



II Міжнародна науково-практична Інтернет-конференція
«Соціальна фармація: стан, проблеми та перспективи»

Орфанні захворювання в Україні: здобутки та напрямки вирішення основних проблем у забезпеченні хворих

КУЗЬМЕНКО І.І., ЧЕРКАШИНА А.В.

Актуальність теми

- збільшення кількості орфанних захворювань в останні роки (близько 8 тисяч);
- поширеність рідкісних захворювань (страждає від 6 до 8% населення світу, що складає 30 млн. людей у Європі та близько 25 млн. у Північній Америці);
- особливості клінічного перебігу (хронічно прогресує, призводить до скорочення тривалості життя громадянина або до інвалідизації);
- погіршення якості життя пацієнтів;
- зниження професійної активності і соціальної адаптації хворих (соціальна ізоляція);
- надзвичайно висока вартість лікування;
- труднощі пов'язані з діагностикою;
- низький рівень обізнаності населення щодо захворювання

Мета дослідження:

аналіз сучасного стану, визначення здобутків та напрямків удосконалення медико-фармацевтичного забезпечення хворих на орфанні захворювання в Україні

Основні завдання дослідження:

- ✓ проаналізувати літературні джерела щодо орфанних захворювань;
- ✓ дослідити показники поширеності цих захворювань серед населення країн світу та в Україні;
- ✓ ознайомитись з сучасними підходами до фармацевтичного забезпечення рідкісних захворювань в країнах світу та в Україні;
- ✓ проаналізувати нормативно-правову базу щодо надання фармацевтичної допомоги хворим;
- ✓ провести оцінювання системи фармацевтичного забезпечення орфанних захворювань в Україні;
- ✓ висвітлити здобутки у медико-фармацевтичному забезпеченні хворих на орфанні захворювання в Україні;
- ✓ ознайомитись з міжнародним досвідом фармацевтичного забезпечення орфанних захворювань;
- ✓ запропонувати шляхи оптимізації забезпечення хворих на рідкісні захворювання в Україні.

Нормативно-правове забезпечення в країнах світу та в Україні

Термін «орфанні хвороби», або «хвороби-сироти» введений в обіг у 1983 році

Нормативно правове регулювання в Україні :

Прийнято перший в світі Закон про орфанні препарати («Orphan Drug Act»)

- 1983 р. (США)

Закони які регламентують розробку, виробництво та використання орфанних препаратів

- Закон «Про внесення змін до Основ законодавства України про охорону здоров'я щодо забезпечення профілактики та лікування рідкісних (орфанних) захворювань» від 27.10.14 №1213-VII
- Наказ МОЗ «Про затвердження переліку рідкісних (орфанних) захворювань» від 27.10.2014 №778

- 1991 р. (Сінгапур)
- 1993 р. (Японія)
- 1997 р. (Австралія)
- 2012 р. (Росія)

Орфанні захворювання: термінологія та поширеність

РІДКІСНЕ (ОРФАННЕ) ЗАХВОРЮВАННЯ

– захворювання, яке загрожує життю людини або яке хронічно прогресує, призводить до скорочення тривалості життя громадянина або до його інвалідизації, поширеність якого серед населення не частіше ніж 1:2000

Закон України
№ 1213-VII
від 15.04.
2014

США

- Поширеність серед населення 1 : 1 500

Євросоюз

- Поширеність серед населення 1 : 2 000

Австралія

- Поширеність серед населення 1 : 2 000

Росія

- Поширеність серед населення 1 : 10 000

Японія

- Поширеність серед населення 1 : 50 000

Світова статистика орфанних захворювань

50 % хворих на рідкісні захворювання – діти

10% хворих доживають лише до п'яти років

12% – до п'ятнадцяти років

50% рідкісних хвороб призводять до інвалідизації;

**кожен п'ятий хворий страждає від болю,
кожен третій – не може вести
самостійного способу життя**

Перелік рідкісних (орфанних) захворювань

**Наказ
МОЗ
України
від
27.10.2014
№ 778**

**Зустрічаються
в Україні
найчастіше:**

**включає
171
нозологію**

**фенілкетонурія, хвороба
Гоше, гіпофізарний нанізм,
муковісцидоз, гемофілія,
вроджені коагулопатії,
мукополісахаридоз, хвороба
Фабрі та гомосцистеїнурия.**

**ПЕРЕЛІК
рідкісних (орфанних) захворювань, що призводять до
скорочення тривалості життя хворих або їх інвалідизації та для
яких існують визнані методи лікування**

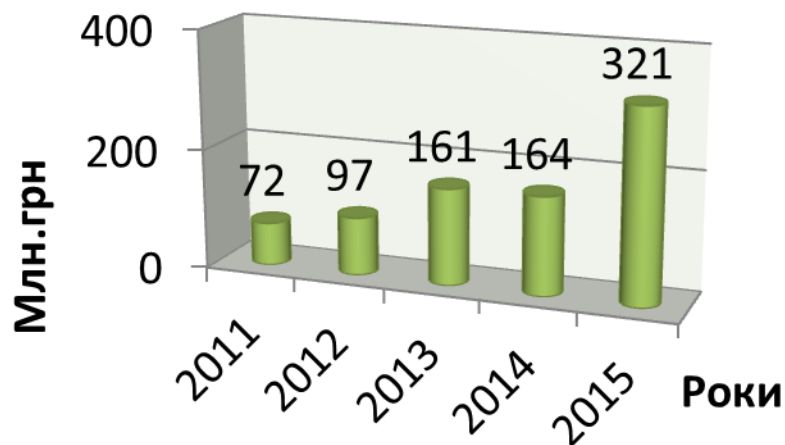
№ з/ п	Нозологія	МКХ-10	Orpha.net
Рідкісні ендокринні хвороби, розлади харчування та порушення обміну речовин			
1	Гіперинсулізм	E16.1	71212 79643 79644 263455 276575 276580 276598 276603
2	Псевдогіпопаратиреоз	E20.1	79443 79444 94089 94090
3	Гіпопаратиреоз, інші форми гіпопаратиреозу	E20.8	2237 2238 2239 2323 3453 36913

Обсяги державного фінансування орфанних захворювань

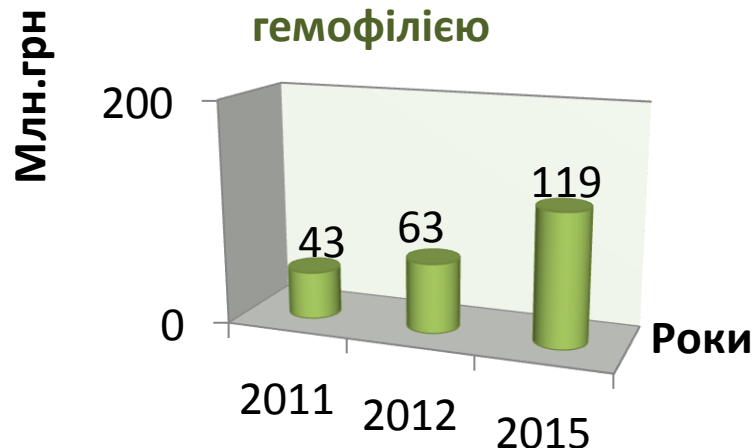
Довідка

- Вартість лікування одного пацієнта становить від 20 тис. до 6-8 млн. грн. на рік;
- Вартість лікування одного пацієнта з хворобою Гоше препаратом «Церезім» становить 200 тис. дол. США на рік на одну дитину й 600 тис. дол. на одного дорослого

Обсяг фінансування на лікування дітей з орфанними захворюваннями



Обсяг фінансування на лікування пацієнтів з гемофілією



* Джерело: Державне забезпечення хворих на орфанні захворювання/ Ольга Богомолець, Голова Комітету з питань охорони здоров'я/ apteka.ua

Основні досягнення у медико-фармацевтичному забезпеченні хворих на орфанні захворювання в Україні

- впорядковано поняття «орфанне захворювання»;
- удосконалено та приведено у відповідність з європейським нормами реєстр орфанних захворювань (налічує 171 нозологію);
- розроблено порядок життєвого забезпечення хворих лікарськими засобами та спеціальним дієтичним харчуванням;
- збільшено фінансування на 2015 рік на 50%, порівняно з минулим роком;
- виділено фінансування з держбюджету на 4 додаткові нозології, які раніше не фінансувалися;
- створено спеціальну комісію з питань забезпечення життя людей з особливими потребами;
- прийнято рішення про утворення єдиного в Україні Центру орфанних захворювань на базі НДСЛ «Охматдит», що контактуватиме з аналогічними центрами в інших країнах світу

Напрямки вирішення основних проблем медико-фармацевтичної допомоги хворим на орфанні захворювання в Україні

- Розробка Національної програми з рідкісних захворювань, що включатиме питання діагностики, селективного скринінгу, надання медичної і медико-соціальної допомоги хворим
- Розробка нормативних документів та адаптація чинного законодавства України до потреб служби надання допомоги хворим (протоколи лікування, клінічні настанови)
- Розвиток національної і міжнародної співпраці в галузі діагностики, лікування і профілактики рідкісних захворювань
- Збір статистичної інформації про частоту та спектр рідкісних захворювань в Україні
- Створення Національного реєстру пацієнтів з рідкісними захворюваннями
- Впровадження ефективних методів ранньої діагностики рідкісних захворювань
- Впровадження ефективних методів лікування і реабілітації хворих з рідкісними захворюваннями для зниження рівня смертності і інвалідності
- Підготовка кваліфікованих фахівців з діагностики та лікування рідкісних захворювань у провідних центрах. Підвищення інформованості лікарів різних спеціальностей і пацієнтів про рідкісні захворювання

Результати аналізу сучасних підходів щодо фармацевтичного забезпечення хворих на орфанні захворювання в міжнародній практиці

Країни Євросоюзу

- Безоплатна допомога при складанні протоколу клінічних досліджень
- 50% пільга на усі необхідні збори впродовж першого року після схвалення ЛЗ
- Прискорена процедура розгляду документів при реєстрації
- Можливість реєстрація на основі незакінчених клінічних досліджень
- Встановлення граничного рівня торгової націнки (в Італії, Іспанії націнка не повинна перевищувати 7,5 євро за упаковку)
- Створення мережі спеціалізованих центрів, які допускають експериментальне застосування ЛЗ, ще не схвалених офіційно (Німеччина)
- 50% пільга на обов'язкові митні збори на дореєстраційному етапі
- Подовження терміну патентного захисту до 10 років

США

- Податкові пільги виробникам орфанних препаратів
- Подовження терміну патентного захисту до 7 років

Запропоновані заходи з удосконалення фармацевтичного забезпечення хворих на орфанні захворювання в Україні

Надання виробникам орфанних препаратів пільг при реалізації їх на території України (звільнення від 7% митного збору)

Можливість закупівлі лікарських препаратів, які зареєстровані та виробляються країнами учасниками PIC/S без процедури традиційної реєстрації в Україні

Надання подовжених та ексклюзивних прав на продаж препарату протягом 10-15 років

Створення переліку орфанних препаратів та встановлення граничного рівня постачальницько-збутової та торговельної націнки з метою підвищення доступності для споживачів

ВИСНОВКИ

1. Проаналізовано сучасний стан, визначенно здобутки та напрямки удосконалення медико-фармацевтичного забезпечення хворих на орфанні захворювання в Україні.
2. Проаналізовано літературні джерела щодо проблематики орфанних захворювань в країнах світу та в Україні.
3. Досліджено показники поширеності цих захворювань серед населення країн світу та в Україні.
4. Проаналізовано сучасні підходи до фармацевтичного забезпечення рідкісних захворювань в країнах світу та в Україні.
5. Проаналізовано нормативно-правову базу щодо надання фармацевтичної допомоги хворим на орфанні захворювання в Україні;
6. Наведено здобутки у медико-фармацевтичному забезпеченні хворих на орфанні захворювання в Україні;
7. Проаналізовано міжнародний досвід фармацевтичного забезпечення орфанних захворювань;
8. Запропоновано шляхи оптимізації забезпечення хворих на рідкісні захворювання в Україні.

A decorative background at the top of the slide featuring several overlapping, wavy, green leaf-like shapes that curve downwards from the top edge.

ДЯКУЄМО ЗА УВАГУ!