

Рекомендации
Общественной палаты Российской Федерации по итогам
общественных слушаний на тему: «Совершенствование оказания
медицинской помощи пациентам с гемофилией. Перспективы применения
инновационной терапии»

г. Москва

3 октября 2019 года

Общественной палатой Российской Федерации (далее – Общественная палата) по инициативе Комиссии Общественной палаты по охране здоровья граждан и развитию здравоохранения совместно с Экспертным советом по здравоохранению при Комитете Совета Федерации Федерального Собрания Российской Федерации по социальной политике проведены общественные слушания на тему: «Совершенствование оказания медицинской помощи пациентам с гемофилией. Перспективы применения инновационной терапии» (далее – мероприятие).

В работе мероприятия приняли участие члены Общественной палаты, члены Совета Федерации Федерального Собрания Российской Федерации, члены Экспертного совета по здравоохранению при Комитете Совета Федерации Федерального Собрания Российской Федерации по социальной политике, представители федеральных органов исполнительной власти, исполнительных органов государственной власти субъектов Российской Федерации, а также ведущие медицинские эксперты, представители научных и профессиональных организаций, пациентского сообщества.

В ходе состоявшегося обсуждения участники отметили высокую социальную значимость и актуальность темы мероприятия, которые в первую очередь обусловлены тем, что в настоящее время фиксируется рост количества выявленных больных гемофилией. Данное заболевание обусловлено дефицитом факторов свертывания плазмы крови и характеризуется повышенной склонностью к гемorragиям – кровотечениям и кровоизлияниям, связанным с нарушением целостности или проницаемости стенок сосудов. Оно также характеризуется тяжелым прогрессирующим и жизнеугрожающим течением,

в случае отсутствия инновационной терапии его следствием зачастую являются инвалидизация и летальный исход.

В зависимости от дефицита того или иного фактора свертываемости крови, различают формы гемофилии: А (классическая), В (болезнь Кристмаса), С и другие. Следует также отметить, что существуют отдельные ингибиторные формы гемофилии, при которых стандартная лекарственная терапия не действует и пациентам необходимо проводить альтернативные способы лечения.

Важным шагом для повышения качества оказания медицинской помощи пациентам с гемофилией является создание национального реестра больных (базы данных или сборника информации о лицах, больных гемофилией или имеющих наследственные заболевания, сопровождающиеся кровоизлияниями, которые содержат, в том числе такие личные данные, как возраст, пол, тип заболевания, сопровождающегося кровоизлияниями, степень тяжести, вид и объем полученного лечения, а также наличие таких осложнений, как ингибиторы, заболевания печени, заболевания суставов и т. д.). Основными целями создания реестра является информирование граждан о распространенности этого заболевания, определение потребностей лиц, больных гемофилией, и областей медицинского обслуживания, требующих развития и совершенствования.

К настоящему моменту в Российской Федерации уже предпринят ряд мер, направленных на совершенствование медицинской помощи и поддержку пациентов с гемофилией. В частности, благодаря внедрению и реализации в соответствии с пунктом 21 части 2 статьи 14, частями 7 и 8 статьи 44 и частью 9.2 статьи 83 Федерального закона от 21 ноября 2011 года № 323–ФЗ «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» государственной программы «12 высокотратных нозологий» и активной работе медицинского гематологического сообщества в Российской Федерации за последние 15 лет был достигнут значительный прогресс в лекарственном обеспечении пациентов с редкими заболеваниями, в том числе с гемофилией.

В кратчайшие сроки удалось достичь такого уровня обеспеченности заместительной терапией, которая позволяет полностью интегрировать больных гемофилией в общество и приблизиться по этому показателю к наиболее развитым странам. Повсеместно внедрен в практику профилактический режим терапии гемофилии в целях предотвращения спонтанных кровотечений и развития артропатий. Высокое качество оказываемой медицинской помощи и обеспеченность препаратами свертывания крови позволили существенно повысить продолжительность и качество жизни пациентов с гемофилией в Российской Федерации.

Однако в настоящее время не установлены порядок оказания медицинской помощи пациентам с гемофилией, а также требования к разработке нормативно-отчетной документации, обязательной для пациентов. Существующие утвержденные стандарты оказания медицинской помощи не актуальны. В связи с этим эксперты указывают на необходимость приведения стандартов оказания медицинской помощи в соответствие с теми клиническими рекомендациями, которые в настоящее время успешно разработаны для пациентов с наследственными коагулопатиями.

Несмотря на значительные успехи, достигнутые в лечении заболевания, ведение пациентов с ингибиторной формой гемофилии (далее – ИФГ) представляет определенные трудности. Общее количество больных с гемофилией в Российской Федерации, по данным Федерального регистра лиц, больных гемофилией, муковисцидозом, гипофизарным нанизмом, болезнью Гоше, злокачественными новообразованиями лимфоидной, кроветворной и родственных им тканей, рассеянным склерозом, лиц после трансплантации органов и (или) тканей, по состоянию на 25 октября 2018 года, составляет 7433 человек, из них с гемофилией А – 6525 человек, из которых 30,8 % – дети. При этом пациентов с диагностированной ИФГ насчитывается не более 400 человек. Следует отметить, что в 66 % случаев ИФГ появляется в детском и молодом возрасте (до 20 лет), более 40 % больных с ИФГ – это дети в возрасте до 10 лет.

Все существующие в настоящее время препараты для заместительной терапии больным гемофилией вводятся внутривенно, что сопряжено с определенными трудностями и ограничениями. Возрастные анатомические особенности вен, воспалительные и склеротические изменения венозной стенки, артропатии, затрудняющие проведение инфузии без посторонней помощи, могут приводить к пропуску очередного введения препарата, тем самым снижая эффективность проводимой терапии и повышая вероятность возникновения угрожающих жизни кровотечений. Для больных с ИФГ, лечение которых предусматривает большее количество инфузий, проблема венозного доступа особенно актуальна. Современные препараты позволяют добиться полного отсутствия кровотечений у большинства пациентов, в том числе с ИФГ, что ввиду отсутствия повторяющихся кровотечений в суставы способствует предотвращению ранней инвалидизации и повышению качества жизни пациента. Кроме того, такие препараты характеризуются возможностью подкожного введения с частотой до 1 раза в 4 недели, что полностью решает проблему затрудненного венозного доступа и, следовательно, позволяет повысить приверженность пациентов к терапии.

С учетом перечисленных факторов участники мероприятия указали на необходимость внедрения инновационных подходов к лечению пациентов с гемофилией.

В настоящее время в Российской Федерации в условиях развития отечественной фармацевтической отрасли отмечается важность разработки критериев инновационности лекарственных препаратов для определения приоритетов и формирования политики государственной поддержки фармацевтической отрасли. Однако производители лекарственных препаратов зачастую используют понятие «инновационность» как инструмент продвижения своей продукции. В связи с этим актуальным является вопрос о необходимости использования системы оценки для анализа инновационности медицинских технологий (в том числе лекарственных препаратов) и принятия решений по их последующему финансированию и возмещению.

По мнению экспертов, принявших участие в мероприятии, наиболее приемлемым подходом для оценки инновационности медицинских технологий является многокритериальный анализ принятия решений (MCDA), являющийся одним из концептуальных подходов при проведении оценки технологий здравоохранения (в Российской Федерации в соответствии с Федеральным законом от 12 апреля 2010 года № 61–ФЗ «Об обращении лекарственных средств» проводится комплексная оценка лекарственных препаратов). Этот метод обеспечивает прозрачный (аргументированный) учет разных критериев и относительной важности их влияния на конечный результат.

Кроме того, участники мероприятия отметили, что принятие решения о возмещении инновационных методов лечения является одним из наиболее сложных этапов в обеспечении их доступности и внедрения в национальные системы здравоохранения. Данный вопрос требует совершенствования подходов как к системе комплексной оценки, так и к лекарственному обеспечению. В связи с чем, во многих странах разрабатываются отдельные требования к системе комплексной оценки для инновационных лекарственных препаратов, а их финансирование обеспечивается в рамках инновационных моделей лекарственного обеспечения (концепция «разделения рисков» («risk-sharing»).

Концепция «разделения рисков» (risk-sharing) является инновационным подходом к организации лекарственного обеспечения пациентов с различными заболеваниями. Сутью данной концепции является обеспечение условий, при которых оплата лечения заказчиком (государством) осуществляется для тех пациентов, лечение которых оказалось эффективным. В случае отсутствия положительного эффекта от лечения у конкретного пациента он прекращает терапию или переводится на другую схему лечения, а компания–производитель без дополнительной оплаты предоставляет препарат, израсходованный на терапию такого пациента, либо государственный заказчик не оплачивает поставщику стоимость лекарственных препаратов, израсходованных на терапию такого пациента.

Стремительное развитие медицинских технологий, появление новых методов лечения существенно повысило значимость лабораторных исследований. Однако, по мнению участников круглого стола, в большинстве субъектов Российской Федерации затруднен лабораторный контроль, что в свою очередь влияет на своевременность постановки диагноза и начала заместительной терапии при ряде заболеваний, в том числе гемофилии. Приобретает актуальность вопрос о централизации лабораторных исследований, поскольку большое количество клиничко–диагностических лабораторий характеризуются низкой клинической и экономической эффективностью. Лабораторная медицина в настоящее время по количеству видов представляемой информации является одной из самых объемных отраслей клинической медицины. Централизация лабораторной службы – один из методов повышения эффективности здравоохранения в целом, суть которого заключается в концентрации исследований в крупных оснащенных лабораториях, в которые будут транспортироваться биоматериалы, полученные в малых лабораториях или на станциях забора крови. Целью централизации – повышение доступности новых видов диагностики, тестов и методик, а также оптимизация финансирования лабораторий. Экономический эффект централизации обусловлен резким снижением себестоимости лабораторных исследований при их массовом производстве, что позволит использовать сохраненные финансовые ресурсы на расширение спектра лабораторных исследований и внедрение новых технологий. Зарубежный опыт свидетельствует о положительной роли централизации в решении практических задач здравоохранения.

Учитывая высокую социальную значимость рассмотренных на круглом столе вопросов, на основании вышеизложенного Общественная палата Российской Федерации рекомендует:

Министерству здравоохранения Российской Федерации

Рассмотреть возможность:

1. Создания национального реестра пациентов с гемофилией и наследственным дефицитом других факторов свертывания крови.

2. Изменения подхода к формированию перечня лекарственных препаратов, обеспечение которыми граждан осуществляется в рамках государственной программы «12 высокочатратных нозологий» (распоряжение Правительства Российской Федерации от 10 декабря 2018 года № 2738–р), предусмотрев назначение препаратов по отдельным показаниям.

3. Обеспечения пересмотра стандартов оказания специализированной медицинской помощи пациентам с наследственным дефицитом факторов свертывания крови в соответствии с утвержденными клиническими рекомендациями.

4. Разработки и утверждения порядка оказания медицинской помощи для пациентов с наследственным дефицитом факторов свертывания крови, предусматривающего, в том числе вопросы своевременного обеспечения лабораторного контроля, лекарственной терапии, сосудистого доступа и реабилитации.

5. Нормативного определения термина «централизованная лаборатория» и разработки критериев для получения данного статуса с целью совершенствования лабораторно–диагностической службы.

6. Разработки стандартизированной методики оценки качества жизни пациентов для дальнейшего применения в рамках комплексной оценки лекарственных препаратов, осуществляемой в соответствии с Федеральным законом от 12 апреля 2010 года № 61–ФЗ «Об обращении лекарственных средств», и расчета интегрального показателя эффективности – количества лет качественной жизни (QALY).

7. Разработки и внедрения критериев оценки инновационности для лекарственных препаратов.

8. Внедрения многокритериального анализа для принятия управленческих решений (MCDA).

9. Включения в программу государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи проведения экстракорпорального

оплодотворения (ЭКО) и преимплантационной генетической диагностики для женщин – носительниц наследственных заболеваний.

10. Обеспечения внедрения механизма ускоренной регистрации инновационных лекарственных препаратов и их включения в перечни лекарственных препаратов, которыми граждане обеспечиваются на льготных основаниях.

11. Внесения изменений и дополнений в законодательство Российской Федерации о контрактной системе в сфере закупок товаров, работ, услуг для обеспечения государственных и муниципальных нужд, предусматривающих отмену требований по формированию начальной максимальной цены контракта при планировании закупок лекарственных препаратов за счет бюджетных средств и внедрение механизма внесения специального ценового предложения в рамках программы «12 высокочрезвычайных нозологий», которое не влияет в последующем на определение начальной максимальной цены контракта и носит конфиденциальный характер.

Министерству здравоохранения Российской Федерации совместно с Министерством промышленности и торговли Российской Федерации, Министерством финансов Российской Федерации, Министерством экономического развития Российской Федерации, Федеральной антимонопольной службой Российской Федерации рассмотреть возможность разработки нормативно–правовой базы, необходимой для внедрения инновационных моделей лекарственного обеспечения (например, концепции «разделения рисков» («risk-sharing») и др.) с целью повышения доступа к инновационным препаратам пациентов, для которых стандартная терапия не является эффективной.