



## Не редкие вопросы

Перспективы лечения орфанных заболеваний остаются туманными

В Казани идет судебный процесс по иску орфанного пациента с цистинозом об отказе в обеспечении его необходимыми лекарствами. Стоимость годового курса лечения — 2–3 млн руб. Местный Минздрав оказал ему помощь в 2015 г. на сумму 7 тыс. руб. и на этом посчитал свои обязательства выполненными. Такие новости приходят с завидным постоянством из разных регионов России. Деньги, выделенные на лекарственное обеспечение данной группы пациентов, иссякают, чиновники изыскивают всевозможные пути ограничить закупку дорогостоящих ЛП, пациенты подают в суд. Один из способов решить проблему — наладить отечественное производство данной группы препаратов. Окажется ли идея успешной?

Светлана Петрова



**Председатель правления Ассоциации фармацевтических производителей Евразийского экономического союза Дмитрий ЧАГИН**

**Исполнительный директор межрегиональной благотворительной общественной организации «Союз пациентов и пациентских организаций по редким заболеваниям» Денис БЕЛЯКОВ**



— **Какие шаги предпринимаются сейчас для того, чтобы сделать орфанные препараты доступными для пациентов?**

**Денис Беляков:** В 2015 г. дополнительные деньги из федерального бюджета на лекарственное обеспечение орфанных пациентов пришли в III квартале — где-то в сентябре-октябре. Это была субсидия регионам в размере примерно 12 млрд руб. В этом году никакого понимания о том, будут ли вообще деньги, а если будут, то когда, ни у должностных лиц, ни у пациентов нет. Поэтому чиновники тянут время, а мы как общественная организация пытаемся помогать пациентам. В федеральном регистре по редким заболеваниям зарегистрированы 12 тыс. человек. Только в 2014 г. по подсчетам Минздрава на орфанную программу было затрачено 7 млрд руб. В 2015-м эта сумма значительно больше. По разным оценкам, потребность на программу сегодня составляет от 15 до 30 млрд руб.

Есть несколько выигранных судов — по мукополисахаридозу, тирозинемии. По болезни Фабри заседание предстоит. Это все заболевания из 24 нозологий. Более года пациенты не получают лечение. По мукополисахаридозу сейчас в РФ идет порядка 10 судов. Еще несколько судов по незарегистрированным ЛП — когда для лечения заболевания существует только один препарат по всему миру. Но если пациент его не получает, он погибает. В России таких пациентов около 20. Пять регионов сказали открыто, что лечить их не будут — Хабаровский край, Уфа (два случая), Республика Крым и Московская область.

**Дмитрий Чагин:** Мы очень трепетно относимся к теме орфанных заболеваний и надеемся, что уже к предстоящему Петербургскому международному экономическому форуму мы сможем заключить несколько специальных инвестиционных контрактов на этот предмет. Самая актуальная задача на сегодняшний день — сделать так, чтобы схемы лечения были ясны пациентам, чтобы они укладывались в понятные экономические параметры, чтобы пациента не переключали спонтанно с одного ЛП на другой. Для этого необходимо участие пациентских и врачебных сообществ при утверждении технических регламентов линий по производству лекарственных препаратов. Чтобы было услышано мнение людей, которые будут ежедневно применять произведенные на этих линиях препараты. Диалог инициирован. Люди понимают, что инте-

ресы производителей сводятся не только к извлечению прибыли и поиску комбинаций для удорожания лечения.

— **Какие законодательные инициативы принимаются в данном направлении?**

**Денис Беляков:** Есть отлично работающая программа «Семь нозологий», куда входят в том числе и четыре редких заболевания. Там все работает как часы. Теперь принят закон о федерализации этой программы окончательно, уже без ежегодного пересмотра, как это было принято раньше. Программа доказала свою состоятельность и с точки зрения клинической эффективности, и с точки зрения экономики и логистики. Цена на ЛП снижалась, затраты на проведение торгов минимизированы, а не так, как в «24 нозологиях», когда по каждому ЛП, а то и по каждому пациенту, раз в квартал проводятся крайне затратные аукционы. У программы «24 нозологии» есть проблемы с финансированием и нет понимания — будут ли деньги из федерального Центра. Если нет, то это будет полный крах, потому что многие регионы будут просто вынуждены снять с себя ответственность по выполнению этих обязательств. Уже сейчас региональные власти отказывают новым пациентам в предоставлении терапии.

**Дмитрий Чагин:** Сейчас те формы поддержки, которые существуют («третий лишний», вопросы, связанные с локализацией, с полным циклом, с аспектами производства субстанций, Федеральный закон № 44-ФЗ «О контрактной системе», Закон № 488-ФЗ «О промышленной политике в РФ», СПИК) — это то, что мы годами методично нарабатывали.

— **Есть мнение, что отечественные фармпроизводители способны на своих мощностях покрыть потребность в орфанных препаратах. Оправдана ли такая уверенность?**

**Дмитрий Чагин:** Оправдана, потому что она основана на перспективных планах развития наших компаний. В рамках IV конгресса Евро-Азиатского общества по инфекционным болезням, состоявшегося в Петербурге, звучали конкретные цифры по количеству ЛП, которые уже находятся в портфелях успеха наших фармзаводов. Сейчас наши компании открыты. Они понимают, что в рамках импортозамещения они востребованы.



**Денис Беляков:** Подобные идеи жизнеспособны. Но это случится не завтра. Здорово, что отечественная фарминдустрия, освоив группу дженериков, обращает внимание на разработку биологических лекарств. Не так давно мы были на экскурсии на заводе «Генериум». Там целые корпуса, целые штаты сотрудников, в том числе из-за рубежа, специально для производства группы ЛП, в том числе для лечения редких заболеваний. Там даже уже создан препарат для лечения болезни Гоше. Но есть такие орфанные нозологии, где пациентов всего несколько десятков. И производить ЛП для данной группы можно, только ориентируясь на международный рынок, потому что сделать прибыльный проект в рамках одной страны невозможно — инвестиции огромны, а рынок сбыта маленький.

— **По-прежнему актуальной остается проблема замены оригинальных препаратов дженериками?**



**Дмитрий Чагин:** Это вопрос выбора схем лечения. Пациента по большому счету не интересует отдельно взятый препарат. Его интересует результат лечения и общая суммарная стоимость — на что он имеет право, будучи гражданином РФ, и каким образом государство выполняет свои конституционные обязанности.



**Денис Беляков:** Для орфанных ЛП вопрос очень актуальный. Многие дженерики, при всей идентичности химической структуры, показывают меньшую эффективность именно на этой группе пациентов. Нужны действительно оригинальные препараты. Но закупать их массово законы не позволяют. Нужна индивидуальная закупка. Для большей части орфанных пациентов на данный момент аналогов не существует. Здорово, если такие отечественные разработки появятся. Но надо создать благоприятную среду, чтобы отечественные ученые могли обратить внимание на эти исследования — упростить систему получения грантов, снизить ответственность в случае неудачи проекта. Чтобы судьба орфанных пациентов была не в руках нескольких компаний с амбициозными планами, а чтобы это была системная государственная стратегия, направленная на поддержку лечения редких болезней.