первичный	0,6	1	700,00	[13]	420,00
V01.015.003	Прием (осмотр, консультация) врача-детского кардиолога первичный	0,3	1	540,00	[13]	162,00
V01.023.001	Прием (осмотр, консультация) врача-невролога первичный	1	1	540,00	[13]	540,00
V01.029.001	Прием (осмотр, консультация) врача-офтальмолога первичный	0,6	1	553,40	[13]	332,04
V01.031.001	Прием (осмотр, консультация) врача-педиатра первичный	0,6	1	780,50	[13]	468,30
V01.050.001	Прием (осмотр, консультация) врача-травматолога-ортопеда первичный	0,6	1	547,75	[13]	328,65
A12.22.005	Проведение глюкозотолерантного теста	0,05	1	306,00	[13]	15,30
A13.29.001	Психопатологическое обследование	0,1	1	600,00	[27]	60,00
A05.10.006	Регистрация электрокардиограммы	0,9	1	300,00	[13]	270,00
A13.23.013	Специализированное нейропсихическое обследование	0,1	1	2 000,00	[26]	200,00
A12.05.013	Цитогенетическое исследование (кариотип)	0,3	1	4 000,00	[28]	1200,00
A05.02.001.001	Электромиография игольчатая	0,8	1	570,50	[13]	456,40

Таблица 2. Перечень медицинских услуг для диагностики спинальных мышечных атрофий (СМА), предусмотренных стандартом оказания первичной медико-санитарной помощи детям СМА (окончание).

Table 2. The list of medical services for the diagnostics of spinal muscular atrophies (CMA) that are included in the standard plan of primary medical care for children with CMA (ending).

Код медицинской услуги	Наименование	Усредненный показатель частоты предоставления	Усредненный показатель кратности применения	Цена (тариф)	Ссылка	Стоимость на курс
A05.02.001.002	Электромиография накожная одной анатомической зоны	0,8	1	570,50	[13]	456,40
A05.02.001.011	Электронейромиография игольчатыми электродами (один нерв)	0,8	1	570,50	[13]	456,40
A05.02.001.003	Электронейромиография стимуляционная одного нерва	0,8	1	570,50	[13]	456,40
Итого						12 253,61

* В соответствии с клиническими рекомендациями для диагностики СМА необходимо проведение генетического исследования всем пациентам.

* According to the clinical recommendations for the diagnostics of CMA, genetic test is to be performed for each patient.

них информации – преискурранты частных медицинских организаций.

Стоимость лекарственных препаратов, включенных в перечень ЖНВЛП (жизненно необходимых и важнейших лекарственных препаратов) рассчитывали исходя из зарегистрированной предельной отпускной цены [14] с учетом оптовых и розничных торговых надбавок, лекарственных препаратов, не включенных в ЖНВЛП – по данным государственных закупок [15], а в случае отсутствия информации в вышеупомянутых источниках использовали данные справочной службы о наличии лекарств [16].

Согласно программе государственных гарантий оказания гражданам РФ бесплатной медицинской помощи стоимость вызова скорой медицинской помощи за счет средств обязательного медицинского страхования составляет 2 428,60 руб. [17].

Стоимость стационарного лечения рассчитывалась согласно методическим рекомендациям ФФОМС (Федеральный фонд обязательного медицинского страхования) [18] с учетом коэффициента затратноемкости и базовой ставки при оказании медицинской помощи в условиях круглосуточного стационара в 2020 г. – 28 850,94 руб., в условиях дневного стационара – 11 944,87 руб.

Стоимость средств реабилитации оценивали на основании преискуррантов различных оптовых и розничных поставщиков соответствующих медицинских изделий.

Прямые медицинские затраты

Затраты на диагностику

Перечень медицинских услуг для диагностики СМА, предусмотренных стандартом оказания первичной медико-санитарной помощи детям при спинальных мышечных атрофиях, приведен в **таблице 2** [12].

Затраты на стационарное лечение (госпитализации по причине СМА)

Клинико-статистические группы (КСГ), относящиеся в соответствии с детальным группировщиком КСГ, приведены в **таблице 3**.

По данным J.Darbà с соавт., пациенты с СМА 1-го типа госпитализируются в среднем 3 раза в год, а с СМА 1-го типов – 1,9 раза в год. [29], при этом в 5% госпитализаций требуется проведение интенсивной терапии.

Программой государственных гарантий оказания медицинской помощи предусмотрен тариф ВМП на терапевтическое лечение в т.ч. пациентов с СМА, стоимость которого составляет 220 296 руб.

По данным НИКИ педиатрии им. Вельтищева, за прошлый год по этому ВМП лечение получили 120 пациентов, из них 30 пациентов с СМА 1-го типа.

При расчете средней стоимости госпитализации учитывали затраты по ВМП и ОМС (см. табл. 3).

Таким образом, стоимость стационарного лечения по причине СМА в год для пациентов с СМА 1-го типа составляет 359 369,53 руб./пац./год, а с СМА 1-го типов – 231 308,15 руб./пац./год.

Таблица 3. Коды КСГ, соответствующие диагнозу СМА (G12 МКБ 10).

Table 3. The codes of KCG that correspond with the diagnosis CMA (G12 МКБ-10).

Код МКБ 10	Наименование	КСГ	Расшифровка КСГ	Коэффициент затратноемкости	Тариф, руб.
G12	СМА и родственные синдромы	st36.002	Редкие генетические заболевания	3,5	100 978,29
G12.0	Детская СМА, 1-й тип (Верднига-Гоффмана)				
G12.1	Другие наследственные СМА				
G12.2	Болезнь двигательного нейрона				
G12.8	Другие СМА				
G12.9	СМА неуточненная				
G12.2	Болезнь двигательного нейрона	st36.008	Интенсивная терапия пациентов с нейрогенными нарушениями жизненно важных функций, нуждающихся в их длительном искусственном замещении	18,15	523 644,56

Примечание. КСГ – клинико-статистические группы; СМА – спинальные мышечные атрофии; МКБ – международная классификация болезней.

Note. KCG – diagnosis-related groups; CMA – spinal muscular atrophies; МКБ – international classification of diseases.

Затраты на стационарное лечение (госпитализации при развитии осложнений СМА)

Авторы исследований бремени СМА, выполненных в Испании и США, отмечают существенное различие в причинах и частоте госпитализаций пациентов со СМА I типа и других типов СМА [10,33].

Таблица 4. Структура госпитализаций по причинам, их повлекшим [10].
Table 4. The structure of hospitalizations by the causes of the diseases [10].

Причина госпитализации	КСГ	Стоимость, руб.	Частота встречаемости, %	
			СМА 1-го типа	СМА 2-го и 3-го типов
Дыхательная недостаточность	st23.001	24 523,30	24,93	28,52
Дисфагия	st27.004	17 022,05	11,15	9,84
Острый респираторный дистресс	st23.001	24 523,30	16,86	13,11
Инфекции верхних дыхательных путей	st12.011	14 425,47	7,80	6,23
Пневмония	st12.013	126 944,13	14,32	20,98
Ателектаз	st23.001	24 523,30	16,86	11,80
Гастроэзофагеальный рефлюкс	st27.001	21 349,69	8,07	9,51

Примечание. КСГ – клинико-статистические группы; СМА – спинально-мышечная атрофия.
Note. КСГ – diagnosis-related groups; СМА – spinal muscular atrophies.

С учетом частоты встречаемости различных причин, повлекших госпитализацию пациентов, средняя стоимость одной госпитализации пациента со СМА 1-го типа составила 37 314,75 руб./пац., а со СМА 2-го и 3-го типов – 13 525,61.

По данным J. Darba с соавт., среднегодовое количество госпитализаций по причине осложнений СМА составляет

Основываясь на данных M. Droege с соавт. [10] о частоте и причинах госпитализаций пациентов со СМА, была определена структура причин госпитализаций, на основании которой проведен расчет средней стоимости госпитализации по причине развития осложнений СМА I типа и СМА II, III типов (табл. 4).

1,16 случаев/пац./год для пациентов со СМА I типа и 0,79 случаев/пац./год у пациентов со СМА II и III типа [29], при этом в 42% случаев имеет место экстренная госпитализация с необходимостью оказания скорой медицинской помощи.

Расчет затрат на стационарное лечение пациентов по причине осложнений СМА приведен в таблице 5.

Таблица 5. Расчет годовых затрат на стационарное лечение пациентов по причине осложнений СМА.
Table 5. The calculation of the annual cost of in-patient care for patients hospitalized for CMA complications.

Тип СМА	Стоимость одной госпитализации, руб.	Стоимость одного вызова скорой медицинской помощи, руб.	Количество госпитализаций на одного пациента [29]	Количество вызовов СМП на одного пациента [29]	Итого, руб./пац./год
1-го типа	37 314,75	2 428,60	1,16	0,49	44 475,12
2-го или 3-го типов	13 525,61	2 428,60	0,79	0,33	11 486,67
Итого					55 961,79

Примечание. СМА – спинально-мышечная атрофия; СМП – скорая медицинская помощь.
Note. СМА – spinal muscular atrophies; СМП – Emergency Medical Services.

Затраты на травматолого-ортопедическую помощь

По данным M. Droege и соавт. [10], 3,2% пациентов в год со СМА 1-го типа требуется проведение оперативного ортопедического лечения. По экспертным оценкам, 70% пациентов со СМА 2-го и 3-го типов требуется проведение ортопедического оперативного лечения хотя бы один раз в течение жизни. Стоимость ортопедического лечения, а именно реконструктивные и корригирующие операции при сколиотических деформациях позвоночника 3–4-й степени с применением имплантатов, стабилизирующих систем, аппаратов внешней фиксации, в т.ч. у детей первых лет жизни и в сочетании с аномалией развития грудной клетки, составляет 402 194,00 руб./пац. [17].

Пациенты в возрасте до 13 лет в среднем (возраст окончания костного роста) нуждаются в проведении этапной дистракции растущей системы, которая выполняется, по экспертным данным, один раз в девять месяцев, затраты на ее выполнение составляют 351 808,06 руб. [17].

Расчет затрат на ортопедическую помощь приведен в таблице 6.

Стоимость хирургической коррекции деформации стоп составляет в среднем 167 148,50 руб. (191 971,00 руб. и 142 326,89 руб. [17]). При отсутствии достоверных статистических данных

было сделано допущение, что такая коррекция проводится в среднем один раз пациентам в возрасте от 5 до 18 лет.

Таким образом, средняя стоимость ортопедической помощи составляет: $6\ 897\ 286,70 + 167\ 148,50 \times 2 = 7\ 231\ 584,59$.

Затраты на лечение в амбулаторных условиях.

Перечень медицинских услуг для лечения заболевания и контроля за лечением СМА, предусмотренных стандартом оказания первичной медико-санитарной помощи детям при спинальных мышечных атрофиях [12].

Поскольку СМА является хроническим прогрессирующим заболеванием, то пациентам с СМА требуется постоянная амбулаторная помощь.

Таким образом, при расчетах исходили из того, что амбулаторные медицинские услуги, стоимость которых составляет 27 459,23 руб./пац./год, предоставляются каждому пациенту пожизненно вне зависимости от типа СМА.

Затраты на патогенетическую лекарственную терапию.

В РФ зарегистрирован единственный лекарственный препарат для патогенетической терапии СМА – нусинерсен. Стоимость лечения нусинерсеном приведена в таблице 7.

Таблица 6. Расчет стоимости имплантации металлоконструкций.
Table 6. The calculation of the cost of metal implantation.

Тип медицинского изделия	Наименование	Стоимость, руб. [15]	Количество устанавливаемых систем до достижения возраста 13 лет.	Количество оперативных вмешательств*	Стоимость оперативного вмешательства
Финальная система	Система транспедикулярной фиксации Deru Expedium Ø 5,5:	376 480,00	1	1 (установка системы)	402 194,00
Растущая система детская (детям и подросткам с массой тела более 35 кг)	Система транспедикулярной фиксации Deru Expedium Ø 5,5 (в т.ч. «растущий» коннектор)	294 020,00	1	1 (установка системы)+4 (этапная дистракция)	402 194,00+ 351 808,06×4= =1 809 426,24
Растущая система взрослая (детям и подросткам с массой тела менее 35 кг)	Система транспедикулярной фиксации Medtronic Ø 4,5:	446 699,92	1	1 (установка системы)+9 (этапная дистракция)	402 194,00+351 808,06×9= =3 568 466,54
Итого					6 897 286,70

* Принято допущение, что первое оперативное вмешательство выполняется пациентам в возрасте 3 лет.

* It was assumed that the patients underwent the first surgical treatment at the age of 3 years old.

При осуществлении расчетов бремени заболевания исходили из того, что по экспертным оценкам терапию нусинерсеном получают 130 пациентов, из которых 46 (35%) – СМА I типа, 50 пациентов (39%) – СМА II типа, и 34 пациента (26%) – СМА III типа.

Затраты на симптоматическую лекарственную терапию.

Стоимость симптоматической лекарственной терапии, рассчитанная на основании перечня лекарственных препаратов и их курсовые дозы для лечения заболевания и контроля за лечением СМА, предусмотренных стандартом оказания первичной медико-санитарной помощи детям при спинальных мышечных атрофиях, составила 79 493,62 руб./пац./год. [12].

Затраты на реабилитационные мероприятия (услуги).

Тариф на проведение реабилитации у больных с заболеваниями нервной системы с применением методов роботизированной механотерапии составляет 252 491,90 руб./пац./год. [13].

Затраты на респираторную поддержку.

Согласно клиническим рекомендациям, респираторная поддержка пациентов осуществляется с использованием метода неинвазивной искусственной вентиляции легких (НИВЛ), а также

приборов-откашливателей и аспираторов, улучшающих отхождение мокроты и ИВЛ [1].

По данным Droege M. с соавт., у 46,4% пациентов с СМА I типа и 26,4% пациентов с СМА II и III требуется проведение НИВЛ [19].

НИВЛ осуществляется в домашних условиях, стоимость аппарата для проведения НИВЛ находится в пределах от 134 000 руб. до 591 600 руб. [30], что в среднем составляет 362 800 руб./год (гарантийный срок службы прибора – 12 мес.).

Для облегчения отхождения мокроты пациентам на НИВЛ необходим прибор аспиратор и инсуфлятор-аспиратор (прибор-откашливатель). Стоимость медицинского аспиратора составляет около 22 000 руб./год, прибора-откашливателя – в среднем 500 000 руб./год [31].

По данным M.Oskoui с соавт. [6] 27,3% пациентов со СМА I типа нуждаются в ИВЛ, осуществляемой на дому, стоимость аппарата для проведения ИВЛ находится в пределах от 580 000 руб. до 894 150 руб. [30], что в среднем составляет 737 075 руб./год (гарантийный срок службы прибора – 12 мес.). При проведении ИВЛ на дому, помимо аппарата ИВЛ, необходим концентратор кислорода, стоимость которого находится в пределах от 65 000 руб. до 150 000 руб., что в среднем составляет 107 500 руб. на весь период эксплуатации, а при сроке эксплуатации 3 года – 35 833 руб./год.

Таблица 7. Стоимость лечения нусинерсеном.
Table 7. The cost of therapy with nusinersen.

МНН	ТН, форма выпуска	Цена, руб.* [15]	Дни введений	Количество флаконов	Стоимость, руб.
1-й год терапии					
Нусинерсен	Спинраза, р-р для интратекального введения, 2,4 мг/мл – 5,0 мл N1	7 898 998,25	1-й (0) день +14-й день +28-й день+63-й день+185-й день+307-й день	6	47 393 989,48
2-й и последующие годы					
Нусинерсен	Спинраза, р-р для интратекального введения, 2,4 мг/мл – 5,0 мл N1	7 898 998,25	64-й день+186-й день+308-й день	3	23 696 994,74

Примечание. МНН – международное непатентованное название; ТН – торговое наименование.

* Средневзвешенная цена с учетом НДС и торговой надбавки.

Note. MNN – International Nonproprietary Name; TH – trademark.

* Weighted average price including WAT and trade increment.

Для контроля сатурации кислорода крови всем пациентам, находящимся на НИВЛ и ИВЛ, необходим пульсоксиметр, стоимость прибора находится в пределах 4700 руб. – 15 700 руб., что в среднем составляет 10 200 руб./год.

По данным Авксентьевой М.В. с соавт., годовые затраты на техническое обслуживание аппаратуры при проведении ИВЛ на дому составляют 115 200 руб./год, на расходные материалы – 328 269 руб./год, что в сумме составляет 443 469 руб./год. [41].

По экспертным оценкам, стоимость расходных материалов и обслуживания аппарата при осуществлении НИВЛ на дому составляет 10 000 руб./год и 109 798 руб./год, соответственно, в сумме эти затраты составляют 119 798 руб./год.

Затраты на нутритивную поддержку.

Пациенты с СМА как I, так и других типов, в силу наличия у них в той или иной степени выраженности нарушений глотания нуждаются в нутритивной поддержке. Отечественные статистические данные по частоте накладывания гастростомы, а также использования назогастрального зонда отсутствуют. По этой причине в настоящем исследовании были использованы данные зарубежных авторов (табл. 8).

Стоимость проведения гастростомии, рассчитанная согласно методическим рекомендациям по способам оплаты медицинской помощи ФФОМС и МЗ РФ [18] (код услуги А16.16.034.001 – гастростомия с использованием видеоэндоскопических технологий; КСГ st32.009, коэффициент затратноности – 1,95), составляет 56 259,33 руб., при этом было принято допущение, что гастростомия проводится пациенту один раз в жизни.

При расчетах исходили из того, что пациенты могут использовать как дополнительное специализированное питание для применения у пациентов с гастростомой, так и готовить жидкую пищу самостоятельно, а пациенты с СМА I типа получают смеси для питания детей в зависимости от возраста. В случае отсутствия у таких пациентов СМА семья все равно бы несла затраты на покупку питания, учитывая вышеизложенное, стоимость питания в настоящем расчете не учитывали.

В отсутствии достоверных данных о частоте замены гастростомической трубки было принято допущение, что в год пациенту необходимо две гастростомические трубки. Стоимость одной гастростомической трубки составляет 4 200 руб. [41].

Таким образом затраты на нутритивную поддержку составляют 56 259,33 руб. один раз в жизни и затем 8400 руб./год.

Затраты на технические средства реабилитации

В соответствии с ч. 3 Приказа МЗСР РФ № 57н инвалиды и дети-инвалиды обеспечиваются техническими средствами реабилитации, в т.ч. с возможностью получения компенсации понесенных затрат в случае, если предусмотренные индивидуальной программой реабилитации или абилитации инвалида техническое средство реабилитации и (или) услуга не могут быть предоставлены инвалиду или инвалид самостоятельно приобрел указанное техническое средство реабилитации и (или) оплатил услугу за счет собственных средств [34]. Размер компенсации за самостоятельно приобретенное за собственный счет инвалидом техническое средство реабилитации и (или) оплаченную за счет собственных средств услугу по ремонту технического средства реабилитации определяется путем сопоставления наименования технического средства реабилитации, самостоятельно приобретенного инвалидом за собственный счет, и

вида технического средства реабилитации, предусмотренных классификацией, утвержденной Приказом Министерства труда и социальной защиты от 13 февраля 2018 г. N 86н [34,35]. Размер компенсации определяется уполномоченным органом по результатам последней по времени осуществления закупки технического средства реабилитации и (или) оказания услуги, информация о которой размещена на официальном сайте Российской Федерации в информационно-телекоммуникационной сети «Интернет» для размещения информации о размещении заказов на поставки товаров, выполнение работ, оказание услуг (www.zakupki.gov.ru), проведенной уполномоченным органом в порядке, установленном законодательством Российской Федерации о контрактной системе в сфере закупок товаров, работ, услуг для обеспечения государственных и муниципальных нужд [34].

Перечень технических средств реабилитации, предусмотренных клиническими рекомендациями [1] и одновременно Приказом Министерства труда и социальной защиты от 13 февраля 2018 г. N 85н [36], включает: вертикализаторы (корсеты жесткой фиксации), корсеты (ортезы), тьюторы, а также кресло-коляска с дополнительной фиксацией (поддержкой) головы и тела, в т.ч. для больных ДЦП, с электроприводом (для инвалидов и детей-инвалидов).

Сроки использования технических средств реабилитации утверждены Приказом Министерства труда и социальной защиты РФ от 13 февраля 2018 г. N85н [36].

При расчете затрат на технические средства реабилитации ввиду отсутствия полноценных статистических данных об их использовании пациентами со СМА разных типов, были сделаны следующие допущения:

- учитывали затраты на один тип технического средства реабилитации из подгруппы средств;
 - при расчетах затрат предполагали, что один пациент использует все учитываемые технические средства реабилитации, чего в реальной жизни не наблюдается;
 - при расчетах затрат ввиду отсутствия статистических данных не учитывали возможность смены одного ТСР на другое в течение времени с учетом роста ребенка;
 - при расчетах учитывали цену средств реабилитации согласно аукционам объявленным фондами социального страхования различных субъектов РФ, максимально приближенным по времени к дате осуществления расчетов.
- Расчет стоимости технических средств реабилитации приведен в таблице 9

Затраты на санаторно-курортное лечение.

Санаторно-курортное лечение осуществляется один раз в год. Стоимость путевки на санаторно-курортное лечение, осуществляемое в целях профилактики основных заболеваний при наличии медицинских показаний, в организациях, оказывающих санаторно-курортную помощь для детей-инвалидов по профилю болезни нервной системы, в т.ч. детский церебральный паралич, по данным Единой информационной системы в сфере закупок, составляет 30 305,52 руб./пац./год. [15].

Затраты на паллиативную помощь

В виду отсутствия статистических данных о частоте и объеме предоставления паллиативной помощи пациентам со СМА было сделано допущение о том, что пациенту со СМА

Таблица 8. Частота использования гастростомии у пациентов с СМА разных типов.

Table 8. The rate of indication of gastrostomy in patients with different types of CMA.

Параметр	СМА I тип [6], %	СМА II и III тип [10], %
Питание через гастростому	78	15

Примечание. СМА – спинально-мышечная атрофия.

Note. CMA – spinal muscular atrophies.

Таблица 9. Расчет стоимости технических средств реабилитации.
Table 9. The calculation of the cost of technical means of rehabilitation.

Наименование	Срок службы [36]	Количество	Цена, руб. [15]	Стоимость, руб./год
<i>СМА I тип</i>				
Опора для ползания для детей-инвалидов	2 года	1	7 474,12	3 737,06
Опора для сидения для детей-инвалидов	2 года	1	12 150,24	6 075,12
Опора для лежания для детей-инвалидов	2 года	1	13 273,27	6 636,64
Головодержатель полужесткой фиксации	1 год	1	1 030,89	1 030,89
Головодержатель жесткой фиксации	1 год	1	3 722,00	3 722,00
Противопролежневый матрац воздушный (с компрессором)	3 года	1	2 067,31	689,10
Противопролежневая подушка	3 года	1	438,35	146,12
Впитывающие простыни (пеленки)	8 часов	1095 в год	11,02	12 066,90
Подгузники для детей весом до 9 кг	8 часов	1095 в год	12,69	13 895,55
Итого для пациентов с СМА I типа				47 999,38
<i>СМА II тип</i>				
Опора для стояния (вертикализатор)	1 год	1	43 440,00	43 400,00
Корсет (ортез для шейного, грудного, поясничного и крестцового отделов позвоночника)	1 год	1	6 200,00	6 200,00
Тутор	1 год	4*	7 116,33	28 665,32
Кресло-коляска с дополнительной фиксацией (поддержкой) головы и тела, в т.ч. для больных ДЦП, с электроприводом (для инвалидов и детей-инвалидов)	5 лет	1	399 366,67	79 873,33
Кресло-стул с санитарным оснащением с дополнительной фиксацией (поддержкой) головы и тела, в т.ч. для больных ДЦП	4 года	1	16 500,00	4 125,00
Трость опорная с анатомической ручкой, регулируемая по высоте, без устройства противоскольжения	2 года	1	610,00	305,00
Реклинатор – корректор осанки	6 месяцев	2 в год	1423,69	2 847,38
Ходунки с дополнительной фиксацией (поддержкой) тела, в т.ч. для больных ДЦП	2 года	1	19 810,00	9 905,00
Ортопедическая обувь сложная без утепленной подкладки (пара)	3 месяца	4 пары в год	7 866,00	31 464,00
Ортопедическая обувь сложная на утепленной подкладке (пара)	3 месяца	4 пары в год	7 866,00	31 464,00
Противопролежневая подушка	3 года	1	438,35	146,12
Противопролежневый матрац воздушный (с компрессором)	3 года	1	2 067,31	689,10
Итого для пациентов СМА II типа				239 084,25

Примечание. СМА – спинально-мышечная атрофия; ДЦП – детский церебральный паралич.

* С учетом необходимости нескольких туторов для различных суставов для использования одним пациентом.

Note. СМА – spinal muscular atrophy; ДЦП – infantile cerebral paralysis.

* Considering the requirement of several removable joint-immobilizers for different joints for one patient.

необходимо два посещения в месяц с паллиативной целью (24 посещение в год).

В соответствии с программой государственных гарантий затраты на одно посещение на дому выездными патронажными бригадами паллиативной медицинской помощи составляет 2055,20 руб. [42,43].

Таким образом, годовые затраты на паллиативную помощь составляют – 49 324,80 руб./год.

По экспертным оценкам, 100% пациентов со СМА 1-го типа и около 70% пациентов со СМА 2-го типа нуждаются в оказании паллиативной помощи.

Прямые немедицинские затраты

Затраты на выплату пенсий и пособий

Согласно ФЗ №166 «О государственном пенсионном обеспечении» и с учетом ежегодных индексаций, размер пенсии инвалидов с детства 1-й группы и детям-инвалидам составляет в 2020 г. 13 454,64 руб./мес. [32]. При проведении расчетов было сделано допущение о том, что все пациенты со СМА являются инвалидами.

В соответствии с Указом Президента РФ от 7 марта 2019 г. №95 родителю, осуществляющему уход за детьми-инвалидами и

Таблица 10. Данные для расчетов не прямых затрат (руб.).
Table 10. The data for the calculation of indirect costs (RUR).

Параметр	Значение
Средняя заработная плата в 2017 г.	37 400,00
Средняя заработная плата в 2018 г.	42 100,00
Средняя заработная плата в день	1 325,00

инвалидами с детства 1-й группы, осуществляется ежемесячная выплата в размере 10 000 руб. При проведении расчетов было сделано допущение о том, что для пациента со СМА один из родителей осуществляет уход пожизненно [33].

Непрямые затраты

Недополученный ВВП

При расчетах не прямых затрат учитывали, что один из родителей пациента с СМА 1-го типа осуществляет пожизненный уход, а следовательно, не может осуществлять трудовую деятельность, что приводит к снижению валового внутреннего продукта (ВВП) в РФ.

Расчет ежедневных потерь ввиду неосуществления одним взрослых гражданином трудовой деятельности был проведен на основании данных о средней заработной плате и представлен в таблице 10.

Таким образом, исходя из данных, представленных в таблице 10, недополученный ВВП при неосуществлении трудовой деятельности одним взрослым в течение одного года составит 483 625 руб.

Параметры расчетов

Расчет бремени заболевания СМА осуществляли для всей популяции пациентов в РФ отдельно для СМА I типа и СМА II и III типов. С учетом разницы в затратах в первый и последующие годы терапии СМА горизонт расчетов составил 5 лет, с последующим расчетом среднего значения бремени СМА за 1 год.

Расчет осуществляли путем суммирования всех затрат, связанных со СМА на одного пациента с последующим умножением на число пациентов с диагнозом СМА в РФ.

РЕЗУЛЬТАТЫ / RESULTS

Сценарий 1

Расчет социально-экономического бремени СМА при условии отсутствия патогенетической терапии нусинерсеном

Лекарственный препарат для патогенетической терапии СМА зарегистрирован в РФ в 2019 г., до момента его появления патогенетическая терапия не проводилась. С целью оценки влияния на социально-экономическое бремя СМА в РФ патогенетической терапии был проведен расчет без учета затрат на нусинерсен (рис. 1, 2).

Как видно из данных, представленных на рис. 1 б, социально-экономическое бремя СМА в РФ до момента внедрения патогенетической терапии составляло 11 882 920 руб. за 5 лет. При этом в структуре прямых медицинских затрат практически в равных долях преобладают затраты на стационарное лечение и реабилитацию (44,7 и 47,1% соответственно).

Сценарий 2

Расчет бремени СМА при текущем уровне обеспеченности патогенетической терапией (нусинерсеном).

По данным Единой информационной системы в сфере закупок [15], на момент выполнения расчетов всего в РФ было объявлено

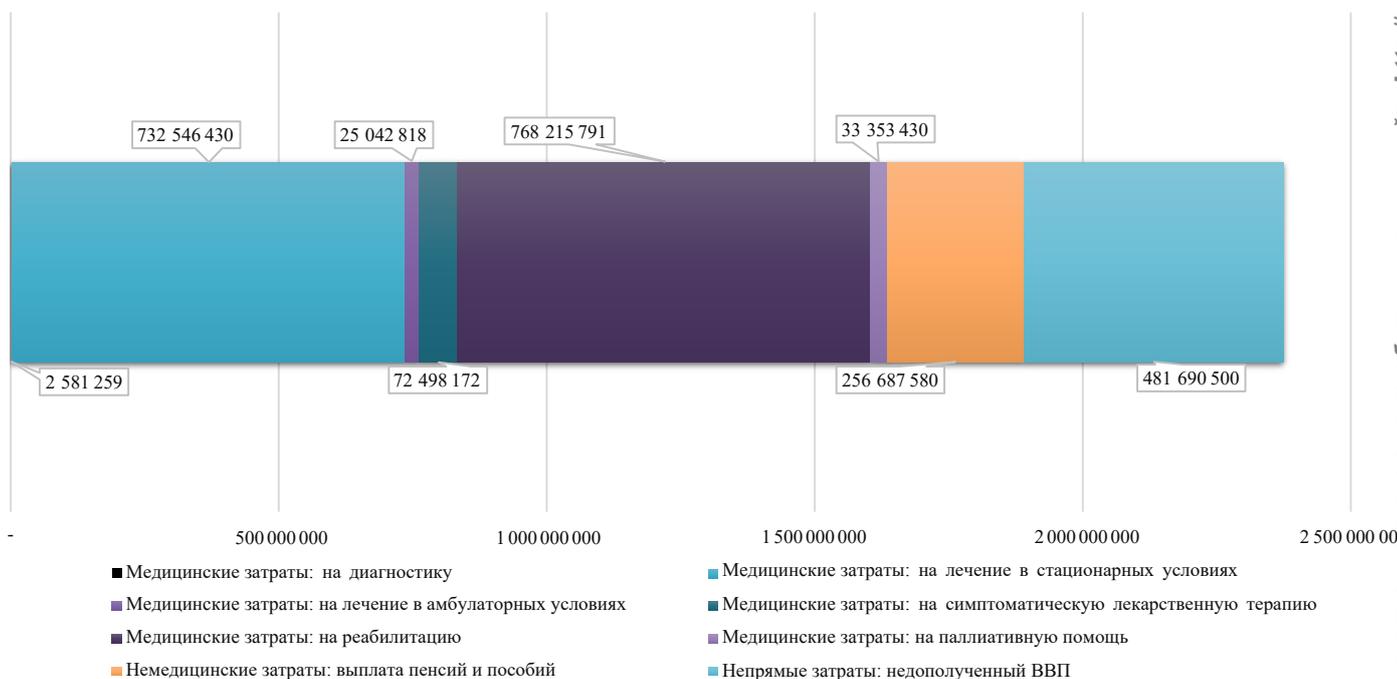


Рисунок 1 а. Средневзвешенные затраты на лечение в расчете на целевую популяцию в год (руб.).

Примечание. Порядок легенды (сверху вниз) соответствует порядку на диаграмме (слева – направо).

Figure 1a. Weighted-average costs for the treatment calculated for the target population per year (RUR).

Note. The legend order (from top to bottom) corresponds to the sequence in the diagram (left to right).

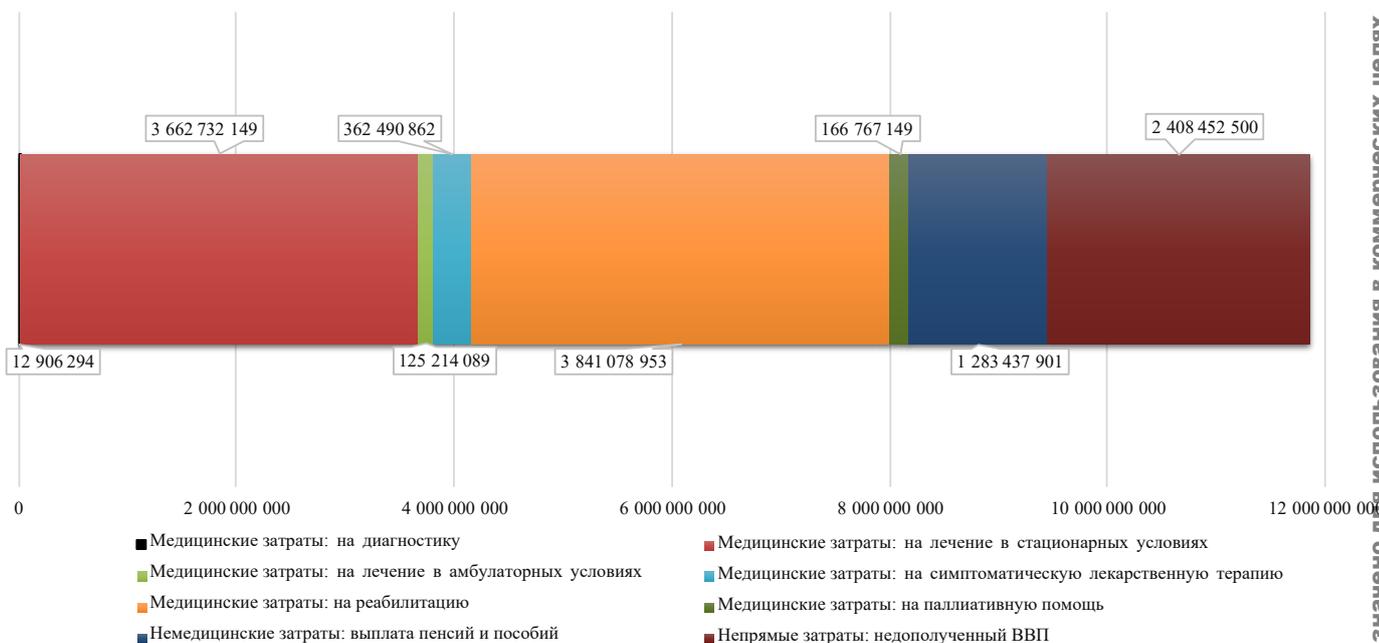


Рисунок 1 б. Средневзвешенные затраты на лечение в расчете на целевую популяцию за 5 лет (руб.).
 Примечание. Порядок легенды (сверху вниз) соответствует порядку на диаграмме (слева – направо).
 Figure 1b. Weighted-average costs for the treatment calculated for the target population for 5 years (RUR).
 Note. The legend order (from top to bottom) corresponds to the sequence in the diagram (left to right).

и проведено тендеров на поставку лекарственного препарата МНН нусинерсен на общую сумму 4 033 793 554 руб., что при стоимости одного флакона 7 898 998,25 руб. (см. табл. 7) составляет 510 флаконов. Лекарственный препарат Спинраза (МНН – нусинерсен) зарегистрирован в Государственном реестре лекарственных средств 16.08.2019 г., настоящий расчет осуществляли в июне 2020 г., таким образом, никто из пациентов на момент осуществления расчетов не мог получать терапию нусинерсеном более одного года. В первый год терапии необходимо использовать шесть флаконов нусинерсена в год; с учетом того, что всего было закуплено 510 флаконов, ориентировочное количество пациентов, получающих

нусинерсен в период с августа 2019 г. по июнь 2020 г., составило 85 пациентов. По экспертным оценкам, терапию нусинерсеном получают 130 пациентов, из которых 46 (35%) – СМА 1-го типа, 50 пациентов (39%) – СМА 2-го типа, и 34 пациента (26%) – СМА 3-го типа. В регистре пациентов со СМА на февраль 2020 г. содержалась информация о 998 пациентах, из которых 21% – пациенты со СМА 1-го типа, то есть всего 210 пациентов с СМА 1-го типа, из которых 46 получали терапию нусинерсеном, то есть охват патогенетической терапией составил около 22%; и 788 пациентов со СМА 2-го и 3-го типов, из которых 84 пациента получают терапию нусинерсеном, то есть охват патогенетической терапией составил около 10%. Результаты расчета социально-

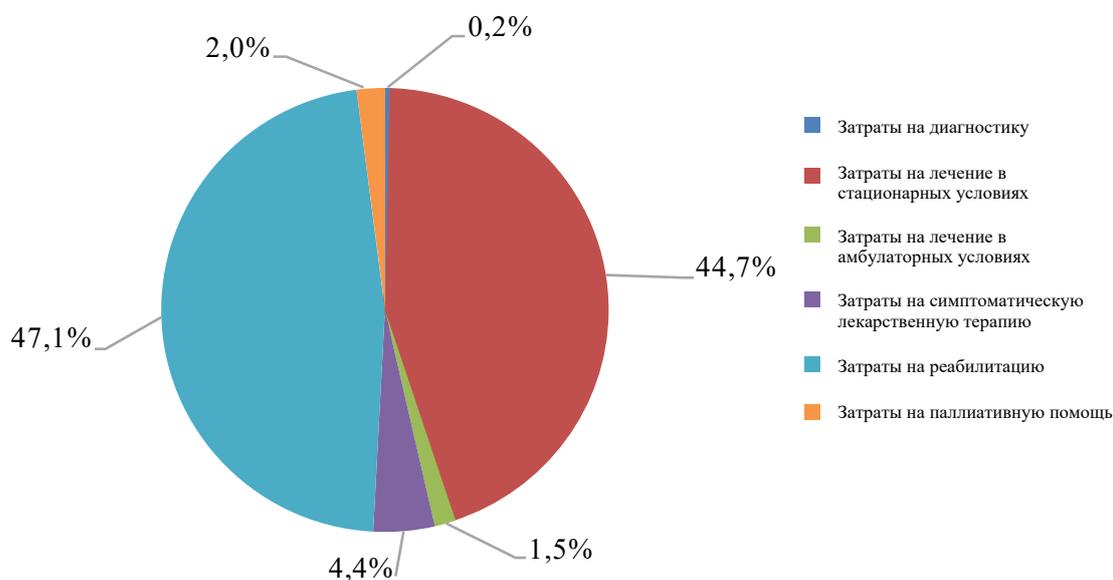


Рисунок 2. Распределение прямых медицинских затрат на лечение пациентов со спинально-мышечной атрофией.
 Figure 2. The distribution of direct medical costs for the treatment of patients with spinal muscle atrophies.

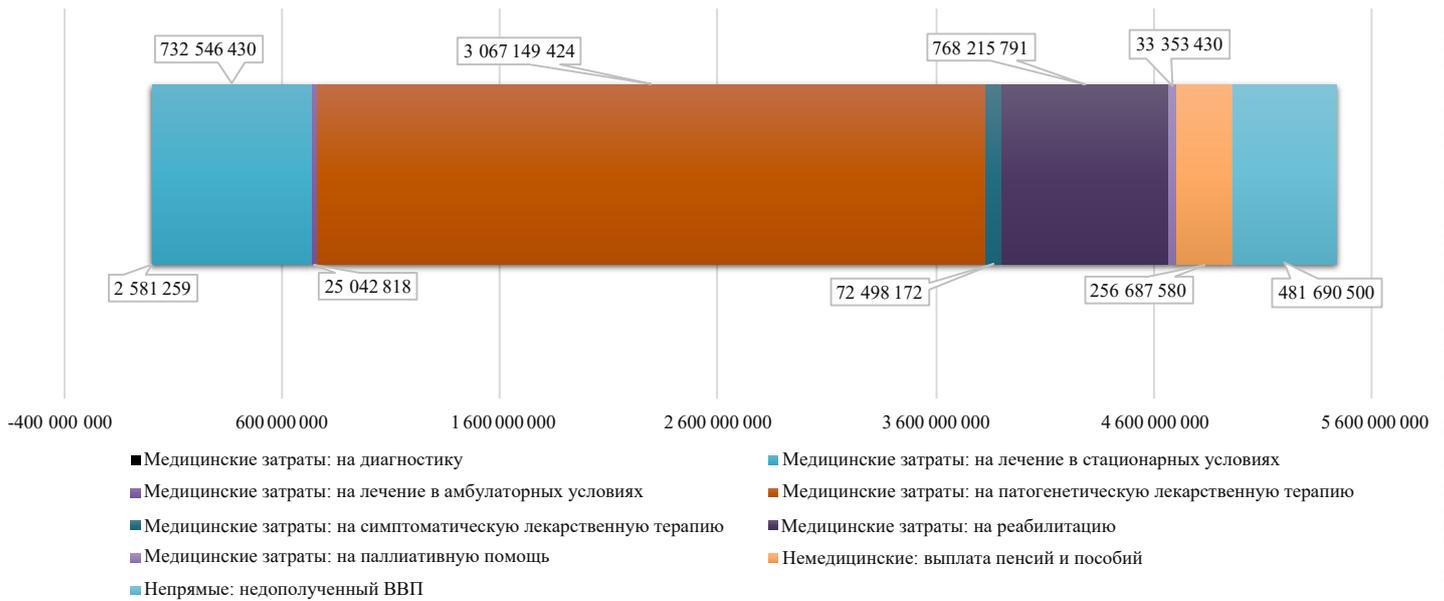


Рисунок 3 а. Средневзвешенные затраты на лечение в расчете на целевую популяцию в год.
 Примечание. Порядок легенды (сверху вниз) соответствует порядку на диаграмме (слева – направо).
Figure 3 a. Weighted-average costs for the treatment calculated for the target population per year (RUR).
 Note. The legend order (from top to bottom) corresponds to the sequence in the diagram (left to right).

экономического бремени СМА, полученные в сценарии 2, приведены на **рисунках 3, 4**.

Как видно из данных, представленных на рис. 4, социально-экономическое бремя СМА в РФ при сохранении текущего уровня обеспеченности патогенетической терапией составляет 27 218 667 381 руб. за 5 лет. При этом в структуре всех затрат (немедицинских, медицинских и непрямых) преобладает стоимость патогенетической терапии (56%).

Оценка динамики затрат

Одной из целей настоящего анализа является оценка влияния патогенетической терапии на динамику социально-экономического бремени СМА в РФ (**рис. 5**).

Как видно из данных, представленных на рисунке 5, патогенетическая терапия оказывает наибольшее влияние на

социально-экономическое бремя СМА в РФ. По мере внедрения начиная с 2019 г. бремя прямых медицинских затрат выросло с 2,376 млрд. руб./год до 5,444 млрд. руб./год.

ОБСУЖДЕНИЕ / DISCUSSION

Внутри медицинского сообщества довольно часто употребляют такой термин, как «бремя заболевания». Традиционно выделяют такие понятия, как «глобальное бремя болезни» и «социально-экономическое бремя заболевания». К 2017 г. данные глобального бремени заболевания (Global Burden of Disease, GBD) представляют в следующих показателях: смертность; потерянные годы жизни (Years of Life Lost); годы, связанные с инвалидностью (Years Lived with a Disability); годы жизни с поправкой на инвалидность

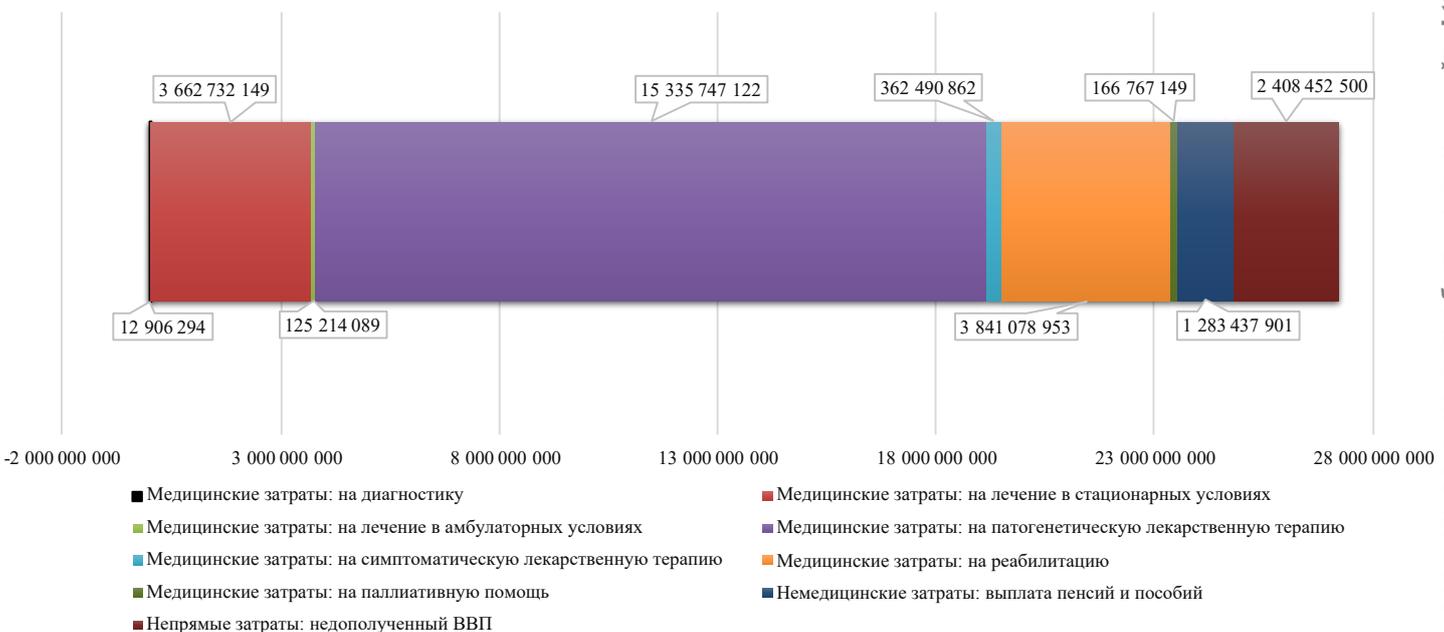


Рисунок 3 б. Средневзвешенные затраты на лечение в расчете на целевую популяцию в течение 5 лет.
 Примечание. Порядок легенды (сверху вниз) соответствует порядку на диаграмме (слева – направо).
Figure 5b. Weighted-average costs for the treatment calculated for the target population per 5 years (RUR).
 Note. The legend order (from top to bottom) corresponds to the sequence in the diagram (left to right).

Данная интернет-версия статьи была скачана с сайта <http://www.pharmacoeconomics.ru>. Не предназначено для использования в коммерческих целях. Информацию о репринтах можно получить в редакции. Тел.: +7 (495) 649-54-95; эл. почта: info@irbis-1.ru

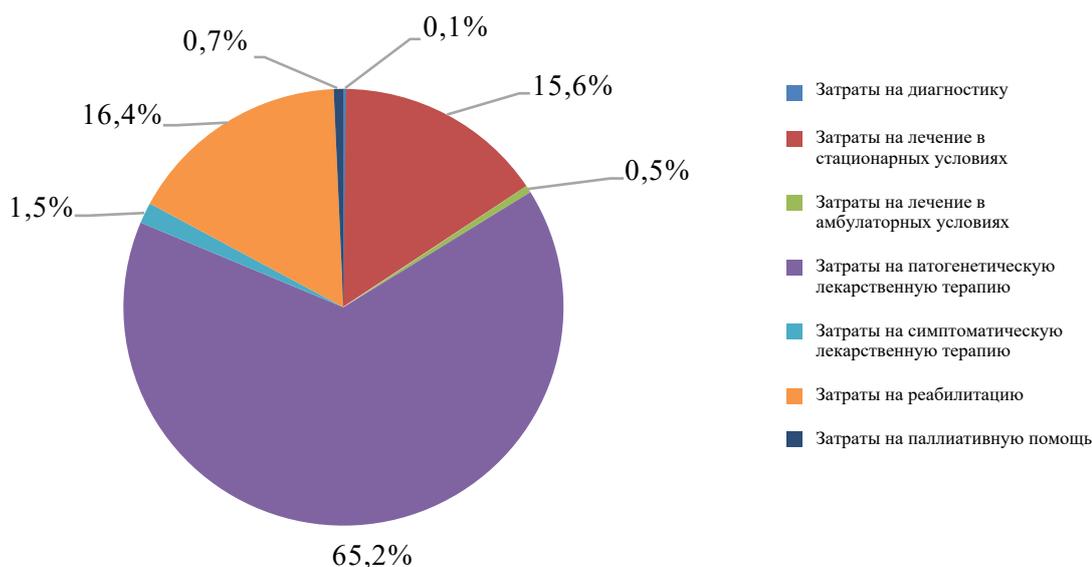


Рисунок 4. Распределение прямых медицинских затрат на лечение пациентов со спинально-мышечной атрофией.
Figure 4. The distribution of medical costs for the treatment of patients with spinal muscular atrophy.

(disability-adjusted life years); распространенность; заболеваемость; ожидаемая продолжительность жизни; ожидаемая продолжительность здоровой жизни (Health Adjusted Life Expect); коэффициент материнской смертности (Maternal Mortality Ratio) [37–39]. Расчеты данных показателей формализованы, методология принята ВОЗ и результаты широко применяются в системе принятия решений, и не только здравоохранения. Необходимо отметить, что полноценное GBD для спинальной мышечной атрофии в мире не рассчитывали.

Социально-экономическое бремя заболевания до настоящего времени остается в плоскости экспертного обсуждения, методы по расчету не стандартизированы, трактовка результатов зачастую вызывает жаркие споры. Нами впервые в РФ был проведен расчет социально-экономического бремени спинальной мышечной атрофии. Для расчета была использована методология моделирования с расчетом среднего объема медицинских и социальных услуг для одного пациента со СМА. Расчет носит

оценочный характер, а его результаты свидетельствуют о порядке затрат на лечение СМА.

Результаты расчетов показали, что СМА в РФ сопряжена с существенными материальными затратами. В анализ была включена стоимость патогенетической терапии, доля которой является наибольшей. В США и Германии также проводились исследования бремени СМА, однако эти работы были выполнены еще до появления патогенетической терапии. В исследовании E.P. Armstrong с соавт. (2016) было показано, что суммарные затраты составляют 47 862 долларов США на одного пациента в год (3 350 340 руб./пац./год) [11]. В работе S. Klug с соавт. (2016) показано, что затраты на СМА в Германии составили 70 566 евро на одного пациента в год (5 540 148 руб./пац./год) [40]. Оба этих значения были рассчитаны без учета патогенетической терапии. В нашем исследовании затраты на СМА без учета патогенетической терапии составили 2 381 811 руб./пац./год, что ниже в сравнении с США и Германией на 28 и 47% соответственно.

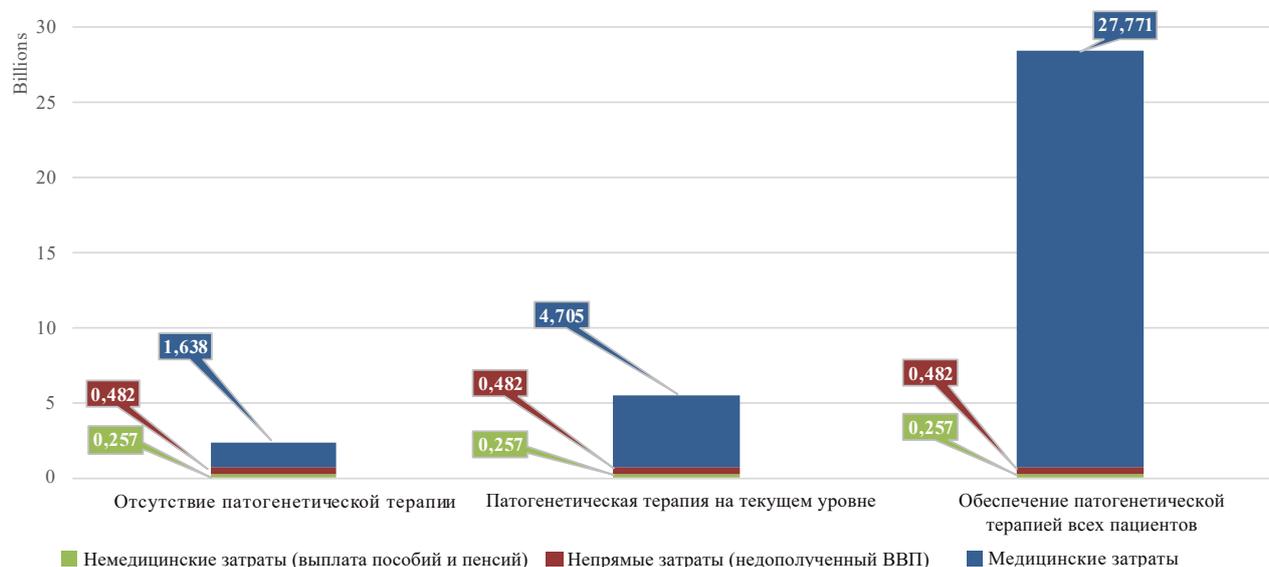


Рисунок 5. Динамика социально-экономического бремени спинально-мышечной атрофии при различных уровнях охвата пациентов патогенетической терапией (млрд руб./год).
Figure 5. The dynamics of social-economic burden of spinal muscular atrophy at different rate of indication of pathogenetic therapy (billion RUR/year).

Внедрение и расширение доступа пациентов к патогенетической терапии оказывает существенное влияние на бремя СМА в РФ. С момента регистрации нусинерсена и до момента проведения настоящего анализа (около одного года) прямые медицинские затраты на терапию пациентов с СМА выросли в 2,9 раза.

ВЫВОДЫ / FINDINGS:

1. Бремя СМА в РФ до момента внедрения в практику патогенетической терапии составляет 2,38 млрд руб. в год. на 998 пациентов, из которых затраты на лечение в стационарных условиях и реабилитацию составляют 30,8 и 32,3% от суммарных затрат соответственно.

Ограничения

Ввиду отсутствия данных реальной клинической практики исследование было выполнено методом моделирования, что дает менее точную оценку бремени заболевания по сравнению с использованием данных реальной клинической практики (Real World Data, RWD).

Входные параметры модели, характеризующие структуру популяции пациентов, а также структуру и частоту предоставления тех или иных медицинских услуг, были взяты из зарубежных публикаций, данные в которых получены исходя из RWD этих стран, которая может отличаться от практики ведения таких пациентов в РФ.

Ввиду отсутствия полноценных статистических данных по РФ при проведении исследования было сделано допущение об одинаковом качестве ухода за пациентами с СМА в РФ и других странах (Испания, США), от которого во многом зависит частота развития осложнений СМА.

При расчетах объемы медицинских и социальных услуг оценивались в соответствии с государственными программами, не включающими ряд расходов семей пациентов, поскольку на сегодняшний момент эти данные недоступны для анализа и требуют дополнительного исследования.

ЛИТЕРАТУРА:

1. Влодавец Д.В., Харламов Д.А., Артемьева С.Б., Белоусова Е.Д. Федеральные клинические рекомендации (протоколы) по диагностике и лечению спинальных мышечных атрофий у детей. [Электронный ресурс] URL: http://ulgb3.ru/doc/211218_10-58.pdf. Дата обращения: 20.07.2020.
2. Соколова М.Г., Александров Н.Ю., Лобзин С.В. Спинальная мышечная атрофия у детей: этиология, патогенез, диагностика и принципы лечения. *Вестник Северо-Западного государственного медицинского университета им. И.И. Мечникова*. 2013; 5 (4): 108–113.
3. Mercuri E., et al. Diagnosis and management of spinal muscular atrophy: Part 1: Recommendations for diagnosis, rehabilitation, orthopedic and nutritional care. *Neuromuscul Disord*. 2018; 28 (2): 103–115.
4. Finkel R.S., et al. Diagnosis and management of spinal muscular atrophy: Part 2: Pulmonary and acute care; medications, supplements and immunizations; other organ systems; and ethics. *Neuromuscul Disord*. 2018; 28 (3): 197–207.
5. Lally C., et al. Indirect estimation of the prevalence of spinal muscular atrophy Type I, II, and III in the United States. *Orphanet J Rare Dis*. 2017; 12 (1): 175.
6. Oskoui M., et al. The changing natural history of spinal muscular atrophy type 1. *Neurology*. 2007; 69 (20): 1931–6.
7. Mannaa M.M., et al. Survival probabilities of patients with childhood spinal muscle atrophy. *J Clin Neuromuscul Dis*. 2009; 10 (3): 85–9.
8. Chung B.H., et al. Spinal muscular atrophy: survival pattern and functional status. *Pediatrics*. 2004; 114: e548–e553.

2. Бремя СМА в РФ при сохранении текущего уровня обеспечения пациентов патогенетической терапией составляет 5,44 млрд руб. в год. при общей численности популяции 998 пациентов.

3. Анализ показывает, что по мере расширения доступа пациентов к патогенетической терапии бремя СМА будет возрастать, однако при этом рост затрат на патогенетическую терапию должен сопровождаться снижением других прямых и непрямых затрат.

4. Доля затрат на патогенетическую терапию при текущем уровне обеспечения составляет 56% суммарных затрат.

Restrictions

Since there are no data from real clinical practice on the subject, the study was performed by the method of modeling, which provided a less precise evaluation of the burden of the disease in comparison with the methods that involve real clinical practice (Real World Data, RWD).

The input model parameters that characterized the structure of the population and the structure and the rate of certain medical services were taken from foreign publications that provided data based on RWD valid for the respective countries, which can be different from the clinical experience for such patients in Russia.

Since there are no reliable statistical data for Russia, the authors of the study assumed that patients with SMA in Russia received the same quality of care as patients in other countries (Spain, USA), which primarily determines the rate of SMA complications development.

During the calculation, the volumes of medical and social services were performed based on state programs that did not include certain expenses carried by the patients' families. Presently, these data are not available for analysis and require additional study.

9. Gillingwater T.H., et al. Counting the cost of spinal muscular atrophy. *J Med Econ*. 2016; 19 (8): 827–8.10. Droegge M., et al. Economic burden of spinal muscular atrophy in the United States: a contemporary assessment. *J Med Econ*. 2020; 23 (1): 70–79.
11. Armstrong E.P., et al. The economic burden of spinal muscular atrophy. *J Med Econ*. 2016; 19 (8): 822–6.
12. Приказ Минздрава РФ от 29.12.2012 № 1741н «Об утверждении стандарта первичной медико-санитарной помощи детям при спинальных мышечных атрофиях».
13. Генеральное тарифное соглашение ОМС Санкт-Петербурга, 2020 г. [Электронный ресурс] URL: <https://spboms.ru/page/docs>. Дата обращения: 20.07.2020.
14. Государственный реестр предельных отпускных цен на лекарственные средства. [Электронный ресурс]. URL: <http://grls.rosminzdrav.ru/>. Дата обращения: 20.07.2020.
15. Единая информационная система в сфере закупок. [Электронный ресурс] URL: <https://zakupki.gov.ru/epz/main/public/home.html>. Дата обращения: 20.07.2020.
16. Справочная о наличии лекарств в аптеках Москвы. [Электронный ресурс] URL: <https://www.medlux.ru/compare?ids=46220>. Дата обращения: 20.07.2020.
17. Постановление Правительства РФ от 07.12.2019 N 1610 «О Программе государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи на 2020 год и на плановый период 2021 и 2022 годов».

18. Федеральный фонд обязательного медицинского страхования. Министерство здравоохранения Российской Федерации. Методические рекомендации по способам оплаты медицинской помощи за счет средств обязательного медицинского страхования. Москва, 2019 г.
19. Лабораторная служба Хеликс. [Электронный ресурс] URL: <https://helix.ru/kb/item/42-079>. Дата обращения: 20.07.2020.
20. Городская многопрофильная больница №2, прейскурант услуг. [Электронный ресурс] URL: <http://gmpb2.ru/platnye-uslugi/prejskuranty-uslug>. Дата обращения: 20.07.2020.
21. ФГБУЗ Санкт-Петербургская клиническая больница Российской Академии наук. [Электронный ресурс] URL: <https://poliran.ru/kliniko-diagnosticheskaja-laboratorija/>. Дата обращения: 20.07.2020.
22. СПб ГБУЗ «Городская Покровская больница» [Электронный ресурс] URL: http://www.pokrov.spb.ru/assortiment/medic/laboratory/list_1.html. Дата обращения: 20.07.2020.
23. ГБУЗ г. Москвы Детская городская клиническая больница имени Н.Ф. Филатова ДЗМ. Электронный ресурс. [Электронный ресурс] URL: <https://filatovmos.ru/plat/pricelist.html>. Дата обращения: 20.07.2020.
24. СПб ГКУЗ Медико-генетический центр. [Электронный ресурс] URL: <https://www.spbmgc.ru>. Дата обращения: 20.07.2020.
25. СПб ГБУЗ «Госпиталь для ветеранов войн» [Электронный ресурс] URL: <http://gvv-spб.ru/preyskurant-na-mrt>. Дата обращения: 20.07.2020.
26. Федеральное государственное бюджетное учреждение «Российский реабилитационный центр «Детство» [Электронный ресурс] URL: <http://rrcdetstvo.ru/Files/%D0%BF%D1%80%D0%B5%D0%B9%D1%81%D0%BA%D1%83%D1%80%D0%B0%D0%BD%D1%82%20%D1%86%D0%B5%D0%BD.pdf>. Дата обращения: 20.07.2020.
27. СПб ГБУЗ «Психоневрологический диспансер №8» [Электронный ресурс] URL: <http://pnd8.spb.ru/platnye-uslugi.html>. Дата обращения: 20.07.2020.
28. ФГБУ РосНИИГТ ФМБА России. [Электронный ресурс] URL: <http://www.bloodscience.ru/patient/price/>. Дата обращения: 20.07.2020.
29. Darbà J. Management and current status of spinal muscular atrophy: a retrospective multicentre claims database analysis. *Orphanet J Rare Dis.* 2020; 15 (1): 8.
30. ООО «Медприбор медицинская техника». Прейскурант. [Электронный ресурс] URL: <https://medpribor.pro/pc/crap-bipar-terapiya-i-respiratornaya-podderzhka/crap-bipar-pribory/ustrojstvo-ventilyatsii-legkih/>. Дата обращения: 20.07.2020.
31. ООО «ЭнБиСи». Прейскурант. [Электронный ресурс] URL: https://www.oxy2.ru/catalog/apparaty_dlya_otvedeniya_mokrotы/. Дата обращения: 20.07.2020.
32. Федеральный закон от 15.12.2001 N 166-ФЗ (ред. от 01.10.2019) «О государственном пенсионном обеспечении в Российской Федерации»
33. Указ Президента РФ от 7 марта 2019 г. N 95 «О внесении изменения в Указ Президента Российской Федерации от 26 февраля 2013 г. N 175 «О ежемесячных выплатах лицам, осуществляющим уход за детьми-инвалидами и инвалидами с детства I группы».
34. Приказ от 31 января 2011 г. N 57н «Об утверждении порядка выплаты компенсации за самостоятельно приобретенное инвалидом техническое средство реабилитации и (или) оказанную услугу, включая порядок определения ее размера и порядок информирования граждан о размере указанной компенсации».
35. Распоряжение Правительства Российской Федерации от 30 декабря 2005 г. № 2347-р «Об утверждении классификации технических средств реабилитации (изделий) в рамках федерального перечня реабилитационных мероприятий, технических средств реабилитации и услуг, предоставляемых инвалиду».
36. Приказ Министерства труда и социальной защиты РФ от 13 февраля 2018 г. N 85н «Об утверждении сроков пользования техническими средствами реабилитации, протезами и протезно-ортопедическими изделиями до их замены».
37. WHO. The global burden of disease: 2004 update: Geneva: World Health Organization; 2008 2008; 146 p.
38. IHME. The Global Burden of Disease: Generating Evidence, Guiding Policy. Seattle: Institute for Health Metrics and Evaluation; 2013. 50 p.
39. Daems R., Maes E., Mehra M., Carroll B., Thomas A. Pharmaceutical portfolio management: global disease burden and corporate performance metrics. *Value Health.* 2014; 17 (6): 732–8.
40. Klug C., et al. Disease Burden of Spinal Muscular Atrophy in Germany. *Orphanet J Rare Dis.* 2016; 11 (1): 58. <https://doi.org/10.1186/s13023-016-0424-0>.
41. Авксентьева М.В. и соавт. Экономическая целесообразность длительной искусственной вентиляции легких в домашних условиях при оказании паллиативной медицинской помощи детям. Паллиативная медицина и реабилитация. 2016; 2: 40–49.
42. Распоряжение Правительства Санкт-Петербурга от 28 августа 2019 года N 31-рп «Об утверждении программы Санкт-Петербурга «Развитие системы паллиативной медицинской помощи на 2019–2024 годы».
43. Закон Санкт-Петербурга «О Территориальной программе государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи в Санкт-Петербурге на 2019 год и на плановый период 2020 и 2021 годов».

REFERENCES:

1. Vlodayets D.V., Kharlamov D.A., Artemyeva S.B., Belousova E.D. Federal clinical guidelines (protocols) for the diagnosis and treatment of spinal muscular atrophy in children. [Electronic resource] URL: http://ulgb3.ru/doc/211218_10-58.pdf. Accessed: 20.07.2020. (in Russ).
2. Sokolova M.G., Alexandrov N.Yu., Lobzin S.V. Spinal muscular atrophy in children: etiology, pathogenesis, diagnosis and treatment principles. *Bulletin of the North-Western State Medical University named after I.I. Mechnikov.* 2013; 5 (4): 108–113 (in Russ).
3. Mercuri E., et al. Diagnosis and management of spinal muscular atrophy: Part 1: Recommendations for diagnosis, rehabilitation, orthopedic and nutritional care. *Neuromuscul Disord.* 2018; 28 (2): 103–115.
4. Finkel R.S., et al. Diagnosis and management of spinal muscular atrophy: Part 2: Pulmonary and acute care; medications, supplements and immunizations; other organ systems; and ethics. *Neuromuscul Disord.* 2018; 28 (3): 197–207.
5. Lally C., et al. Indirect estimation of the prevalence of spinal muscular atrophy Type I, II, and III in the United States. *Orphanet J Rare Dis.* 2017; 12 (1): 175.
6. Oskoui M., et al. The changing natural history of spinal muscular atrophy type 1. *Neurology.* 2007; 69 (20): 1931–6.
7. Mannaa M.M., et al. Survival probabilities of patients with childhood spinal muscle atrophy. *J Clin Neuromuscul Dis.* 2009; 10 (3): 85–9.
8. Chung B.H., et al. Spinal muscular atrophy: survival pattern and functional status. *Pediatrics.* 2004; 114: e548–e553.
9. Gillingswater T.H., et al. Counting the cost of spinal muscular atrophy. *J Med Econ.* 2016; 19 (8): 827–8.
10. Droegge M., et al. Economic burden of spinal muscular atrophy in the United States: a contemporary assessment. *J Med Econ.* 2020; 23 (1): 70–79.
11. Armstrong E.P., et al. The economic burden of spinal muscular atrophy. *J Med Econ.* 2016; 19 (8): 822–6.

12. Order of the Ministry of Health of the Russian Federation of December 29, 2012 No. 1741n "On the approval of the standard of primary health care for children with spinal muscular atrophies" (in Russ).
13. General Tariff Agreement for OMS of St. Petersburg, 2020 [Electronic resource] URL: <https://spboms.ru/page/docs>. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
14. State register of maximum selling prices for medicines. [Electronic resource]. URL: <http://grls.rosminzdrav.ru/>. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
15. Unified information system in the field of procurement. [Electronic resource] URL: <https://zakupki.gov.ru/epz/main/public/home.html>. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
16. Information about the availability of drugs in pharmacies in Moscow. [Electronic resource] URL: <https://www.medlux.ru/compare?ids=46220>. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
17. Decree of the Government of the Russian Federation of December 7, 2019 N 1610 "On the Program of State Guarantees of Free Provision of Medical Care to Citizens for 2020 and for the Planning Period of 2021 and 2022" Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
18. Federal Fund of Compulsory Health Insurance. Ministry of Health of the Russian Federation. Methodical recommendations on methods of payment for medical care at the expense of compulsory medical insurance. Moscow, 2019 (in Russ).
19. Laboratory service Helix. [Electronic resource] URL: <https://helix.ru/kb/item/42-079>. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
20. City multidisciplinary hospital No. 2, price list of services. [Electronic resource] URL: <http://gmpb2.ru/platnye-uslugi/prejskuranty-uslug>. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
21. St. Petersburg Clinical Hospital of the Russian Academy of Sciences. [Electronic resource] URL: <https://poliran.ru/kliniko-dagnosticheskaja-laboratorija/>. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
22. St. Petersburg City Pokrovskaya Hospital [Electronic resource] URL: http://www.pokrov.spb.ru/assortiment/medic/laboratory/list_1.html. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
23. Moscow Children's City Clinical Hospital named after N.F. Filatov DZM. Electronic resource. [Electronic resource] URL: <https://filatovmos.ru/plat/pricelist.html>. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
24. Medical Genetic Center. [Electronic resource] URL: <https://www.spbmgc.ru>. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
25. Hospital for war veterans [Electronic resource] URL: <http://gvv-spb.ru/preyskurant-na-mrt>. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
26. Federal State Budgetary Institution "Russian Rehabilitation Center" Childhood "[Electronic resource] URL: <http://rrcdetstvo.ru/Files/%D0%BF%D1%80%D0%B5%D0%B9%D1%81% D0% BA% D1% 83% D1% 80% D0% B0% D0% BD% D1% 82% 20% D1% 86% D0% B5% D0% BD.pdf>. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
27. Psychoneurological dispensary №8 [Electronic resource] URL: <http://pnd8.spb.ru/platnye-uslugi.html>. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
28. FSBI RosNIIGT FMBA of Russia. [Electronic resource] URL: <http://www.bloodscience.ru/patient/price/>. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
29. Darbà J. Management and current status of spinal muscular atrophy: a retrospective multicentre claims database analysis. *Orphanet J Rare Dis.* 2020; 15 (1): 8.
30. LLC "Medpribor medical equipment". Price-list. [Electronic resource] URL: <https://medpribor.pro/pc/cpap-bipap-terapiya-i-respiratornaya-podderzhka/cpap-bipap-pribory/ustrojstvo-ventilyatsii-legkih/>. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
31. LLC "NBC". Price-list. [Electronic resource] URL: https://www.oxy2.ru/catalog/apparaty_dlya_otvedeniya_mokroty/. Accessed: 20.07.2020 (in Russ).
32. Federal Law of 15.12.2001 N 166-FZ (as amended on 01.10.2019) "On state pension provision in the Russian Federation" (in Russ).
33. Decree of the President of the Russian Federation of March 7, 2019 N 95 "On amendments to the Decree of the President of the Russian Federation of February 26, 2013 N 175" On monthly payments to persons caring for children with disabilities and persons with disabilities from childhood of group I" (in Russ).
34. Order of January 31, 2011 N 57n "On approval of the procedure for payment of compensation for independently acquired by a disabled person technical means of rehabilitation and (or) the service provided, including the procedure for determining its size and the procedure for informing citizens about the amount of this compensation" (in Russ).
35. Order of the Government of the Russian Federation of December 30, 2005 No. 2347-r "On approval of the classification of technical means of rehabilitation (products) within the federal list of rehabilitation measures, technical means of rehabilitation and services provided to a disabled person" (in Russ).
36. Order of the Ministry of Labor and Social Protection of the Russian Federation of February 13, 2018 N 85n "On approval of the terms of use of technical means of rehabilitation, prostheses and prosthetic and orthopedic devices before their replacement" (in Russ).
37. WHO. The global burden of disease: 2004 update: Geneva: World Health Organization; 2008 2008; 146 p.
38. IHME. The Global Burden of Disease: Generating Evidence, Guiding Policy. Seattle: Institute for Health Metrics and Evaluation; 2013. 50 p.
39. Daems R., Maes E., Mehra M., Carroll B., Thomas A. Pharmaceutical portfolio management: global disease burden and corporate performance metrics. *Value Health.* 2014; 17 (6): 732–8.
40. Klug C., et al. Disease Burden of Spinal Muscular Atrophy in Germany. *Orphanet J Rare Dis.* 2016; 11 (1): 58. <https://doi.org/10.1186/s13023-016-0424-0>.
41. Avksentieva M.V. et al. Economic feasibility of long-term artificial lung ventilation at home in the provision of palliative care for children. *Palliative medicine and rehabilitation.* 2016; 2: 40–49 (in Russ).
42. Order of the Government of St. Petersburg dated August 28, 2019 N 31-rp "On approval of the St. Petersburg program" Development of the palliative care system for 2019-2024" (in Russ).
43. Law of St. Petersburg "On the Territorial program of state guarantees for free provision of medical care to citizens in St. Petersburg for 2019 and for the planning period of 2020 and 2021" (in Russ).

Сведения об авторах:

Колбин Алексей Сергеевич – д.м.н., профессор, заведующий кафедрой клинической фармакологии и доказательной медицины, Первый Санкт-Петербургский государственный медицинский университет им. академика И.П. Павлова; профессор кафедры фармакологии медицинского факультета Санкт-Петербургского государственного университета; президент Санкт-Петербургского отделения ISPOR (международное общество фармакоэкономических исследований и научного анализа исходов). ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0002-1919-2909>. E-mail: alex.kolbin@mail.ru

Влодавец Дмитрий Владимирович – к.м.н., руководитель Детского научно-практического центра нервно-мышечной патологии; старший научный сотрудник отдела психоневрологии и эпилептологии ОСП «Научно-исследовательский клинический институт педиатрии им. акад. Ю.Е. Вельтищева»; доцент кафедры неврологии, нейрохирургии и медицинской генетики имени академика Л.О. Бадаляна педиатрического факультета ФГАОУ ВО «РНИМУ имени Н.И. Пирогова» Минздрава России. ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0003-2635-2752>.

Курьлев Алексей Александрович – к.м.н., ассистент кафедры клинической фармакологии и доказательной медицины, Первый Санкт-Петербургский государственный медицинский университет им. акад. И.П. Павлова. ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0003-3031-4572>.

Балыкина Юлия Ефимовна – к.ф.-м.н., доцент кафедры математического моделирования энергетических систем, факультет Прикладной математики – процессов управления, Санкт-Петербургский государственный университет. ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0003-2143-0440>.

Проскурин Максим Александрович – специалист кафедры математического моделирования энергетических систем, факультет прикладной математики – процессов управления, Санкт-Петербургский государственный университет. ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0002-9468-0953>.

Мишинова Софья Андреевна – ассистент кафедры клинической фармакологии и доказательной медицины, Первый Санкт-Петербургский государственный медицинский университет им. акад. И.П. Павлова. ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0002-9692-2370>.

Германенко Ольга Юрьевна – учредитель и директор Благотворительного фонда помощи больным спинальной мышечной атрофией и другими нервно-мышечными заболеваниями «Семья СМА», член Ассамблеи Европейской Ассоциации «СМА Европа»; член Экспертного совета по редким (орфанным) заболеваниям Комитета по охране здоровья ГД РФ.

Колбина Наталья Юрьевна – заведующая отделением педиатрии и медицинской реабилитации для детей №1, Национальный медицинский исследовательский центр им. В.А. Алмазова. ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0002-6594-3005>.

About the authors:

Aleksei S. Kolbin – MD, Dr Sci Med, Professor, Head of the Department of Clinical Pharmacology and Evidence-based Medicine, Pavlov State Medical University; Professor, Department of Pharmacology, Saint-Petersburg State University; President of the St. Petersburg branch of ISPOR (International Society for Pharmacoeconomic Research and Scientific Analysis of Outcomes). ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0002-1919-2909>. E-mail: alex.kolbin@mail.ru

Dmitry V. Vlodayets – MD, PhD, Head of the Russian Children's Neuromuscular Center; Senior Researcher, Department of Psychoneurology and Epileptology, Scientific Research Clinical Institute of Pediatrics named after Acad. Yu.E. Veltishev; Associate Professor of the Department of Neurology, Neurosurgery and Medical Genetics named after academician L.O. Badalyan Faculty of Pediatrics, Pirogov Russian National Research Medical University. ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0003-2635-2752>.

Aleksey A. Kurylev – MD, PhD, Assistant at the Department of Clinical Pharmacology and Evidence-based Medicine, First Pavlov State Medical University. ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0003-3031-4572>.

Yuliya E. Balykina – PhD (Physics & Math), Associate Professor, Department of Mathematical Modeling of Energy Systems, Faculty of Applied Mathematics and Control Processes, St. Petersburg State University. ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0003-2143-0440>.

Maxim A. Proskurin – Researcher, Department of Mathematical Modeling of Energy Systems, Faculty of Applied Mathematics and Control Processes, St. Petersburg State University. ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0002-9468-0953>.

Sofya A. Mishinova – Assistant at the Department of Clinical Pharmacology and Evidence-based Medicine, First Pavlov State Medical University. ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0002-9692-2370>.

Olga Y. Germanenko – Founder and director of the SMA Family Charitable Foundation for Patients with Spinal Muscular Atrophy and Other Neuromuscular Diseases, member of the Assembly of the European Association "SMA Europe", member of the Expert Council on Rare (Orphan) Diseases of the Health Protection Committee of the State Duma of the Federal Assembly of the Russian Federation.

Natalia Yu. Kolbina – Head of the department of pediatrics and medical rehabilitation for children №1, National Medical research center named after V.A. Almazov. ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0002-6594-3005>.