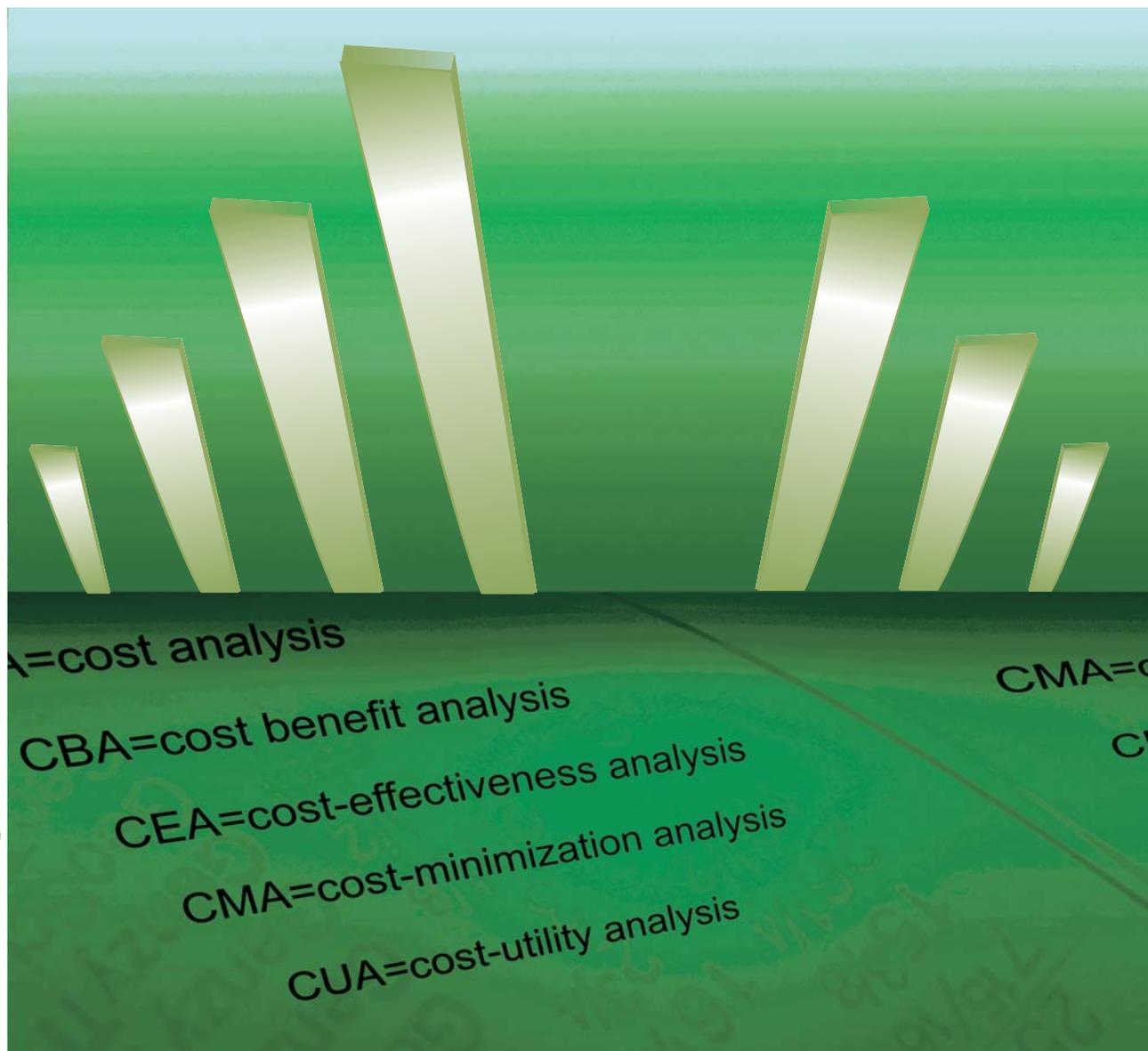


# Фармакоэкономика

современная фармакоэкономика и фармакоэпидемиология

www.pharmacoeconomics.ru



- Анализ методологических особенностей исследований по изучению социально-экономического бремени заболеваний в РФ в рамках разработки стандартной методики анализа стоимости болезни для использования при оценке технологий здравоохранения
- Фармакоэкономический анализ применения оксалиплатина в химиотерапии колоректального рака. Данные реальной клинической практики

№3

Том

2014

# Оценка необходимых финансовых затрат на лекарственное обеспечение больных с редкими заболеваниями в РФ

Сура М.В.<sup>1</sup>, Герасимова К.В.<sup>1</sup>, Омеляновский В.В.<sup>1,2</sup>, Авксентьева М.В.<sup>1,2</sup>

<sup>1</sup>ФГБОУ ВПО «Российская академия народного хозяйства и государственной службы при Президенте Российской Федерации», Москва

<sup>2</sup>Научно-исследовательский финансовый институт Министерства финансов Российской Федерации, Москва

**Резюме:** в статье представлены результаты расчета необходимых финансовых затрат на лекарственное обеспечение больных с редкими заболеваниями, включенными в перечень редких заболеваний (24 заболевания) Постановлением Правительства РФ от 26 апреля 2012 г. № 403. Расчет проводился на основании данных о количестве зарегистрированных пациентов с редкими заболеваниями (РЗ) в 83 субъектах РФ в 2013 г. и средневзвешенных затратах на их лекарственную терапию. Данные о количестве зарегистрированных больных с РЗ были получены в результате официального запроса Экспертного совета по здравоохранению комитета Совета Федерации по социальной политике, направленного в органы управления здравоохранением 83 субъектов РФ. Расчет средневзвешенных затрат на лекарственную терапию (или специализированные продукты лечебного питания) больных с РЗ проводился на основании стандартов медицинской помощи и экспертных оценок. В рамках анализа стандартов осуществлялся поиск препаратов патогенетической терапии, а при их отсутствии – препаратов симптоматической терапии больных с РЗ, критически влияющих на их выживаемость. По выбранному перечню препаратов анализировались данные о сроках, частотах их назначения, средних суточных и средних курсовых дозах. При отсутствии стандартов медицинской помощи, а также для уточнения вопросов лекарственной терапии пациентов с РЗ проводились консультации с экспертами. В результате проведенных расчетов общие средневзвешенные затраты на фармакотерапию 24 редких заболеваний составили 15,73 млрд руб. в год (6,36 млрд руб. на детей и 9,37 млрд руб. на взрослых) на 11 173 зарегистрированных больных, что в 3,3 раза превышает текущие объемы финансирования. Наиболее дорогостоящей в расчете на одного больного в год оказалась патогенетическая фармакотерапия мукополисахаридоза VI и II типов: средневзвешенные затраты на одного ребенка с мукополисахаридозом VI типа составили 40,90 млн руб., на одного взрослого – 71,50 млн руб.; мукополисахаридозом II типа – 29,60 млн руб. и 51,83 млн руб. соответственно. Для повышения эффективности работы системы лекарственного обеспечения больных с РЗ и оптимизации государственных расходов на эту группу пациентов необходимо: утвердить полный набор финансово сбалансированных и научно обоснованных стандартов медицинской помощи, законодательно определить статус орфанных препаратов и осуществлять государственное регулирование цен,

обеспечить увеличение регионального финансирования с привлечением средств федерального бюджета, утвердить перечень орфанных препаратов, выработать механизмы государственного стимулирования фармацевтических компаний снижать цены на орфанные препараты.

**Ключевые слова:** редкие (орфанные) заболевания, лекарственные препараты, лекарственное обеспечение, стандарты медицинской помощи, средневзвешенные затраты.

В последнее время редкие (орфанные) заболевания, их эпидемиология, диагностика, лечение, объемы финансирования в РФ все чаще становятся темой обсуждения в различных экспертных структурах, государственных и частных организациях. В отличие от экономически развитых стран для России эта тема относительно новая. Впервые вопрос о важности регламентации вопросов, связанных с редкими заболеваниями и препаратами для их лечения, поднял в 2006 г. Форумный комитет Российской академии медицинских наук, который разработал и опубликовал собственный перечень редко применяемых медицинских технологий, ставший первым перечнем орфанных препаратов в истории отечественной системы здравоохранения [7]. И лишь через пять лет в российском законодательстве, а именно в статье 44 Федерального закона РФ № 323-ФЗ от 21 ноября 2011 г. «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации», определится статус редкого заболевания, появятся требования к формированию регистров пациентов и перечня редких заболеваний [9]. В 2012 г. вышло Постановление Правительства РФ № 403 от 26 апреля 2012 г., в котором детализирован порядок ведения федерального и региональных регистров лиц, страдающих жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями, а также опубликован перечень 24 редких заболеваний (далее – «перечень 24») [3]. В настоящее время продолжает обсуждаться вопрос о необходимости расширения этого перечня.

Согласно 323-ФЗ в России редкие (орфанные) заболевания определяются как заболевания, имеющие распространенность не более 10 случаев заболевания на 100 тыс. населения. Для сравнения: в Европе редкими болезнями считаются жизнеугрожающие заболевания или состояния с распространенностью пять случаев на 10 тыс. населения или менее [11]. По разным оценкам в России насчитывается от 300 тыс. до 5 млн человек, страдающих редкими бо-

лезнями [2]. Отсутствие более точных сведений связано с тем, что само понятие орфанного заболевания введено совсем недавно.

Следует отметить, что хотя количество пациентов с отдельно взятым редким заболеванием является крайне низким, самих редких заболеваний в мире насчитывается множество, что обуславливает высокое общее количество пациентов, страдающих этими заболеваниями. Согласно данным Европейской организации по редким заболеваниям (EURORDIS), существует от 5 до 7 тыс. различных редких заболеваний и в общей сложности ими страдает 6-8% жителей Евросоюза [12]. Преамбулой известного европейского портала по редким болезням – Орфанет ([www.orpha.net](http://www.orpha.net)) служит фраза: «Редкие болезни являются редкими, но пациентов с редкими заболеваниями множество» («Rare diseases are rare, but rare disease patients are numerous»). Стремительное развитие медицинской науки, появление новых методов диагностики дают основание полагать, что со временем количество редких заболеваний и, соответственно, страдающих ими пациентов будет только увеличиваться.

Понятие орфанного («сиротского») препарата пока отсутствует в российском законодательстве, однако, вероятнее всего, будет официально утверждено в ближайшее время. На сегодняшний день уже разработаны поправки в Федеральный закон «Об обращении лекарственных средств», предлагающие следующее определение: «Орфанные лекарственные препараты – лекарственные препараты, предназначенные для патогенетического лечения (лечения, направленного на механизм развития заболевания) редких (орфанных) заболеваний» [6].

Лекарственное обеспечение пациентов с редкими заболеваниями сопряжено со значительными финансовыми затратами государства, обусловленными в первую очередь высокой стоимостью самих орфанных препаратов, которая объясняется существенными финансовыми вложениями в их разработку и производство при одновременно низких объемах продаж из-за малой численности целевой группы больных. Лекарственное средство для пациента с орфанным заболеванием стоит в РФ от 100 тыс. до 1 млн рублей в месяц, а стоимость годового курса лечения составляет уже миллионы и десятки миллионов рублей. Это общая для всех стран закономерность: затраты на лечение орфанных заболеваний в целом высоки, но при этом различаются в несколько раз в зависимости от заболеваний и препаратов. Например, в Бельгии в 2008 г. государственные затраты на одного пациента варьировали от 6 тыс. евро (лечение гастроинтестинальных стромальных опухолей) до 312 тыс. евро (лечение мукополисахаридоза типа I) [13]. Согласно результатам ретроспективного перекрестного исследования 38 орфанных препаратов, закупленных в 2007 г. в пяти странах Европы (Франция, Германия, Италия, Испания и Великобритания), доля затрат на эти препараты составила в среднем 1,7% от общего бюджета на лекарственное обеспечение в этих странах [14]. В Докладе по выписанным лекарствам (Arzneiverordnungsreport), сделанном в 2009 г. в Германии, было озвучено, что доля орфанных препаратов составила 2,5% от всех затрат на лекарственные препараты системы обязательного медицинского страхования [16]. Согласно прогнозу английских исследователей, до 2020 г. затраты на терапию орфанными препаратами в странах Евросоюза и Великобритании могут варьировать в широком диапазоне: от 1251 до 407 631 евро со средними значениями затрат в 32 242 евро на одного пациента в год. При этом доля рынка орфанных препаратов в странах Евросоюза и Великобритании будет увеличиваться от 3,3% в 2010 г. до пиковых значений в 4,6% в 2016 г., после чего ситуация должна стабилизироваться на уровне 4-5% вплоть до 2020 г. Однако это не означает, что расходы на орфанные препараты не будут расти, а лишь свидетельствует о том, что затраты на эти препараты будут нивелироваться общим ростом расходов фармацевтического сектора [15].

В России согласно Федеральному закону РФ № 323-ФЗ от 21

ноября 2011 г. (часть 9, статья 83) и Постановлению Правительства РФ от 18 октября 2013 г. № 932 финансирование лекарственного обеспечения лиц, страдающих заболеваниями из «перечня 24», осуществляется за счет средств бюджетных ассигнований бюджетов субъектов РФ [4,9]. Однако некоторые регионы до сих пор не начали финансирование пациентов по «перечню 24» (например, республика Дагестан), тогда как затраты других уже в 2013 г. превысили 500 млн руб. в год (например, Санкт-Петербург). Значительные региональные различия в объемах финансирования пациентов с редкими заболеваниями ставят этих пациентов в неравные условия доступа к медицинской помощи на всей территории РФ. Кроме этого, на сегодняшний день отсутствуют научно-обоснованные данные об объеме финансовых средств, необходимых для адекватного лекарственного обеспечения больных с редкими заболеваниями. Все это обуславливает необходимость проведения исследований, направленных на изучение сложившейся ситуации с финансированием редких заболеваний в РФ [8] и прогнозирования объемов необходимых затрат для обеспечения эффективной фармакотерапии пациентов с редкими заболеваниями.

**Цель исследования** – определить объем необходимых финансовых затрат на лекарственное обеспечение больных с редкими заболеваниями в РФ.

## Материалы и методы

Данное исследование включало пять этапов. На первом этапе проводился анализ количества больных с редкими заболеваниями в РФ в 2013 г. Источником информации послужили данные региональных регистров больных с орфанными заболеваниями, которые были получены в результате официального запроса Экспертного совета по здравоохранению комитета Совета Федерации по социальной политике, направленного в органы управления здравоохранением 83 субъектов РФ. Запрос касался лекарственного обеспечения больных с 24 редкими заболеваниями, включенными в Постановление Правительства РФ от 26 апреля 2012 г. № 403.

На втором этапе проводился поиск и анализ стандартов (проектов стандартов) медицинской помощи по редким заболеваниям, включенным в Постановление Правительства РФ от 26 апреля 2012 г. № 403.

Стандарты медицинской помощи в настоящее время являются единственными официально утвержденными нормативными документами, на основании которых, среди прочего, может быть проведена экономическая оценка стоимости ведения пациентов с определенной нозологией.

Поиск стандартов стационарной и амбулаторной медицинской помощи для взрослых и детей по 24 редким заболеваниям проводился в следующих базах данных:

- Банк документов официального сайта Министерства здравоохранения РФ [<http://www.rosminzdrav.ru>];
- Сайт компании «Консультант Плюс» [<http://www.consultant.ru>].

Ключевые слова поиска: стандарт медицинской помощи; названия 24 редких заболеваний, включенных в Постановление Правительства РФ от 26 апреля 2012 г. № 403 (гемолитико-уремический синдром; пароксизмальная ночная гемоглобинурия и т.д.).

В рамках анализа стандартов медицинской помощи проводился поиск препаратов патогенетической терапии пациентов с редкими заболеваниями. По ряду заболеваний средствами патогенетической терапии были специализированные продукты лечебного питания. При отсутствии средств патогенетической терапии определялись основные препараты симптоматической терапии, критически влияющие на выживаемость пациентов. По выбранному перечню препаратов анализировались данные о сроках, частотах их назначения, средних суточных и средних курсовых дозах.

На третьем этапе осуществлялась экспертная оценка фармакотерапии 24 редких заболеваний, включенных в Постановление Правительства РФ от 26 апреля 2012 г. № 403.

Отсутствие стандартов (или утвержденных стандартов) медицинской помощи, а также необходимость уточнения вопросов лекарственной терапии пациентов с редкими заболеваниями обусловили проведение консультаций с экспертами-специалистами в области гематологии, неврологии, генетики, кардиологии, эндокринологии. Всего к участию в исследовании было привлечено 8 экспертов. По итогам консультаций с экспертами был составлен перечень лекарственных препаратов (продуктов лечебного питания) патогенетической (или, при отсутствии таковой, симптоматической) терапии 24 редких заболеваний, уточнены сроки и частота назначения препаратов, средние суточные и курсовые дозы.

На четвертом этапе рассчитывались средневзвешенные затраты на фармакотерапию больного с редким заболеванием в течение года.

На основании стандартов медицинской помощи и экспертных заключений о частоте назначения препаратов, средних суточных и средних курсовых дозах, а также на основании данных о стоимости лекарственных препаратов рассчитывались средневзвешенные затраты на фармакотерапию больного (взрослого и/или ребенка) по каждому из 24 редких заболеваний в течение года. При расчете затрат на лекарственную терапию учитывалась стоимость патогенетической или, при ее отсутствии, симптоматической фармакотерапии. Выбор средств симптоматического лечения при отсутствии патогенетической терапии для включения в расчеты был обусловлен, наряду с жизненной важностью препаратов (см. этап 1), их высокой стоимостью, которая определяла общие затраты на лекарственную терапию.

Расчет средневзвешенных затрат проводился по следующей формуле:

$$C \text{ 1б. в год} = C \text{ упак. мин.} \times N \text{ упак. в год} \times V,$$

где  $C \text{ 1б. в год}$  – средневзвешенные затраты на фармакотерапию одного больного с редким заболеванием в течение года;  $C \text{ упак. мин.}$  – минимальная цена упаковки;  $N \text{ упак. в год}$  – необходимое количество упаковок в год, рассчитанное исходя из среднесуточных и средних курсовых доз;  $V$  – усредненный показатель частоты назначения препарата.

*Примечание.* Усредненный показатель частоты назначения препарата отражает вероятность назначения лекарственного препарата (группы препаратов), включенного(ых) в стандарт медицинской помощи и может принимать значения от 0 до 1, где 1 означает, что данный препарат (группа) назначается 100% пациентов с соответствующим заболеванием, а цифры менее 1 – указанному в стандарте проценту пациентов, имеющих соответствующие медицинские показания.

Частота назначения препарата рассчитывалась, исходя из частоты назначения анатомо-терапевтической-химической группы (АТХ-группы). При этом частоты назначения отдельных лекарственных препаратов в рамках одной АТХ-группы были приняты одинаковыми и рассчитывались путем деления частоты назначения АТХ-группы на число препаратов в группе.

При наличии нескольких лекарственных средств патогенетической или симптоматической терапии в рамках терапии одного редкого заболевания средневзвешенные затраты суммировались.

Расчеты для взрослых и детей проводились отдельно с учетом соответствующих возрасту дозировок лекарственных препаратов.

В связи с тем, что большая часть препаратов патогенетической терапии редких заболеваний не включена в перечень жизненно необходимых и важнейших лекарственных препаратов и, следовательно, регистрация предельных отпускных цен производителей на эти препараты не осуществляется, в качестве источника информации о ценах на лекарственные препараты и продукты лечебного питания использовались данные открытых аукционов на поставку препарата для нужд государственных учреждений здравоохранения за 2013 г., публикуемые на официальном сайте РФ [<http://zakupki.gov.ru>.]; на основании данных этого сайта рассчитывалась минимальная цена за упаковку.

На пятом этапе рассчитывались средневзвешенные затраты на

фармакотерапию больных с редкими заболеваниями, зарегистрированными в РФ в 2013 г.

Расчет проводился по следующей формуле:

$$C \text{ р.з. в год} = C \text{ 1б. в год} \times N \text{ б.},$$

где  $C \text{ р.з. в год}$  – средневзвешенные затраты на фармакотерапию больных (взрослых или детей) с редким заболеванием в течение года (расчет проводился по каждому из 83 субъектов РФ);  $C \text{ 1б. в год}$  – средневзвешенные затраты на фармакотерапию одного больного с редким заболеванием в течение года;  $N \text{ б.}$  – количество больных (взрослых или детей) с редким заболеванием, зарегистрированных в 2013 г.

Расчеты для взрослых и детей проводились отдельно с учетом соответствующих значений средневзвешенных затрат и количества больных. Источником информации о доле детей среди больных, страдающих редкими заболеваниями, послужили результаты исследования Центра изучения и анализа проблем народонаселения, демографии и здравоохранения Института ЕвразЭС, проведенного в 2013 г. в 47 субъектах РФ, в которых проживает 69,7% населения страны [1]. Для расчета средневзвешенных затрат на фармакотерапию всех 24 заболеваний, средневзвешенные затраты по каждому заболеванию для взрослых и детей суммировались.

Дополнительным этапом настоящего исследования было определение размера скидок, которые могли бы предоставить фармацевтические компании в случае 100% обеспечения больных с редкими заболеваниями в РФ необходимыми лекарствами. Для этого была разработана анкета и проведен опрос представителей ряда фармацевтических компаний – производителей редких (орфанных) препаратов. Содержащиеся в анкете вопросы касались производимых компаний препаратов (специализированных продуктов лечебного питания) для лечения редких заболеваний из «перечня 24», текущих отпускных цен производителя на эти препараты (специализированные продукты лечебного питания) и возможного размера скидок, в случае если бы обеспечение пациентов с орфанными заболеваниями составляло 100%. Согласно результатам анкетирования максимальный размер скидок, предложенных фармацевтическими компаниями в случае 100% обеспечения, составил 8%. Полученные данные были использованы для определения возможной величины снижения средневзвешенных затрат в случае обеспечения всех зарегистрированных пациентов.

Все указанные выше расчеты в рамках настоящего исследования проводились в программе Microsoft Excel (Microsoft, США).

## Результаты и их обсуждение

Общее количество больных по 24 редким заболеваниям, зарегистрированным в 83 субъектах РФ в 2013 г., составило 11 173 человека. Распределение больных по каждому из 24 редких заболеваний представлено в таблице 1.

Согласно полученным данным наибольшее количество больных было зарегистрировано с диагнозом нарушение обмена аминокислот (классическая фенилкетонурия) – 3 460 человек (более 30% от всех больных с редкими заболеваниями), наименьшее (11 человек, или 0,1%) – с диагнозом болезнь «кленового сиропа».

В ходе поиска и анализа стандартов (проектов стандартов) медицинской помощи по 24 редким заболеваниям был найден 51 документ, в т.ч. 25 утвержденных приказами Минздрава России и прошедших согласование в Минюсте России. По двум нозологиям (дефект в системе комплемента, нарушения обмена жирных кислот) на момент проведения настоящего исследования не было разработано каких-либо стандартов медицинской помощи (ни приказов, ни проектов приказов). По пяти нозологиям (пароксизмальная ночная гемоглобинурия; наследственный дефицит факторов II (фибриногена), VII (лабильного), X (Стюарта-Прауэра); галактоземия; мукополисахаридоз, тип I; незавершенный остеогенез) не было ни одного утвержденного стандарта медицинской помощи. Только по шести нозологиям были утверждены (приказы

№	Редкое заболевание	Количество больных
1	Нарушения обмена ароматических аминокислот (классическая фенилкетонурия, другие виды гиперфенилаланинемии)	3 460
2	Идиопатическая тромбоцитопеническая пурпура (синдром Эванса)	2 700
3	Юношеский артрит с системным началом	1 080
4	Апластическая анемия неуточненная	685
5	Нарушения обмена меди (болезнь Вильсона)	575
6	Незавершенный остеогенез	522
7	Преждевременная половая зрелость центрального происхождения	507
8	Легочная (артериальная) гипертензия (идиопатическая) (первичная)	391
9	Галактоземия	225
10	Пароксизмальная ночная гемоглобинурия (Маркиафавы-Микели)	215
11	Гемолитико-уремический синдром	179
12	Наследственный дефицит факторов II (фибриногена), VII (лабильного), X (Стюарта-Прауэра)	135
13	Мукополисахаридоз, тип II	81
14	Дефект в системе комплемента	70
15	Острая перемежающаяся (печеночная) порфирия	61
16	Другие сфинголипидозы: болезнь Фабри (Фабри-Андерсона), Нимана-Пика	56
17	Мукополисахаридоз, тип I	56
18	Мукополисахаридоз, тип VI	41
19	Глютарикацидурия	33
20	Нарушения обмена жирных кислот	30
21	Другие виды нарушений обмена аминокислот с разветвленной цепью (изовалериановая ацидемия, метилмалоновая ацидемия, пропионовая ацидемия)	25
22	Тирозинемия	18
23	Гомоцистинурия	17
24	Болезнь «кленового сиропа»	11

**Таблица 1.** Количество больных с 24 редкими заболеваниями, зарегистрированными в 83 субъектах РФ в 2013 г.

Источник данных: ответ на официальный запрос Экспертного совета по здравоохранению комитета Совета Федерации по социальной политике.

Минздрава России) стандарты оказания амбулаторной и стационарной медицинской помощи (для взрослых и/или детей), а именно:

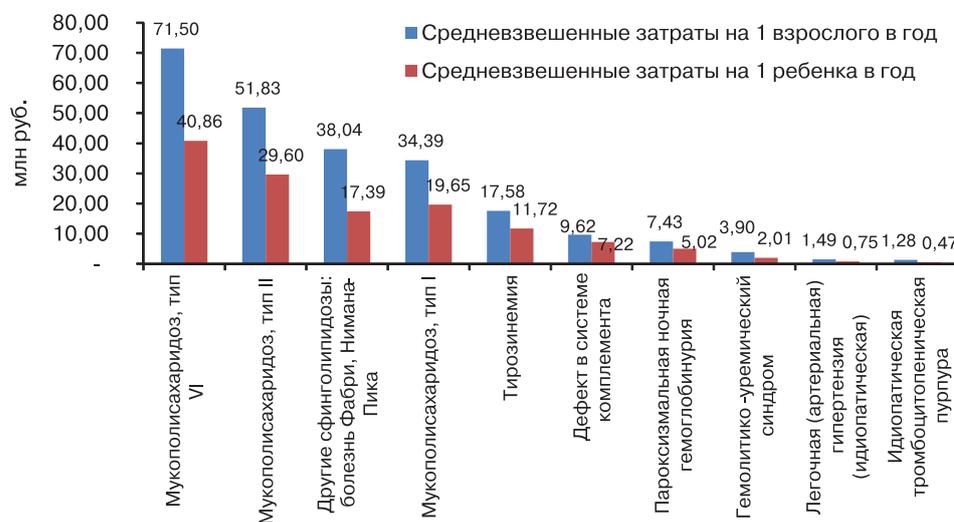
- идиопатическая тромбоцитопеническая пурпура;
- преждевременная половая зрелость центрального происхождения;
- нарушения обмена ароматических аминокислот (классическая фенилкетонурия, другие виды гиперфенилаланинемии);
- другие виды нарушений обмена аминокислот с разветвленной цепью (изовалериановая ацидемия, метилмалоновая ацидемия, пропионовая ацидемия);
- тирозинемия;
- юношеский артрит с системным началом.

Таким образом, существующая ситуация в области стандартиза-

ции медицинской помощи больных с редкими заболеваниями не позволяет рассчитать затраты на оказание лекарственной помощи и оценить экономическое бремя всех 24 редких заболеваний для государства. В силу этих обстоятельств при проведении настоящего исследования потребовались консультации с экспертами по каждому из 24 редких заболеваний.

В таблице 2 представлен согласованный с экспертами перечень основных лекарственных препаратов и продуктов лечебного питания для патогенетической или при отсутствии таковой симптоматической терапии 24 редких заболеваний, на основании которого проводились последующие расчеты необходимых затрат на лекарственную терапию.

На основании согласованных данных о частоте назначения пре-



**Рисунок 1.** Необходимые средневзвешенные затраты на фармакотерапию одного больного (взрослого и ребенка) с редким заболеванием в течение года. Топ 10.

Источник данных: расчеты авторов на основе стандартов (проектов стандартов) медицинской помощи и экспертной оценки.

паратов, средних суточных и средних курсовых дозах, а также данных о стоимости лекарственных препаратов, вошедших в перечень, рассчитывались средневзвешенные затраты на фармакотерапию больного (взрослого и/или ребенка) по каждому из 24 редких заболеваний в течение года. Результаты вычисления средневзвешенных затрат на каждое из 10 наиболее дорогостоящих редких заболеваний в расчете на одного больного в год представлены на рисунке 1.

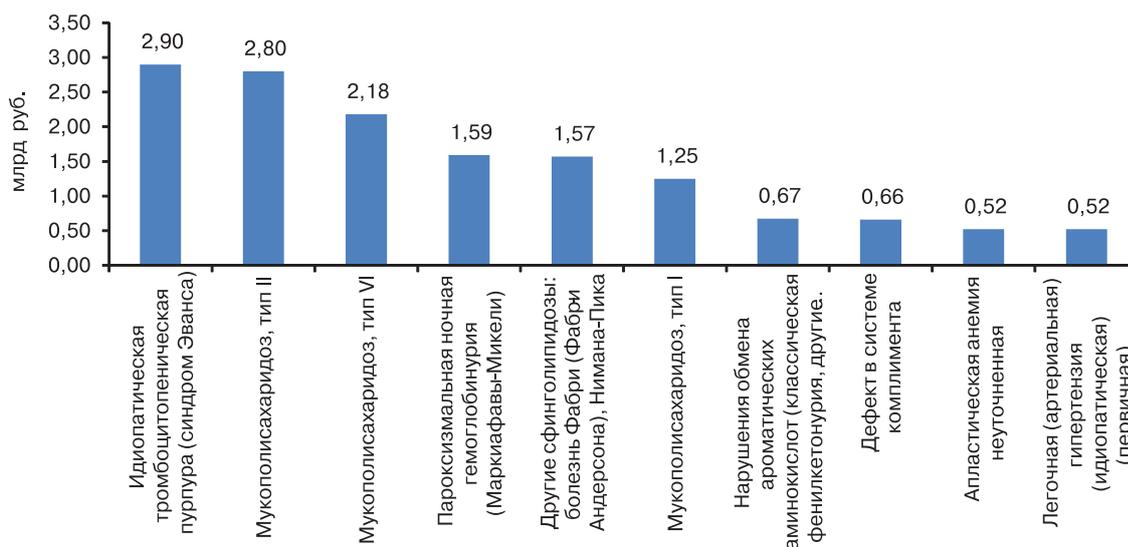
Согласно полученным данным наиболее дорогостоящей как у детей, так и у взрослых была фармакотерапия больных с мукополисахаридозом VI и II типов. Средневзвешенные годовые затра-

ты на одного ребенка с мукополисахаридозом VI типа составили 40,90 млн руб., на одного взрослого – 71,50 млн руб.; с мукополисахаридозом II типа – 29,60 и 51,83 млн руб. соответственно. Третье место по затратам на фармакотерапию одного взрослого занимали болезнь Фабри и Нимана-Пика (38,04 млн руб.), ребенка – мукополисахаридоз I типа (19,65 млн руб.).

На основании данных о годовых средневзвешенных затратах на фармакотерапию больного по каждому из 24 редких заболеваний и количестве пациентов с редкими заболеваниями, зарегистрированных в 2013 г. в 83 субъектах РФ, были рассчитаны общие средневзвешенные затраты, которые составили 15,73 млрд руб. (6,36

№ п/п	Заболевание	Код заболевания по МКБ-10	МНН или заменяющее его название
1	Гемолитико-уремический синдром	D59.3	Экулизумаб
2	Пароксизмальная ночная гемоглобинурия (Маркиафавы-Микели)	D59.5	Экулизумаб
3	Апластическая анемия неуточненная	D61.9	Антитимоцитарный иммуноглобулин
4	Наследственный дефицит факторов II (фибриногена), VII (лабильного), X (Стюарта-Прауэра)	D68.2	Эптаког альфа
5	Идиопатическая тромбоцитопеническая пурпура (синдром Эванса)	D69.3	Ромиплостим Элтромболаг
6	Дефект в системе комплемента	D84.1	Даназол Икатибант
7	Преждевременная половая зрелость центрального происхождения	E22.8	Лейпрорелин Трипторелин
8	Нарушения обмена ароматических аминокислот (классическая фенилкетонурия, другие виды гиперфенилаланиемии)	E70.0, E70.1	Специализированные продукты лечебного питания
9	Тирозинемия	E70.2	Нитизинон
10	Болезнь «кленового сиропа»	E71.0	Специализированные продукты лечебного питания
11	Другие виды нарушений обмена аминокислот с разветвленной цепью (изовалериановая ацидемия, метилмалоновая ацидемия, пропионовая ацидемия)	E71.1	Специализированные продукты лечебного питания
12	Нарушения обмена жирных кислот	E71.3	Левокарнитин
13	Гомоцистинурия	E72.1	Специализированный продукт лечебного питания, лишенный метионина
14	Глютарикацидурия	E72.3	Специализированный продукт лечебного питания лишенный метионина
15	Галактоземия	E74.2	Специализированный продукт лечебного питания без галактозы
16	Другие сфинголипидозы: болезнь Фабри (Фабри-Андерсона), болезнь Нимана-Пика	E75.2	Миглустат Агалсидаза альфа Агалсидаза бета
17	Мукополисахаридоз, тип I	E76.0	Ларонидаза
18	Мукополисахаридоз, тип II	E76.1	Идурсульфаз
19	Мукополисахаридоз, тип VI	E76.2	Галсульфаз
20	Острая перемежающаяся (печеночная) порфирия	E80.2	Гемин
21	Нарушения обмена меди (болезнь Вильсона)	E83.0	Пеницилламин
22	Незавершенный остеогенез	Q78.0	Алендроновая кислота Ибандроновая кислота Остеогенон
23	Легочная (артериальная) гипертензия (идиопатическая) (первичная)	I27.0	Илопрост Бозентан Силденафил
24	Юношеский артрит с системным началом	M08.2	Тоцилизумаб Алендроновая кислота Ибандроновая кислота

Таблица 2. Перечень основных лекарственных препаратов (продуктов лечебного питания) патогенетической (и/или симптоматической) терапии 24 редких заболеваний.



**Рисунок 2.** Необходимые средневзвешенные затраты на фармакотерапию пациентов с редкими заболеваниями, рассчитанные с учетом количества больных, зарегистрированных в РФ в 2013 г. Топ 10.

Источник данных: расчеты авторов на основе стандартов (проектов стандартов) медицинской помощи и экспертной оценки.

млрд руб. на детей и 9,37 млрд руб. на взрослых) на 11 173 зарегистрированных больных.

Результаты расчета средневзвешенных затрат по 10 наиболее затратным заболеваниям представлены на рисунке 2.

Таким образом, с учетом числа больных, зарегистрированных в 2013 г. в РФ, наиболее дорогостоящим заболеванием оказалась идиопатическая тромбоцитопеническая пурпура (синдром Эванса) с объемом средневзвешенных затрат 2,90 млрд руб. (на 2700 больных). Столь высокий уровень затрат связан не столько с дорогостоящей лечением данного заболевания (10-е место при расчетах средневзвешенных затрат на одного больного – 474, 93 тыс. руб. и 1,28 млн руб. на одного ребенка и взрослого соответственно), сколько с большим количеством зарегистрированных больных (2-е место – 2700 человек). Иная ситуация складывалась, например, при мукополисахаридозах II и VI типов, где высокий уровень затрат (2,80 и 2,18 млн руб. соответственно) определялся дорогостоящей фармакотерапией. При небольшом количестве больных (81 и 41 человек для мукополисахаридозов II и VI типов соответственно) стоимость терапии одного пациента в год с мукополисахаридозом II типа составила 29,60 и 51,83 млн руб., с мукополисахаридозом VI типа – 40,86 и 71,50 млн руб. на одного ребенка и взрослого соответственно.

С учетом скидки в 8%, которую готовы предоставить фармацевтические компании-производители редких лекарственных препаратов при условии 100% обеспечения всех пациентов с 24 редкими заболеваниями, полученные значения средневзвешенных затрат могли бы быть сокращены с 15,73 до 14,47 млрд руб. в случае лекарственного обеспечения всех 11 173 зарегистрированных больных в 83 субъектах РФ.

Таким образом, лекарственное обеспечение пациентов с редкими заболеваниями требует значительных финансовых затрат государства, обусловленных, прежде всего, высокой стоимостью орфанных препаратов. Согласно проведенным расчетам для обеспечения больных с редкими заболеваниями из «перечня 24» только основным набором лекарственных препаратов (или специализированными продуктами лечебного питания) расходы региональных бюджетов на эти цели должны быть в сумме увеличены более чем в три раза (до 15,73 млрд руб. в год на 11 173 больных, зарегистрированных в 83 субъектах РФ; согласно опубликованным данным, общие объемы финансирования больных с редкими заболеваниями в РФ в 2013 г. составили 4,43 млрд руб. [8]). Для сравнения – общий объем затрат бюджетов субъектов РФ на лекарственное обеспечение льготных категорий граждан в рамках

постановления Правительства РФ от 30 июля 1994 г. N 890 в 2012 г. составил 36,8 млрд руб. [5].

Настоящее исследование позволило выявить целый комплекс проблем, связанных с реализацией в РФ лекарственного обеспечения больных с редкими заболеваниями, включенными в «перечень 24». В частности, на сегодняшний день для большинства редких заболеваний не разработаны финансово сбалансированные и научно обоснованные стандарты медицинской помощи, что затрудняет планирование затрат системы здравоохранения. Отсутствие большей части дорогостоящих орфанных препаратов в Перечне жизненно необходимых и важнейших лекарственных препаратов делает невозможным осуществление контроля предельных отпускных цен производителя на эти препараты со стороны государства.

Такие меры, как утверждение полного набора финансово сбалансированных и научно обоснованных стандартов медицинской помощи, законодательное определение статуса орфанных препаратов и государственное регулирование цен, разработка и утверждение перечня орфанных препаратов, увеличение регионального финансирования с привлечением средств федерального бюджета, выработка механизмов государственного стимулирования фармацевтических компаний снижать цены на орфанные препараты способствовали бы повышению эффективности работы системы, сгладили бы межрегиональные различия в части финансирования редких заболеваний на всей территории РФ и оптимизировали государственные расходы по оказанию лекарственной помощи больным с редкими заболеваниями.

Отдельно хотелось бы прокомментировать расхождение полученных результатов с данными, приведенными Минздравом РФ на заседании круглого стола «Доступность медицинской помощи и социальной поддержки для пациентов с редкими заболеваниями в России», которое состоялось 27 февраля 2014 г. в Общественной палате РФ и было посвящено Международному дню редких заболеваний [10]. В соответствии с этими данными, по самым оптимистичным подсчетам, на лекарственное обеспечение больных с орфанными заболеваниями необходима сумма как минимум в 26,5 млрд рублей в год. Этот результат существенно отличается от полученного в настоящем исследовании. Расхождение в результатах, по-видимому, связано с тем, что мы включали в расчеты только основные средства патогенетической (или, при их отсутствии, симптоматической) терапии 24 орфанных заболеваний, а кроме того, благодаря помощи экспертов прибегли к большей степени валидации потребности пациентов в лекарственных препаратах и

специализированных продуктах лечебного питания. Так, расчет средневзвешенных затрат в настоящем исследовании проводился с учетом частоты назначения лекарственных препаратов, установленной стандартами медицинской помощи и подтвержденной экспертными заключениями; иными словами, при оценке потребностей и необходимых затрат было учтено, что далеко не все зарегистрированные пациенты нуждаются в дорогостоящей лекарственной терапии. Видимо, именно этим можно объяснить снижение расчетного объема необходимых средств с 26,5 до 15,73 млрд руб.

Тем не менее, число зарегистрированных больных, вероятно, будет постепенно расти в связи с повышением осведомленности врачей и населения о редких заболеваниях и возможностях их лечения, что обуславливает необходимость дополнительного прогнозирования потребности в финансировании лекарственной терапии редких заболеваний с учетом зарубежного опыта.

Очевидно также, что в целях обеспечения адекватного качества медицинской помощи, рационального планирования и распределения расходов на лечение редких заболеваний необходимо разработать клинические рекомендации, ясно устанавливающие критерии диагностики редких болезней, показания к назначению различных лекарственных препаратов патогенетической и симптоматической терапии.

#### Литература:

1. Материалы к заседанию круглого стола на тему «Доступность медицинской помощи и лекарственного обеспечения больных с редкими заболеваниями в РФ». Результаты исследования Центра изучения и анализа проблем народонаселения, демографии и здравоохранения Института ЕвразЭС. Государственная Дума Федерального Собрания Российской Федерации. М. 11 марта 2014 г.
2. Общероссийская общественная организация «Лига защитников пациентов» <http://ligap.ru/articles/zayavleniya/zayavl/>
3. Постановление Правительства РФ от 26 апреля 2012 г. № 403 «О порядке ведения Федерального регистра лиц, страдающих жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями, приводящими к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности, и его регионального сегмента».
4. Постановление Правительства РФ от 18.10.2013 N 932 «О программе государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи на 2014 год и на плановый период 2015 и 2016 годов».
5. Приказ Министерства здравоохранения РФ от 13 февраля 2013 г. № 66 «Об утверждении Стратегии лекарственного обеспечения населения Российской Федерации на период до 2025 года и плана ее реализации».
6. Проект ФЗ «О внесении изменения в Федеральный закон «Об обращении лекарственных средств» и в статью 333.32.1. части второй Налогового кодекса Российской Федерации». <http://www.rosminzdrav.ru/open/discuss/projects/3>.
7. Справочник лекарственных средств Фармулярного комитета. М. 2006; 668 с.
8. Сура М. В., Омеляновский В.В., Авксентьева М.В. и др. Анализ количества и объемов финансирования больных с редкими заболеваниями в РФ. Медицинские технологии. Оценка и выбор. 2014; 3 (17): 43-50.
9. Федеральный закон РФ № 323-ФЗ от 21 ноября 2011 г. «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации».
10. <http://www.pharmvestnik.ru/publs/lenta/v-rossii/elena-maksimkina-dostup-boljnyx-k-orfannym-preparatam-budet-uproschen.html>.
11. European Medicines Agency (EMA): Orphan drugs and rare diseases at a glance. [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/)

document\_library/Other/2010/01/WC500069805.pdf ]. Doc. Ref. EMEA/290072/2007.

12. <http://www.eurordis.org/>.
13. KCE reports 112C. Policies for orphan diseases and orphan drugs. 2009.
14. Orofino J., Soto J., Casado M.A., Oyagüez I. Global spending on orphan drugs in France, Germany, the UK, Italy and Spain during 2007. *Appl Health Econ Health Policy*. 2010; 8 (5): 301-315.
15. Schey C., Milanova T., Hutchings A. Estimating the budget impact of orphan medicines in Europe. 2010-2020. *Orphanet Journal of Rare Diseases*. 2011; 6: 62.
16. Schwabe U., Paffrath D. *Arzneiverordnungsreport*. 2010; <http://www.springer.com/pharma/book/978-3-642-13379-4>

#### References:

1. Materials for the meeting of the round table on the topic «Access to health care and drug supply patients with rare diseases in the Russian Federation.» The results of the research Center for the Study and population analysis, Demographic and Health Institute ЕвразЭС. The State Duma of the Federal Assembly of the Russian Federation [*Materialy k zasedaniyu kruglogo stola na temu «Dostupnost' meditsinskoj pomoshchi i lekarstvennogo obespecheniya bol'nykh s redkimi zabolovaniyami v RF»*]. *Rezultaty issledovaniya Tsentra izucheniya i analiza problem narodonaseleniya, demografii i zdavookhraneniya Instituta ЕвразЭС. Gosudarstvennaya Duma Federal'nogo Sobraniya Rossiiskoi Federatsii*. Moscow. 2014.
2. All-Russian public organization «League advocates for patients» [*Obshcherossiiskaya obshchestvennaya organizatsiya «Liga zashchitnikov patsientov»*] <http://ligap.ru/articles/zayavleniya/zayavl/>
3. Government Decree of April 26, 2012 № 403 «On the order of the Federal Register of persons suffering from life-threatening and chronic progressive rare (orphan) diseases that can shorten life expectancy of citizens or their disability and its regional segment» [*Postanovlenie Pravitel'stva RF ot 26 aprelya 2012 g. № 403 «O poryadke vedeniya Federal'nogo registra lits, stradayushchikh zhizneugrozhayushchimi i khronicheskimi progressiruyushchimi redkimi (orfannymi) zabolovaniyami, privodyashchimi k sokrashcheniyu prodolzhitel'nosti zhizni grazhdan ili ikh invalidnosti, i ego regional' nogo segmenta»*].
4. Government Decree of 18.10.2013 N 932 «On the program of state guarantees of free provision of medical care to citizens in 2014 and the planned period 2015 and 2016» [*Postanovlenie Pravitel'stva RF ot 18.10.2013 N 932 «O programme gosudarstvennykh garantii besplatnogo okazaniya grazhdanam meditsinskoj pomoshchi na 2014 god i na planovyi period 2015 i 2016 godov»*].
5. Order of the Ministry of Health on February 13, 2013 № 66 «On approval of the Strategy of medicinal maintenance of the population of the Russian Federation for the period up to 2025 and its implementation plan» [*Prikaz Ministerstva zdavookhraneniya RF ot 13 fevralya 2013 g. № 66 «Ob utverzhdenii Strategii lekarstvennogo obespecheniya naseleniya Rossiiskoi Federatsii na period do 2025 goda i plana ee realizatsii»*].
6. Draft Law «On Amendments to the Federal Law» On Circulation of Medicines «and Article 333.32.1. Part Two of the Tax Code of the Russian Federation» [*Proekt FZ «O vnesenii izmeneniya v Federal'nyi zakon «Ob obrashchenii lekarstvennykh sredstv» i v stat'yu 333.32.1. chasti vtoroi Nalogovogo kodeksa Rossiiskoi Federatsii»*]. <http://www.rosminzdrav.ru/open/discuss/projects/3>.
7. Reference drugs Formulary Committee [*Spravochnik lekarstvennykh sredstv Formulyarnogo komiteta*]. moscow. 2006; 668 s.
8. Сура М. В., Омеляновский В.В., Авксентьева М.В. и др. *Meditsinskie tekhnologii. Otsenka i vybor*. 2014; 3 (17): 43-50.
9. Federal Law № 323-FZ of November 21, 2011. «On the basis of health protection in the Russian Federation» [*Federal'nyi zakon RF*

№ 323-FZ от 21 ноября 2011 г. «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации»].

10. <http://www.pharmvestnik.ru/publs/lenta/v-rossii/elena-maksimkina-dostup-boljnyx-k-orfannym-preparatam-budet-uproschen.html>.

11. European Medicines Agency (EMA): Orphan drugs and rare diseases at a glance. [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Other/2010/01/WC500069805.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2010/01/WC500069805.pdf)]. Doc. Ref. EMEA/290072/2007.

12. <http://www.eurordis.org/>.

13. KCE reports 112C. Policies for orphan diseases and orphan drugs. 2009.

14. Orofino J., Soto J., Casado M.A., Oyagüez I. Global spending on orphan drugs in France, Germany, the UK, Italy and Spain during 2007. *Appl Health Econ Health Policy*. 2010; 8 (5): 301-315.

15. Schey C., Milanova T., Hutchings A. Estimating the budget impact of orphan medicines in Europe. 2010-2020. *Orphanet Journal of Rare Diseases*. 2011; 6: 62.

16. Schwabe U., Paffrath D. *Arzneiverordnungsreport*. 2010; <http://www.springer.com/pharma/book/978-3-642-13379-4>

## ASSESSMENT OF NECESSARY FINANCIAL EXPENSES ON THE DRUG SUPPLY OF THE PATIENTS WITH ORPHAN DISEASES IN THE RUSSIAN FEDERATION

Sura M.V.<sup>1</sup>, Gerasimova K.V.<sup>1</sup>, Omelyanovskiy V.V.<sup>1,2</sup>, Avksentyeva M.V.<sup>1,2</sup>

<sup>1</sup> *Federal State Budget Educational Organization of the Higher Professional Education «Russian Presidential Academy of National Economy and Public Administration», Moscow*

<sup>2</sup> *Scientific and Research Financial Institute under the Ministry of Finance of the Russian Federation, Moscow*

**Abstract:** the article presents the results of cost calculation on the drug supply of the patients with orphan diseases, included in the list of orphan diseases (24 diseases) by the RF Government Regulation of April 26, 2012 № 403. Calculation was performed based on the data of registered patients with orphan diseases (OD) in 83 territorial entities of the Russian Federation in 2013 and based on the average-weighted costs of their drug therapy. Data on registered patients with OD was obtained because of the official request of the Expert Board on Healthcare of the Council of the Federation Committee on Social Policy that was sent to healthcare regulatory bodies of the 83 territorial entities of the Russian Federation. Average-weighted cost calculation of drug treatment (or of specialized nutrition care) of the patients with OD was carried out in accordance with medical care standards and expert assessment. As part of the analysis of the standards the search for pathogenic therapy medications was carried out, in the absence of which – there was a search for supportive care medications that critically affect survivability of the patients with OD. According to the selected list of drugs, information about duration, frequency of prescription, average daily and course dose, was analyzed. In the absence of medical care standards, and in order to verify some questions concerning drug therapy of patients with OD consultations with experts were held. Because of conducted calculation, total average-weighted costs of pharmacotherapy for 24 orphan diseases were 15.73 bln rubles per year (6.36 bln rubles for children and 9.37 bln rubles for adults) for 11 173 registered patients that by 3.3 exceeds current amount of finance. Pathogenetic pharmacotherapy of Mucopolysaccharidoses type VI and II proved to be the most expensive treatment per one patient per year: average-weighted costs per one child with Mucopolysaccharidoses type VI amounted to 40.90 mln rubles, per one adult – to 71.50 mln rubles; for Mucopolysaccharidoses type II costs were 29.60 and 51.83 mln rubles respectively. In order to increase effectiveness of the system of drug supply of the patients with OD and to optimize state expenses for this group of patients it is necessary to approve the entire range of financially balanced and science based medical care standards, to define the legal status of orphan drugs and to carry out state regulation of prices, to ensure increase of regional funding supported by involvement of federal budget funds, to define the list of orphan drugs, to implement state regulation measures to create incentives for pharmaceutical companies to reduce prices for orphan drugs.

**Key words:** orphan diseases, drugs, medical care standards, average-weighted costs.