



Тематические страницы газеты **Коммерсантъ**

Здравоохранение

Вторник 28 февраля 2023 №34 (7479 с момента возобновления издания)



kommersant.ru

16 Как живут пациенты с ультраредкими заболеваниями

17 Чем врачам могут помочь данные клинических регистров пациентов

18 Какие фармацевтические компании нарастили расходы на ТВ-рекламу

Прогнозная нехватка

В нынешнем году в России может возникнуть дефицит препарата «Купренил», следует из проведенного «Б» анализа статистики госзакупок и динамики коммерческой розницы. Доступ к терапии за бюджетные средства в этом случае потеряют пациенты с болезнью Вильсона—Коновалова — в РФ таковых может насчитываться несколько тысяч человек.

— тенденция —

В ближайшие месяцы в России в дефиците может оказаться препарат «Купренил» (международное непатентованное название — пеницилламин) израильской компании Teva. Он предназначен для лечения редкого наследственного заболевания — болезни Вильсона—Коновалова, при которой происходит нарушение обмена меди в организме. Заболевание преимущественно поражает центральную нервную систему и печень, но у таких пациентов также страдают почки, кровеносная и эндокринная системы.

Впервые риск дефицита «Купренила» возник еще в 2020 году, когда компания Teva заявила о том, что планирует полностью прекратить поставки на российский рынок восьми своих лекарств, в том числе «Купренила». Замена для него существовала только формально — в 2019 году российская «Натива» (сейчас «ФармМентал групп») зарегистрировала дженерик пеницилламина, однако не регистрировала предельную цену ЖНВ-ЛП и, согласно реестру Росздравнадзора, ни разу не вводила препарат в гражданский оборот. Ситуацию удалось уладить, позволив Teva в три раза повысить предельную цену производителя — до 3,3 тыс. руб. за упаковку. Можно предположить, что причиной для прекращения поставок препарата в РФ стала его низкая рентабельность. Схожим образом свои действия мотивировала и компания Roche, которая в том же году открыто заявила, что прекращает поставки оригинального «Мадопара» (леводопа + бенсеразид) из-за политики ценообразования, делающей дальнейшие продажи в России нерентабельными (свой дженерик «Мадопара», последний из импортных, отозвала и Teva, а остатки импортного еще в прошлом году продолжали искать пациенты с непереносимостью российских аналогов).

В конце прошлого — начале текущего годов риск дефицита «Купренила» возник снова. Согласно данным



Росздравнадзора, препарат не вводился в гражданский оборот весь ноябрь и декабрь — период, когда дистрибуторы планируют запасы на будущий год, а госзаказчики размещают крупные тендеры, чтобы избежать перебоев из-за длинных новогодних выходных и успеть освоить деньги из бюджета уходящего года. Впрочем, как сообщил «Б» источник в компании, перерыв в поставках не связан с дефектурой. В качестве аргумента в израильской компании привели сведения о наличии препарата в коммерческой рознице. «Б» выяснил, что препарат действительно доступен в 606 аптеках столицы по цене от 3,5 тыс. до 4,5 тыс. руб. В агрегаторе «МегаГалка» (включает 25 тыс. точек в 78 регионах РФ) препарат можно забронировать в 219 московских точках, на порядок ниже оказалась его доступность в других городах-миллионниках: в Санкт-Петербурге числится в наличии в 35 аптеках, в Новосибирске и Екатеринбурге — в 5 аптеках, в Казани лекарство было в наличии в 35 аптеках, в Нижнем Нов-

городе и Самаре — в 8 аптеках, в Челябинске — в 6 аптеках, в Уфе, Ростове-на-Дону и Омске — только в 2 аптеках, в Волгограде — в одной аптеке, в красноярских аптеках агрегатора «Купренила» в наличии нет, в Воронеже присутствует в 22 аптеках, в Перми — в 13. В DSM Group по запросу «Б» подсчитали, что в 2022 году коммерческие продажи пеницилламина выросли почти на 30% (до 9,6 тыс. упаковок) в натуральном выражении и практически вдвое в денежном — до 41 млн руб.

В январе Teva, вопреки опасениям, все же ввезла очередную серию «Купренила». Однако даже при беглом анализе тендеров конца прошлого — начала текущего годов в глаза бросаются три крупнейших с близкой начальной ценой около 3 млн руб. В середине декабря прошлого года агентство по закупкам департамента здравоохранения Москвы, обеспечивающее препаратами столичную систему здравоохранения, планировало купить 835 упаковок «Купренила» не дороже 3,6 тыс. руб. за каждую,

однако на тендер не вышел ни один из поставщиков. В январе нынешнего года заказчик поднял начальную цену до 3,7 тыс. руб. за 100 таблеток, но и это предложение никого из дистрибуторов не заинтересовало. Начальная цена уже февральского, третьего по счету тендера составляет почти 3,9 тыс. руб. за упаковку, что соответствует прошлогодней средней закупочной цене и близко к цене продажи препарата в коммерческом сегменте — 4,1 тыс. руб. за упаковку.

Успешка коммерческих продаж может быть и более простое объяснение: 25% от годовых продаж (2,4 тыс. упаковок на 10,1 млн руб.) пришлось на март прошлого года, когда на фоне дестабилизации ситуации в мире потребители поддали ажиотажу и покупали про запас все, что когда-либо принимали. В обычное время месячные продажи «Купренила» не превышали в натуральном выражении 600 упаковок. Впрочем, это не исключает дефицита в бюджетном сегменте из-за оттока поставок дистрибуторов в аптеки.

В госсегменте 50% закупок «Купренила» пришлось на февраль—июнь, еще один всплеск — 1,1 тыс. упаковок — произошел в сентябре. Вероятно, осенью госучреждения запасами любыми потенциальными радиопротекторами, антидотами (пеницилламин используется и при отравлении тяжелыми металлами), обезболивающими и средствами для обеззараживания воды. Подобными препаратами раньше наполнялись индивидуальные аптечки (АИ-2 и АИ-4), сейчас заменены перевязочными пакетами. Впрочем, и нецелесообразно создавать таким образом дефицит целевой аудитории препарата. Похожая ситуация складывалась с гидроксихлорохином в пандемию: французская Sanofi призывала не скупать препарат для лечения COVID-19, чтобы не создавать таким образом дефицит для пациентов с прямым показанием — ревматоидным артритом.

Впрочем, как рассказала «Б» координатор объединения пациентов с болезнью Вильсона—Коновалова в РФ Виктория Рязькова, пока жалоб

от пациентов на недоступность терапии «Купренилом» к ним не поступало. Однако это может объясняться тем, что пока в государственных учреждениях используют запасы препарата, сделанные ранее. По оценкам объединения, сейчас в РФ проживают по меньшей мере 4 тыс. человек с таким диагнозом. В пресс-службе компании Teva, «Б» заявили, что поставки «Купренила» в РФ идут «в плановом режиме, он доступен для отгрузки всем участникам рынка». В компании подчеркнули, что считают своей обязанностью обеспечивать доступность необходимого для пациентов лекарств. Отметим, что Минздрав также пока не видит риска дефицита данного препарата. Как ранее писал «Фармвестник», пеницилламин не вошел в список потенциально дефектурных лекарств, состоящий из 97 позиций, который в конце января сформировала созданная Минздравом для определения дефицита препаратов или риска его возникновения в 2022—2023 годах межведомственная комиссия. **Александр Осипов**

Редкость в новых границах

— статистика —

В ближайшее время федеральный бюджет РФ возьмет на себя обеспечение терапии орфанных пациентов из четырех новых регионов РФ: Донецкой и Луганской народных республик (ДНР и ЛНР), Запорожской и Херсонской областей. Как подсчитал «Б», речь может идти примерно о 2 тыс. новых пациентов. Дополнительные расходы на обеспечение их препаратами могут составить от 2 млрд руб.

В результате присоединения новых территорий возрастут расходы РФ на обеспечение лекарствами пациентов с орфанными заболеваниями. Такой вывод можно сделать на основании существующей статистики проектного офиса «Редкие (орфанные) болезни» Национального НИИ общественного здоровья им. Н. А. Семашко.

Напомним, ДНР, ЛНР, Запорожская и Херсонская области провели референдум о присоединении к РФ в сентябре 2022-го. В феврале текущего года Владимир Путин подписал закон, который утверждает для жителей этих регионов государственные гарантии в части медицинской помощи — ее объем не может быть меньше, чем в остальных регионах РФ. Сейчас проживающие в новых регионах и оформившие гражданство РФ имеют право при наличии у них редкого заболевания получить терапию необходимым препаратом за счет федерального бюджета в рамках программы высокотратных нозоло-

гий или с помощью государственного фонда «Круг добра», а также бюджета своего региона, если диагноз пациента относится к перечню жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности.

Впрочем, сегодня сроки внедрения диагностики и взаимодействия с фондом, и могут передавать заявки в нашу информационную систему напрямую». Из-за этого, вероятно, в правительстве пока также не готовы назвать даже число орфанных пациентов на новых территориях. В Минздраве, как и в профильных ведомствах четырех регионов, на соответствующий запрос «Б» не ответили. О том, что пока новые регионы не могут «войти в реестры орфанных заболеваний, препараты для лечения которых закупаются по государственным программам», в начале февраля в беседе с главой ЛНР Леонидом Пасечником заявила и уполномоченный при президенте РФ по правам ребенка Мария Львова-Белова. По ее словам, в ближайшее время она планирует обсудить этот вопрос с главой Минздрава Михаилом Мурашко.

Вероятно, это помимо непосредственных сложностей переходного периода обусловлено еще и тем, что учет пациентов с редкими заболеваниями на новых территориях не вели централизованно. Например, в Запорожской и Херсонской областях соответствующий учет в электронном виде, следуя принятой в 2021 году правительством Украины Концепции развития системы оказания медицинской помощи пациентам с орфанными заболеваниями и распоряжению Кабинета министров страны №1235-р от 11 октября 2021 года, должны были внедрить в период до 2026 года. Кроме того, список редких заболеваний, по которым статистика все же была, в каждом из новых регионов был свой, и они не совпадают с перечнями, существующими в России. Так, например, в ДНР и ЛНР не предусмотрено государственное обеспечение пациентов с буллезным эпидермолизом и ихтиозом необходимыми перевязочными материалами и специализированным лечебным питанием, в России же таких пациентов обеспечивает фонд «Круг добра». Ассоциация пациентов с редкими заболеваниями в РФ, которые взаимодействуют с аналогичными союзами в новых регионах, в свою очередь, располагают данными только об отдельных когортах пациентов.

Таким образом, оценить число всех пациентов с редкими заболеваниями на новых территориях можно только на основе аналогичных данных по регионам РФ с сопоставимой численностью населения. **с 18**

«Орфанных пациентов не так мало, как кажется»

— прямая речь —

28 февраля — 1 марта в Москве пройдет Всероссийский форум по орфанным заболеваниям. Сопредседатель Всероссийского союза пациентов (ВСП), президент Всероссийского общества гемофилии ЮРИЙ ЖУЛЕВ рассказал «Б» о том, как задачи форума изменились за последние пять лет, стало ли пациентскому сообществу легче взаимодействовать с властями и каким образом государство могло бы обеспечить препаратами всех нуждающихся.

— Юрий Александрович, в этом году Всероссийский форум по орфанным заболеваниям пройдет уже в пятый раз. Как за последние пять лет изменились его цели и задачи?

— Концепция орфанного форума в том, чтобы предоставить пациентскому, экспертному сообществу площадку для диалога с органами власти. Она не требует никаких изменений, так как за эти годы показала свою эффективность.

Мы собираемся и обсуждаем все набравшее, выслушиваем все мнения, формулируем и формируем резолюцию форума. Когда мы составляли программу форума этого года, мы сами были удивлены, какое количество вопросов нам за эти годы удалось решить или по крайней мере сдвинуть с мер-

твой точки. Очень много изменений к лучшему происходит в лечении, в организации медицинской помощи и реабилитации пациентов с редкими заболеваниями. Мы глубоко убеждены, что Всероссийский форум по орфанным заболеваниям внес серьезный вклад в решение этих проблем. Более того, мы воспринимаем себя не только как площадку для обсуждения, но и как сообщество, способное предложить конкретные проекты и способы взаимодействия.

— Есть ли какие-то акценты в повестке форума в этом году?

— На предстоящем форуме особый акцент будет не только на лекарствах и диагностике, но и на организации медицинской помощи и реабилитации в регионах. Мы будем очень серьезно обсуждать, как правильно там организовать медицинскую помощь, вопросы создания специальных центров, вопросы взаимодействия, патронажа — направлений очень много. Еще одна тема, которая будет в центре внимания, но ей пока не уделяется должное внимание, — лечебное питание. Это очень важная часть при многих заболеваниях. Пациентам иногда не нужны лекарства, им нужно лечебное питание, без которого они просто умрут. То есть его значение огромно.

— Пять лет — большой срок... Как вы оцениваете динамику своих отношений с органами власти? Стало легче или сложнее вести диалог? **с 17**

здравоохранение

Редкий подход

По данным Минздрава, в России сейчас проживают по меньшей мере несколько десятков тысяч пациентов с редкими заболеваниями. Помимо терапии и лечения, необходимых им из-за основного диагноза, такие больные также нуждаются и в других медицинских манипуляциях, например стоматологических. При этом к стоматологии для орфанных пациентов предъявляются особые требования.

— практика —

«Казалось бы, когда ребенок с таким тяжелым диагнозом — практически не ходит, дышит с трудом, — не до зубов. Но это не так: наши подопечные тоже испытывают необходимость в стоматологической помощи — иногда даже в большей мере, чем обычные дети, и тем не менее объем доступных услуг для детей со спинальной мышечной атрофией (СМА), к сожалению, ограничен», — прокомментировала проблему директор благотворительного фонда «Семья СМА» Ольга Германенко.

Она объяснила, что основное заболевание — СМА — влечет за собой шлейф проблем со здоровьем. Слабость бульбарной мускулатуры и проблемы с дыханием становятся причиной искажения прикуса и всевозможных стоматологических проблем. Еще сложнее ситуация, когда ребенок вовсе не ест сам и питается через гастростому. «Когда рот не нагружен, не выполняет свою основную функцию, зубы могут расти в разные стороны или в несколько рядов, как у акулы. Все это заметно влияет на качество жизни и развитие ребенка. Родителям нужны регулярные консультации у всех возможных рисков, чтобы предупредить тяжелые ситуации, добавляющие еще больше проблем в их и так непростую жизнь», — добавила госпожа Германенко.

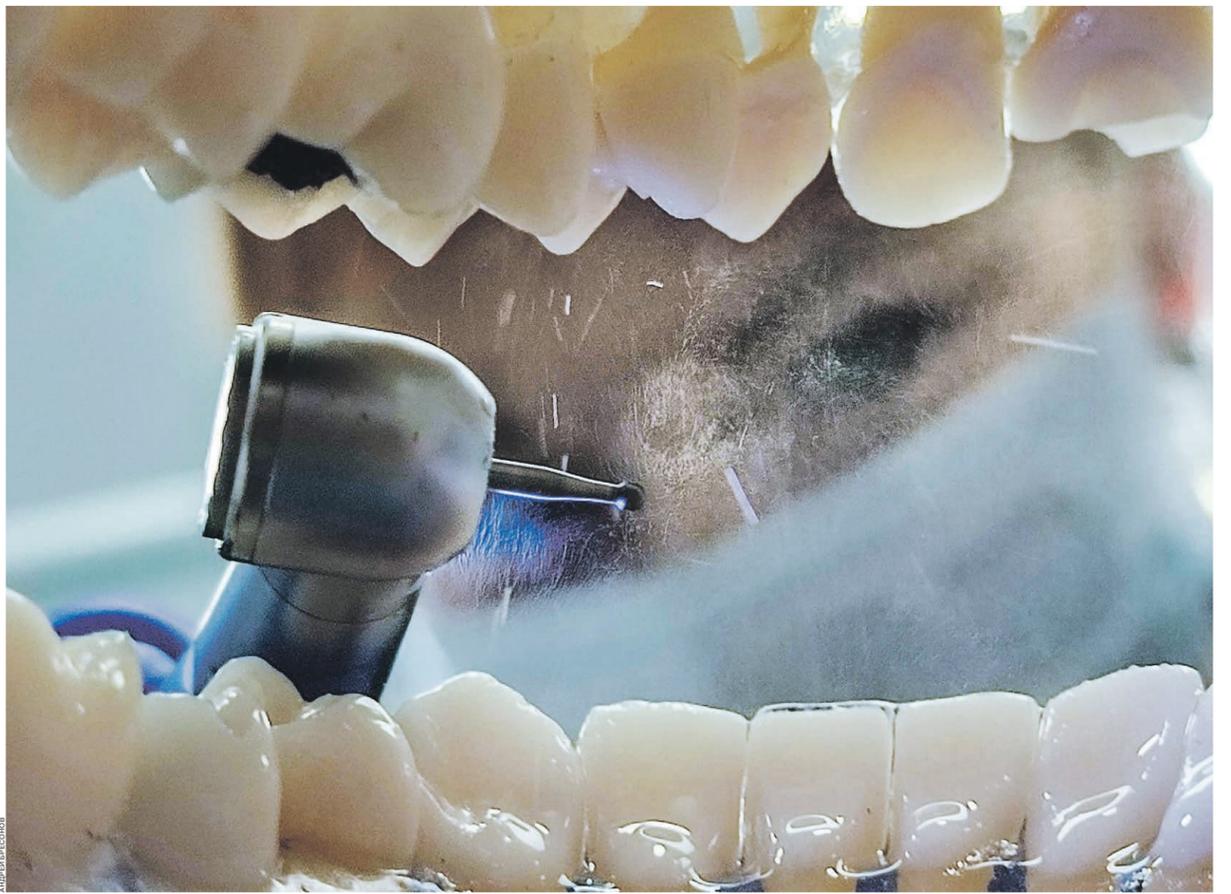
Председатель правления межрегиональной общественной организации «Помощь больным муковисцидозом» Ирина Мясникова соглашается, что такие проекты актуальны для людей с физическими деформациями: «Не всегда орфанное заболевание приводит к телесным изменениям — например, при муковисцидозе это происходит лишь в крайних случаях, когда заболевание выявлено слишком поздно. Так что, например, наши подопечные в большинстве ходят в обычные стоматологические клиники. Если говорить о других заболеваниях, например мукополисахаридозе, то, да, безусловно, любые манипуляции нужно проводить с осторожностью. Из-за деформации шейных позвонков

им нельзя принимать некоторые положения тела. Даже при посещении парикмахера приходится продумывать этот вопрос».

Рисков, которые могут возникнуть в процессе манипуляций, действительно немало, особенно если говорить о деформирующих тело заболеваниях. «Тяжелее всего с лежачими, нетранспортабельными детьми», — говорит Ольга Германенко. «В какой клинике смогут работать с таким пациентом? Вопрос даже не столько в самом лечении, сколько в его организации. Как ребенка привезти в клинику и возить по ней? Как его усадить в кресло, если он может только лежать, причем в определенной позе? Часто приходится сажать на маму и лечить так, но порой и этого недостаточно».

Еще одна частая проблема у инвалидов — челюстные контрактуры, из-за чего бывает невозможно широко открыть рот. Чтобы врачу было удобнее работать, используется ротаторасширитель, однако не каждый стоматолог осознает, какие могут быть последствия его применения. «Дело в том, что слабость бульбарной мускулатуры затрудняет сглатывание слюны. В положении лежа с ротаторасширителем во рту ребенок может попросту захлебнуться. Если вовремя не среагировать, возможен даже летальный исход. Поэтому очень важно, чтобы стоматолог был осведомлен обо всех рисках, уметь считывать сигналы с лица, чтобы быть способным понять состояние даже невербального пациента, а также быть обучен методам первой помощи таким людям», — добавила госпожа Германенко.

До последнего времени получить стоматологические услуги с учетом своих особенностей потребностей орфанные пациенты могли или в Москве на базе Морозовской ДГКБ, или в частном секторе. Например, на орфанных пациентов были ориентированы новосибирская клиника MagicKids, которая изначально была создана с целью лечения особенных детей, и московская Dental Fantasy, где лечение детей с инвалидностью выделено в отдельное направление. Однако появление государственно-



МИХАИЛ ВАСИЛЬЕВ

го фонда «Круг добра», который финансирует лечение детей с орфанными заболеваниями из средств федерального бюджета, что сокращает нагрузку на бюджеты регионов, позволило некоторым субъектам РФ сосредоточить усилия на том, чтобы адаптировать под нужды особенных пациентов свои учреждения.

Так, например, в апреле 2022 года правительство Удмуртии решило открыть отдельный челюстно-лицевой стационар на базе республиканской стоматологической поликлиники, где помощь детям с инвалидностью вывели в целое направление. Удмуртский Минздрав совместно с руководством поликлиники составил алгоритм лечения «сложных» детей: помимо медицинской они получают социальную помощь. Пациентов ставят на учет, оперируют, регулярно наблюдают и проводят их мягкую адаптацию для искоренения страха перед стоматологом и врачебными манипуляциями в целом. Как рассказала „Б“ заместитель председателя правительства Удмуртии Эльвира

Пинчук, все сотрудники стационара прошли обучение и получили необходимые навыки по работе с особенными детьми.

Она добавила, что увеличения финансирования по ОМС для реализации проекта не потребовалось: помощь оказывается в объемах, предусмотренных территориальной программой ОМС, но в более подходящих для этого условиях специализированного стационара. Дополнительные средства — 10 млн руб. — понадобились только для ремонта помещений и закупки оборудования.

«Проекту менее года, но у него очень серьезные перспективы: наша цель — в принципе снять остроту проблемы и выйти в режим плановой работы, а не навстречать упущенное. С начала работы стационара здесь наблюдаются более 400 человек. А всего в республике на учете состоят около 736 детей-инвалидов, которые нуждаются в стоматологической помощи. За два-три года мы планируем охватить всех детей из этой категории и установить диспан-

серное наблюдение за каждым», — подчеркнула Эльвира Пинчук.

Приобретенный опыт в поликлинике считают успешным и многообещающим. «Нуждаемость в санации полости рта под общим обезболиванием у детей-инвалидов очень востребована, — поделилась мнением главный врач поликлиники Наталья Пермякова. — Каждый год наблюдается приток патологии у детей, и инвалидность стали присваивать гораздо чаще, чем ранее. Кроме того, отсутствие возможности у данных пациентов посещения врача-стоматолога так часто, как необходимо, приводит к осложнениям и в последующем к удалению зубов, что, в свою очередь, влечет снижение качества жизни».

Подспорьем в решении вопроса стала деятельность «Круга добра», считают в удмуртском минздраве. По словам госпожи Пинчук, в 2022 году на обеспечение 1847 детей-инвалидов в Удмуртии медикаментами, медицинскими и лечебными питанием было направлено 80,7 млн руб.

из федерального бюджета и 14,5 млн руб. — из регионального. Затраты на обеспечение детей с орфанными заболеваниями препаратами, не входящими в перечень льготного лекарственного обеспечения, взял на себя «Круг добра». На сегодня в Удмуртии это 53 ребенка, за счет средств фонда для них закуплены лекарства более чем на 500 млн руб.

В фонде «Круг добра» работу в направлении полного лекарственного обеспечения орфанных пациентов расценивают именно как возможность дать регионам ресурсы сосредоточиться на других видах помощи семьям и в результате оказывать им комплексную поддержку. «Фонд решает наиболее серьезную проблему — с обеспечением дорогостоящими лекарствами и медицинскими препаратами, благодаря чему региональным властям, НКО, пациентских организаций, благотворительных фондов появляется больше возможностей сосредоточиться на других видах помощи», — рассказали „Б“ в пресс-службе фонда.

Варвара Колесникова

«Перенос пациентов с новыми редкими заболеваниями в программу РЖЗ позволит обеспечивать их необходимой терапией»

— мнение —

Часть пациентов с орфанными заболеваниями в России имеют право на лекарственную терапию за счет государственного бюджета только после наступления инвалидности. Однако они нуждаются в препаратах с момента постановки диагноза, и, как объясняет руководитель проектного офиса «Редкие (орфанные) болезни» Национального НИИ общественного здоровья им. Н. А. Семашко ЕЛЕНА КРАСИЛЬНИКОВА, поэтому пациентов с новыми редкими заболеваниями нужно переносить в программу редких жизнеугрожающих заболеваний.

С 2014 года в России существует заявительная система сбора информации и внесения нозологий в перечень редких (орфанных) заболеваний, утвержденный Минздравом. Последний раз он обновлялся в марте 2022 года и сейчас состоит более чем из 270 заболеваний. Однако вот уже более десяти лет ни одно заболевание из этого перечня не может стать частью двух других списков — программ высокозатратных нозологий (ВЗН) и перечня жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности (РЖЗ). Учет пациентов с орфанными заболеваниями, вошедшими в обе программы, ведется на федеральном уровне (регистры ВЗН и РЖЗ). И федеральная, и региональная программы предоставляют возможность получить льготное лекарственное обеспечение по факту постановки соответствующего диагноза из бюджета разного уровня. В то же время все пациенты с новыми редкими заболеваниями, для лекарственной терапии которых с мая 2012 года на территории РФ регистрируются препараты, имеют право на льготное лекарственное обеспечение за счет средств бюджетов субъектов РФ при наличии инвалидности. Такие пациенты не учитываются в федеральных регистрах и остаются «невидимками» для системы организации лекарственного обеспечения пациентов с орфанными заболеваниями.

О каких новых редких заболеваниях идет речь? Какое количество пациентов с такими диагнозами получают сегодня лекарственную терапию за бюджетные средства? Какие объемы финансовых средств выделяются на лекарственное обеспечение данной группы? Чтобы получить ответы на эти вопросы, мы опросили регионы РФ. Статистические данные о пациентах с новыми редкими заболеваниями, обеспеченных терапией в 2020–2021 годах, нам предоставили 25 субъектов. Однако анализ даже ограниченной информации позволяет сформулировать проблему новых редких заболеваний и предложить актуальные решения.



НИИ ОБЩЕСТВЕННОГО ЗДОРОВЬЯ ИМ. Н. А. СЕМАШКО

Если посмотреть на собранную статистику, то сразу обращает на себя внимание тот факт, что 77–78% пациентов с новыми редкими заболеваниями, обеспеченных лекарственной терапией за счет бюджетных средств, старше 18 лет, а это значит, что им недоступно финансирование за счет средств фонда «Круг добра» и их должны обеспечивать регионы. Такие пациенты не учитываются в федеральных регистрах, что ограничивает возможность рационального планирования объема оказания медицинской помощи и лекарственного обеспечения, существенно снижая их доступность.

Для указанных выше 25 субъектов были также учтены данные о количестве пациентов в региональных сегментах регистров ВЗН и РЖЗ, обеспеченных лекарственной терапией за счет бюджетных средств федерального и регионального уровней. Так, по итогам 2021 года, по данным субъектов, на их территории в совокупности проживали 12 619 пациентов с редкими заболеваниями, обеспеченных лекарственной терапией: 5896 детей и 6723 пациента старше 18 лет. Среди детей 30% учтены в федеральном регистре РЖЗ, еще 50% — в федеральном регистре ВЗН, а 20%, вероятно, учтены в регистре фонда «Круг добра», за счет средств которого получают лекарственное обеспечение дети с редкими заболеваниями, не вошедшими в государственные программы. Среди пациентов старше 18 лет 27% учтены в федеральном регистре РЖЗ, еще 33% — в федеральном регистре ВЗН, 40% не учтены в регистрах пациентов с редкими заболеваниями и получают лекарственную терапию только после установления инвалидности. Всего не менее 30% пациентов с орфанными

заболеваниями всех возрастов, проживающих на территории данных субъектов, не учитываются в соответствующих федеральных регистрах, а значит, реальные цифры будут отличаться от заявленных. Важно также обратить внимание, что на территории субъектов, статистические данные которых учтены в анализе, проживает 26% населения РФ (по данным Росстата на 31 декабря 2021 года), а это позволяет предположить, что абсолютные цифры по РФ в целом могут быть больше в четыре раза.

Статистика также указывает на наличие значительной когорты пациентов с орфанными заболеваниями, не учтенных системой здравоохранения как больные с редкой патологией и получающих льготную лекарственную терапию по факту установления инвалидности. Отсутствие учета таких пациентов в специализированных федеральных регистрах не позволяет оценить масштаб когорты, объем необходимой помощи, рассчитать потребность в финансировании и определить целевой источник такого финансирования, а главное — начать терапию с момента постановки диагноза, не ожидая инвалидизирующих последствий заболевания, часто необратимых и угрожающих жизни.

Выходом из сложившейся ситуации в рамках действующего правового поля может быть решение о расширении перечня РЖЗ за счет новых редких заболеваний, тем более что в 2019–2020 годах из перечня были исключены семь заболеваний. Опасения, что расширение перечня РЖЗ приведет к значительному увеличению расходов бюджетов субъектов РФ, высказываемые в публичных дискуссиях, являются избыточными. Фактически вследствие расширения перечня РЖЗ расходы бюджетов субъектов РФ останутся на прежнем уровне, так как и бюджет программы РЖЗ, и бюджет региональной льготы для пациентов-инвалидов являются частями общего бюджета субъектов РФ. То есть те расходы, которые уже сегодня регионы несут на лекарственное обеспечение пациентов с новыми редкими заболеваниями как пациентов-инвалидов, будут перенесены в программу РЖЗ, а источник останется прежним.

О каких объемах финансирования может идти речь? Из 25 регионов, предоставивших статистику по новым редким заболеваниям, только 15 направили информацию о расходах на лекарственное обеспечение пациентов с такими нозологиями. В 2020 году совокупные расходы составили 1 127 767 935 руб., в 2021-м — 998 888 516 руб., плановые расходы на 2022-й — 773 685 838 руб. Снижение расходов происходит за счет передачи детей с новыми редкими заболеваниями под опеку фонда «Круг добра». Только четыре субъекта предоставили информацию о дефиците финансирования

на указанные цели и отметили его рост. Субъекты заявили о наличии дефицита на лекарственное обеспечение пациентов с миодистрофией Дюшенна G71.0, мукополисахаридозом IVA E76.2 и спинальной мышечной атрофией G12. Большинство регионов не располагает данными о дефиците финансирования на лекарственное обеспечение пациентов с новыми редкими заболеваниями, так как рассчитать персонализированную потребность для единичных редких пациентов-инвалидов в рамках региональной льготы не представляется возможным. Согласно данным из 15 регионов, указанных выше, в 2021 году лекарственной терапией были обеспечены 1008 пациентов с новыми редкими заболеваниями. Исходя из информации о расходах, можно рассчитать среднюю стоимость лекарственной терапии для пациента — 990 960 руб. Если проанализировать количество пациентов и расходы этих же субъектов на лекарственное обеспечение в рамках перечня РЖЗ, то в 2021 году в тех же 15 регионах были обеспечены лекарственной терапией 1249 пациентов с РЖЗ, средняя стоимость лекарственной терапии для пациента составила 1 648 212 руб. Таким образом, можно сделать вывод о том, что бремя новых редких заболеваний в субъектах РФ даже с учетом недостатка информации является оптимистичным для региональных бюджетов.

Еще 27 регионов предоставили суммарные расходы на новые редкие заболевания без уточнения статистики пациентов по нозологиям. В 2020 году такие расходы составили 4 650 977 320 руб., в 2021-м — 4 036 330 896 руб., плановые расходы на 2022-й — 2 901 050 411 руб. И снова снижение расходов регионов следует связывать с работой фонда «Круг добра» и лекарственным обеспечением детей с новыми редкими заболеваниями за счет его средств. Только семь субъектов предоставили данные о дефиците, которые указывают на то, что объем недостающих средств растет.

Десять лет развития программы РЖЗ показали способность исполнительных органов государственной власти субъектов РФ в сфере охраны здоровья построить систему организации помощи пациентам с редкими жизнеугрожающими заболеваниями, спланировать и бюджетировать в необходимом объеме лекарственное обеспечение указанной группы больных. Сегодня в программе РЖЗ необходима лекарственная терапия получают 65% пациентов, включенных в федеральный регистр, что вполне сопоставимо с потребностью у данной когорты больных. Перенос пациентов с новыми редкими заболеваниями в программу РЖЗ позволит наладить их учет и обеспечивать необходимой лекарственной терапией до наступления инвалидности, сохраняя качество жизни и здоровье.

Здравоохранение

Долгое детство

За последние годы правительству РФ удалось усовершенствовать систему обеспечения препаратами и лечением российских пациентов с редкими заболеваниями. Теперь внимание требуется детям с ультраредкими наследственными болезнями, в числе которых, например, частичная моносомия. Именно такой диагноз в 2019 году поставили мальчику Марку из города Бийска в Алтайском крае.

— случай —

Сейчас в России, по разным оценкам, проживают 40–50 тыс. пациентов с редкими заболеваниями. Хотя ряд проблем с обеспечением таких людей лекарствами и необходимой терапией остается, за последние годы ситуация изменилась к лучшему, в частности, благодаря появлению федерального фонда «Круг добра», который взял на себя лечение детей, чьи диагнозы требуют наибольших государственных расходов (подробнее см. «Ъ» от 27 ноября). В то же время по законодательству РФ к числу редких заболеваний отнесено только 270 диагнозов, в то время как во всем мире число орфанных заболеваний исчисляется тысячами. Далеко не для всех из них уже существует эффективная терапия, однако это не значит, что таким пациентам нельзя помочь, хотя бы облегчив симптомы их болезни.

Девятилетний Марк — третий ребенок в семье Натальи и Сергея Ильченко, которые проживают в Алтайском крае в городе Бийске. Как рассказывает Наталья, беременность протекала нормально и сын родился в срок, однако в младенчестве ребенок мало спал и много кричал. Довольно быстро врачи предположили у него перинатальное поражение центральной нервной системы. «Марк позже, чем другие дети, начал ходить, долго не начинал говорить, не мог себя обслуживать. На мои вопросы о том, что происходит с ребенком, врачи обычно отвечали, мол, он мальчик, а для мальчиков это нормально. Вместо лечения мне предлагали подождать, пока он пойдет в детский сад», — говорит Наталья. Но когда Марк в возрасте четырех лет пошел в детский сад, его состояние, напротив, ухудшилось. «Ему было тяжело в незнакомой обстановке с незнакомыми людьми вокруг. Он нервничал, из-за этого начали сбесночные отиты, рвота, ОРВИ», — говорит она.

«Тогда невролог сказала, что Марк похож на неклассического аутиста, и развела руками: мол, ничего с этим не сделать. Мы продолжали принимать ноотропы, которые часто назначал врач. Когда к этим симптомам добавились новые — проблемы с желудочно-кишечным трактом, со сном, я пошла к заведующей нашей городской поликлиники и потребовала направить нас в психоневрологический диспансер в Барнауле. Там на приеме врач осмотрел Марка и тут же сказал мне: «Де же вы были раньше?» — рассказывает Наталья.

Позже, продолжает Наталья, они с Марком попали на прием к психиатру в частной клинике в Бийске, который распisał ребенку план обследований и, в частности, порекомендовал посетить генетика. Он, в свою очередь, посоветовал семье сделать исследование кариотипа и провести хромосомный микроматричный анализ.

Чтобы сделать эти исследования, Наталье с Марком пришлось ехать в Томск — именно там находится ближайший медицинский центр, где занимаются такими анализами, Томский национальный исследовательский медицинский центр Российской академии наук. Его врачи и установили, что у Марка синдром микроделеции 2q23.1 (делеция в гене MBD5).

Синдром микроделеции 2q23.1, или частичная моносомия, — редкое хромосомное заболевание, для которого характерно изменение кариотипа. В норме у человека определяются 23 хромосомы, каждая из которых имеет гомологичную пару. Если одна из них лишается своей пары, то развивается моносомия. При синдроме микроделеции 2q23.1 происходит делеция или дупликация участка длинного плеча 2-й хромосомы в положении 23.1, при этом в «критическом регионе» находится ген MBD5 или его часть. Всего в группе схожих заболеваний 26 синдромов, такие как синдром Ди Джорджи, синдром Прадера—Вилли, синдром Ангельмана, синдром кошачьего крика. У пациентов

с одним из таких диагнозов чаще всего диагностируют нарушение когнитивных функций, задержку речевого развития и задержку роста. Частота возникновения большей части микроделеционных синдромов крайне невелика: порядка одного случая на 50–100 тыс. новорожденных.

«Когда после стольких лет мне сообщили окончательный диагноз моего сына, я была шокирована. Про это заболевание никогда не слышали не только мы сами, но и большинство врачей, с которыми мы общались. Даже в интернете на русском языке про моносомию можно найти совсем немного информации. То есть это редчайшая болезнь — и вот она досталась Марку», — рассказывает Наталья.

Как объясняет Наталья, всего в мире детей с похожим диагнозом не более 500 человек. «В Facebook (соцсеть принадлежит компании Meta, признанной экстремистской и запрещенной в РФ. — «Ъ») есть группа, где общаются родители таких детей. Многие из них живут в США, Италии, Испании, Англии, Канаде и т. д. В России, насколько мне известно, с таким диагнозом есть еще только один ребенок», — говорит она. «Понятно, что если нас двое на всю страну, то никакая национальная ассоциация невозможна, только международная. А примкнуть к кому-то еще в России довольно сложно — у тех же ассоциаций пациентов с синдромом Ангельмана, с синдромом Кабуки похожие нарушения здоровья, но затронуты другие гены. Они не могут нам помочь», — говорит Наталья.

По ее словам, через некоторое время после того, как Марку поставили диагноз, она смирилась с тем, что заболевание сына нельзя вылечить. «Лечения нет, как говорят генетики, и я это понимаю. Но мне хотелось бы, чтобы он стал более самостоятельным в быту. Чтобы он мог ходить в магазин, сам себе что-то приготовить. Ведь мне уже 47 лет и когда-нибудь я не смогу быть рядом с ним», — говорит Наталья.

Сейчас Марк ходит в школу в Бийске, где могут учиться дети с ментальными нарушениями. «У школы хороший директор, к нам относятся нормально, стараются помочь. Но все равно Марк требует особого подхода — например, он быстро утомляется, начинает отвлекаться уже после 20–25 минут учебы,



Несмотря на свою болезнь, Марк очень жизнерадостный и дружелюбный ребенок, говорит мама мальчика Наталья

не может писать, так как нарушена мелкая моторика», — говорит Наталья. Из всех предметов больше всего Марку нравится музыка, и родители даже купили ему диско-шар, который светится разными цветами и воспроизводит его любимые мелодии. «Марк у нас и танцевать любит, ну, как умеет», — улыбается Наталья.

МНЕНИЕ

Медицинский генетик АЛЕКСАНДР РЕЗНИК — о перспективах излечения редких наследственных заболеваний

Сейчас, наверное, уже нельзя найти человека, который не слышал бы о «Золгемсе» — препарате, который предназначен для лечения пациентов со спинальной мышечной атрофией (СМА). Это лекарство, стало, вероятно, самым известным из линейки генотерапевтических препаратов, которые предназначены для лечения наследственных заболеваний. С его появлением стало окончательно ясно, что генетические заболевания можно лечить, однако пока далеко не все.

Механизм терапии частичной моносомии пока даже сложно себе представить. Ведь в организме человека триллионы клеток и при таком диагнозе каждая из них содержит генетический дефект, связанный с отсутствием какого-то количества генов, которые располагались на удаленном участке хромосомы. Чтобы излечить частичную моносомию, нужно было бы придумать технологию, которая позволила бы доставлять сразу во все клетки какой-то агент, связанный, в свою очередь, с дополнительной



хромосомой или ее элементом. По сравнению с этой задачей даже задача, которую позволяет решать применение «Золгемса», высокотехнологичного генного препарата, относительно проста и состоит в том, чтобы доставить в организм пациента с помощью вируса функционально полноценный ген SMN1.

В перспективе, конечно же, ученые смогут расширить линейку таких препаратов — правда, в обозримой перспективе их разработка будет очень дорогой. Ее удешевлению могут способствовать инвестиции в развитие фармацевтической отрасли: в строительство производств,

в высокотехнологичное оборудование, в повышение квалификации ученых и фармацевтов. Благодаря этому в отрасли смогут работать несколько конкурирующих игроков, которые, в свою очередь, будут вынуждены оптимизировать свои расходы, а значит, и стоимость создаваемого ими препарата.

Пока, исходя из динамики развития науки в разных странах за предыдущие десятилетия, можно предполагать, что быстрее всего такие разработки будут появляться в США. Именно там сосредоточены максимальный объем необходимых для развития генетики ресурсов, в первую очередь финансовых. В России, безусловно, существует мощная школа генетических исследований, благодаря чему российские ученые успешно работают в научных коллективах в других странах. Постепенно та инфраструктура, которая необходима для успешной научной работы, начинает развиваться и здесь, в частности благодаря Российскому научному фонду, который оказывает финансовую и организационную поддержку фундаментальным и поисковым научным исследованиям, занимается подготовкой научных кадров, развитием научных коллективов.

Еще одно любимое занятие мальчика — смотреть, как летают воздушные шары. «Мы ему часто покупаем такой шарик или даже несколько, выходим вместе с ним на улицу и ждем, пока он постепенно по одному выпускает их в небо. Стоит потом счастливый, смотрит вверх долго-долго. А мы все: я, папа, брат и сестра — смотрим на него», — говорит Наталья.

По ее словам, Марк очень любит свою семью, хотя, конечно, особенная связь у него именно с матерью. «Он меня всегда спрашивает, когда папа на работе, когда он вернется. Про сестру, когда она поступила и уехала на учебу в Новосибирск, все время упоминает. Вот сейчас уже переживает, что его старший брат, которому 17 лет, тоже скоро уедет — ему пора поступать в университет в другом городе», — рассказывает Наталья. — Но, конечно, из всех близких все-таки именно я провожу с ним больше всего времени — и это счастье. Ведь Марк, несмотря на свой возраст, зачастую ведет себя еще как маленький ребенок, который только учится многим вещам. Такое у него долгое детство. А любая мама всегда радуется, когда ее ребенок начинает осваивать новое».

Чтобы полноценно развиваться дальше, по словам Натальи, ее сыну нужно получить профессиональную консультацию психиатра, который разработает протокол ведения ребенка с выявленными у него ментальными нарушениями. «У нас же в городе нет специалиста, который работал бы именно с теми расстройствами психики, в основе которых лежат генетические нарушения. Мы бы хотели попасть на обследование в один из федеральных психиатрических центров, но нам говорят, что это сложно, по ОМС не принимают», — говорит она. Также необходимо, чтобы врачи провели более тщательное обследование желудочно-кишечного тракта ребенка и решили вопрос о правильном назначении противоэпилептических препаратов, так как на фоне предложенной

терапии у Марка начались приступы эпилепсии в виде галлюцинаций.

«Своевременно получить консультацию врачей мы не можем — приходится долго ждать талонов, навязываться и обивать пороги государственных медицинских учреждений», — говорит Наталья. — Своих средств у нас давно не хватает, чтобы без препятствий получить необходимый набор услуг, а на местном уровне нас как будто не замечают». Как рассказывает Наталья, поскольку в четыре года Марку присвоили инвалидность, он получает соответствующую пенсию — около 19 тыс. руб. плюс 2 тыс. руб. доплаты из федерального бюджета. «Раньше я работала, но когда состояние Марка стало ухудшаться и ему потребовался постоянный присмотр, мне пришлось уволиться. Теперь я получаю пособие по уходу за ребенком-инвалидом — это еще 11,5 тыс. руб.», — говорит Наталья. Статус инвалида позволяет мальчику получать бесплатные лекарства, если те препараты, которые ему выписывает врач, входят в список ЖНВЛП. «По льготе мы получаем противоэпилептический препарат и лекарства от анемии, но это только малая часть того, что он принимает. В основном приходится докупать за свой счет», — рассказывает Наталья. Еще одна статья расходов семьи — на терапию для Марка. Большинство обследований, приемов врачей, а также занятий со специалистами платные. «В нашем городе некоторых специалистов нет, и необходимые обследования не пройти — приходится ездить в Барнаул», — отмечает она.

Но все равно, говорит Наталья, даже несмотря на то что здоровье сына требует постоянного внимания, она не отчаивается. «Я верю, что у нашей семьи все будет хорошо. Нам нужно только решить проблемы с обследованиями Марка, как-то отладить этот процесс», — добавляет она. Я понимаю, что наш случай для российского здравоохранения во многом уникальный, но ведь государство могло же бы как-то нам помочь».

Анастасия Мануйлова

СТАТИСТИКА СИСТЕМЫ ЛЕКАРСТВЕННОГО ОБЕСПЕЧЕНИЯ ПАЦИЕНТОВ С РЕДКИМИ ЗАБОЛЕВАНИЯМИ В РФ

ЧИСЛО РЕДКИХ ЗАБОЛЕВАНИЙ В РФ (ПЕРЕЧЕНЬ МИНЗДРАВА ОТ 31 МАРТА 2022 ГОДА)



ЧИСЛО РЕДКИХ ЗАБОЛЕВАНИЙ В МИРЕ (ПО ДАННЫМ ВОЗ)



ЧИСЛО ПАЦИЕНТОВ С РЕДКИМИ ЗАБОЛЕВАНИЯМИ В РФ (ЧЕЛ.)

В перечне жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний



В программе 14 высокочастотных нозологий



ЧИСЛО ПАЦИЕНТОВ С РЕДКИМИ ЗАБОЛЕВАНИЯМИ В МИРЕ



ЛЕКАРСТВЕННОЕ ОБЕСПЕЧЕНИЕ ПАЦИЕНТОВ С РЕДКИМИ ЗАБОЛЕВАНИЯМИ В РФ

Перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности (финансируется из бюджетов регионов РФ)

17 заболеваний

Перечень 14 высокочастотных нозологий (финансируется из федерального бюджета РФ)

14 заболеваний

Перечень редких заболеваний фонда «Круг добра»

61 заболевание

РЕГИОНЫ С МИНИМАЛЬНЫМ ЧИСЛОМ ПАЦИЕНТОВ С РЕДКИМИ ЗАБОЛЕВАНИЯМИ (МЕНЕЕ 50 ПАЦИЕНТОВ)



ТОП РЕГИОНОВ ПО ЧИСЛУ ПАЦИЕНТОВ С РЕДКИМИ ЗАБОЛЕВАНИЯМИ (ЧЕЛ.)



«Данные реальной клинической практики очень востребованы»

Благодаря информатизации здравоохранения врачи получают возможность собирать о своих пациентах все больше данных, полученных в условиях реальной клинической практики. Такая статистика по сравнению с информацией из клинических исследований обладает большей достоверностью и позволяет лучше оценить эффективность той или иной терапии. Председатель совета директоров Aston Health **Антон Артёмов** и руководитель отдела стратегического консалтинга компании **Александр Иванов** — о том, как должно быть организовано ведение регистров пациентов и как информация, которая собирается с их помощью, может быть полезна для терапии орфанных заболеваний.

— прямая речь —

— Регуляторы различных стран все чаще говорят о необходимости использовать в работе систем здравоохранения данные реальной клинической практики. Не могли бы вы пояснить, как они могут дополнить информацию, которую можно получить при помощи классических клинических исследований?

АНТОН АРТЁМОВ: Действительно, основой доказательной медицины долгое время считались результаты рандомизированных контролируемых исследований, однако сейчас мы видим, что медицинское и научное сообщества все больше интересуются данными из реальной клинической практики (РКП), а также доказательствами, полученными на ее основе. РКП — это данные, которые врачи собирают о состоянии пациента на протяжении всего периода наблюдения за ним. Они отличаются от данных клинических исследований, в частности, тем, что позволяют оценить, как тот или иной препарат или технология работают в неидеальных условиях. У данных из реальной клинической практики нет ограничений по экстраполяции, в отличие от данных клинических исследований, так как под наблюдением изначально оказывается большая группа пациентов. Благодаря этим качествам данные РКП очень востребованы, особенно сейчас, когда мы видим, что технологии создания лекарств и медицинских вмешательств постоянно усложняются.

АЛЕКСАНДР ИВАНОВ: Другая причина роста интереса к данным РКП — расширение возможности для сбора и анализа информации о пациентах. Благодаря информатизации здравоохранения мы можем отслеживать со-

стояние здоровья людей от момента постановки диагноза на протяжении всей их жизни и оценивать, как на них влияют различные подходы к лечению. Делать это, в частности, можно с помощью различных регистров и регистров пациентов, где можно систематически собирать данные об отклике на терапию.

— В России действительно существует несколько десятков различных систем сбора данных о пациентах. Но позволяют ли их дизайн аккумулировать валидные данные?

А. И.: С этим есть несколько проблем, и, как мне кажется, партнерство государства с коммерческими игроками отрасли здравоохранения могло бы позволить их решить. Да, в России с начала 2010-х годов достаточно активно развивается информатизация здравоохранения, однако в отсутствие каких-то общих требований сложилась ситуация, когда у каждого региона может быть своя ИТ-система для сбора данных о пациентах. Более того, иногда несколько систем параллельно используют одно учреждение. Это приводит к тому, что, с одной стороны, многие данные дублируются, например при переезде пациента из региона в регион. С другой



Антон Артёмов

стороны, существование нескольких информационных систем, которые не интегрированы между собой, приводит к росту нагрузки на врача, которому приходится вручную заносить данные о состоянии пациента сразу в несколько баз. Помимо этого возникает вопрос о валидности таких данных.

— Каким вы видите решение этой проблемы?

А. А.: Оно, конечно же, должно быть комплексным. На примере своей работы мы видим, что одна компания может взять на себя организацию всех этапов процесса работы регистра: от создания информационной базы до экспертной помощи в принятии решения по терапии пациентов на основе данных РКП. Так, с 2016 года мы совместно с Ассоциацией медицинских генетиков и Медико-генетическим центром имени Бочкова ведем проект «Аудит выполнения неонатального скрининга и оказания медицин-

ской помощи пациентам с орфанными заболеваниями». Сейчас программа аккумулирует информацию по 11 нозологиям, включая болезнь Помпе, муковисцидоз и миодистрофию Дюшенна, и располагает данными более чем о 10 тыс. пациентов.

Регистрация пациентов имеет огромное научно-практическое значение, так как позволяет обобщить имеющиеся данные по распространенности наследственных заболеваний и оценивать динамику течения болезни с учетом применения лекарственной и нелекарственной терапии. Это, в свою очередь, позволяет оценивать и прогнозировать потребность в объемах и методах диагностики, а также специализированной и высокотехнологичной медицинской помощи больным в России в целом и в субъектах РФ.

С 2011 года мы также являемся оператором российского Федерального регистра больных сахарным диабетом, который занимает первое место в мире по количеству лет наблюдений. Данные, которые в нем содержатся, легли в основу научной статьи «Тенденции в отношении частоты случаев диагностированного диабета: многострочной анализ совокупных данных по 22 миллионам диагнозов в странах с высоким и средним доходом», которая в 2021 году была опубликована в ведущем медицинском научном журнале The Lancet.

А. И.: Пример этой публикации показывает, насколько важно при дизайне клинических регистров учитывать возможность доступа к ним для врачей. Сбор данных сам по себе не способен никому помочь — важно, чтобы у людей, которые хотят этим заниматься, была возможность его проанализировать, конечно же, с учетом требований по защите персональных данных пациентов. К сожалению, сейчас большая часть государственных систем сбора информации сфокусирована на статистике, которая позволяет учитывать в первую очередь динамику расходов на лечение пациентов.

— Каким образом вы как оператор этих регистров проверяете достоверность данных, которые в них вносят врачи?



Александр Иванов

— Мы используем два подхода: логическая проверка при вводе данных и анализ уже введенных данных для поиска отклонений и подозрительных кластеров данных. Если к данным есть вопросы, наш контактный центр связывается с врачом и уточняет информацию.

Это позволяет минимизировать человеческий фактор, о котором я уже говорил, — усталость и невнимательность специалиста, вынужденного заносить данные о пациенте в различные информационные системы. В целом практика ведения регистров подвела нас к мысли о необходимости создания стандартов их наполнения по аналогии с Good Clinical Practice, существующим международным стандартом этических норм и качества научных исследований, которые подразумевают участие человека в качестве испытуемого. Я надеюсь, что мы сможем представить свое видение такого документа для обсуждения отраслевым сообществом в ближайшее время. Важность появления таких стандартов нельзя переоценить — в этом году в России стартовал скрининг новорожденных на 40 наследственных заболеваний, следовательно, в систему здравоохранения начал поступать огромный объем данных о новых пациентах. В этой ситуации необходимо оптимизировать существующие подходы к ведению регистров и сделать такие базы данных полностью пригодными для работы врачей.

Анастасия Мануйлова

ASTON HEALTH

Aston Health с 1999 года собирает, систематизирует, обрабатывает и анализирует большие объемы маркетинговой и клинической информации, занимается логистикой биоматериалов, включая термолабильные, по территории России и стран ЕАЭС, разрабатывает market access стратегии для фармпроизводителей, проводит экспертные советы и круглые столы с лидерами мнений по вопросам здравоохранения, является создателем PhatCompass и мультимедийного ресурса Офарме.рф.

Деятельность компании посвящена изучению и развитию рынка здравоохранения, включая такие терапевтические области, как онкология и онкогематология, гематология, гастроэнтерология, кардиология, пульмонология, ревматология, вирусология, эндокринология и орфанные заболевания. Aston Health помогает решать

стратегические и тактические задачи фармпроизводителям, дистрибуторам, аптечным сетям, медицинским и пациентским сообществам, государственным учреждениям и профессиональным ассоциациям, работающим на рынке здравоохранения.

Основные направления работы: наблюдательные программы и клинические регистры пациентов; диагностические программы и подбор пациентов; маркетинговые исследования, GR и Market Access программы; программы поддержки пациентов; образовательные программы для врачей и пациентов; анализ и экспертиза фармацевтического рынка.

«Орфанных пациентов не так мало, как кажется»

— прямая речь —

— Что касается самого диалога, то нам стало легче работать с властями. К сожалению, это происходит в основном на федеральном уровне, где уже вошло в норму взаимодействовать с пациентским сообществом, прислушиваться к нему и воспринимать его как очень важный элемент построения пациентоориентированной модели здравоохранения. Хочу отметить, что и само сообщество стало более профессиональным, и значительную позитивную роль в этом сыграли Всероссийский союз пациентов и Конгресс пациентов. Они проводят различные тренинги, оказывают консультационную поддержку. Если раньше мы могли говорить только о нескольких пациентских сообществах, обладающих медицинской и юридической грамотностью, то теперь их гораздо больше.

— Можно ли говорить, что взаимодействие пациентского сообщества с госорганами сейчас стало дорогой с двусторонним движением?

— Однозначно, да. Мы взаимодействуем с госорганами на разных экспертных уровнях, решаем задачи, находим понимание в решении тех вопросов, которые были поставлены на предыдущих форумах. Это действительно диалог с властью, а не монолог пациентского сообщества.

— Одной из тем для обсуждения на форуме станет неонатальный скрининг. Как вы оцениваете старт этой программы в январе текущего года?

— Неонатальный скрининг — это очень позитивный и правильный шаг. Но нас волнует, что его результатом, безусловно, будет увеличение пациентов с орфанными заболеваниями. Собственно говоря, неонатальный скрининг и направлен на то, чтобы на ранних этапах выявлять таких пациентов. Но что делать с этими пациентами, особенно в регионах, потом? Как их правильно маршрутизировать, направлять на дополнительную диагностику, записывать в регистры, писать необходимые заявления, заявки на лекарственное обеспечение? Это вопрос, на который у нас пока нет ответа, и нас это очень беспокоит.

Опять же, чтобы обеспечить новых пациентов всем необходимым, нужны средства на терапию, а это, в свою очередь, требует дополнительных государственных расходов. Ведь сам по себе диагноз, если лечение не предоставляется, человеку не поможет.

— Но можно ли считать, что с появлением неонатального скрининга мы полностью решили проблему с диагностикой орфанных заболеваний?

— Да, для новых пациентов. Диагностику тех, кто родился до 2023 года, все равно предстоит проводить с помощью существующих институтов здравоохранения. Тут очень важна орфанная настроенность. Она должна быть у врачей-практиков общего звена, чтобы при наличии определенных признаков они сразу же направляли пациентов к другим специалистам на более углубленную диагностику. Этого сейчас крайне не хватает, поэтому надо еще многое сделать в медицинском образовании, чтобы такая внимательность появилась. И, наконец, настроенность самого населения. Конечно, невозможно, знать все отличительные черты разных заболеваний, но есть интернет. Но тут важно, чтобы родители, увидев какие-то признаки у ребенка, не просто что-то искали на различных ресурсах и самостоятельно ставили диагнозы, а получали достоверную профессиональную информацию, а потом попадали к хорошим специалистам.

— Вероятно, свою роль может играть и стигматизация орфанных пациентов. Или ее уже не существует в России?

— На мой взгляд, ситуация улучшается, мировоззрение меняется и такой стигмы уже нет. Если мы говорим об общей статистике, то орфанных паци-



Юрий Журав

ентов не так мало, как кажется. Их огромное количество — сотни тысяч, это очень серьезная популяция. Рецидивы, конечно, бывают. Но здесь очень важно общественное мнение, позиция СМИ. Помогает и то, что тематика орфанных заболеваний в последнее время постоянно на слуху, и это в том числе помогает бороться с различными штампами, которые, к сожалению, еще присутствуют.

— Вы уже отметили, что на федеральном уровне проблемы пациентов с орфанными заболеваниями достаточно успешно решаются, но в региональных ситуациях иная. Она совсем не изменилась за эти пять лет?

— Увы, проблемы старые — нехватка средств или отсутствие приоритетов у региональных властей в лечении когорты пациентов с орфанными заболеваниями. К сожалению, по ряду заболеваний единственная возможность получить лечение — только через суд. Однако суды могут длиться так долго, что решение принимают, а человек уже скончался от своего заболевания. Ряд региональных пациентских организаций о таких случаях нам сообщал. Это трагедия просто, когда человек не может дожить до получения препарата. Мы считаем, такой механизм не может быть нормальным в реализации социальных гарантий. Права пациентов записаны в законе, так почему они вынуждены идти в суд?

Мы возлагаем большие надежды на декабрьское поручение президента о передаче под эгиду фонда «Круг добра» других жизнеугрожающих орфанных заболеваний. Тем самым расширился список детских заболеваний, финансовое обеспечение которых осуществляется за счет данного

фонда. Это шаг к тому, что лечение детей от регионов будет передано в «Круг добра». Останется, конечно, вопрос взрослых пациентов, и он тоже в дальнейшем будет требовать своего решения.

— Может ли Всероссийский форум пациентов с орфанными заболеваниями решить такие задачи и подтолкнуть регионы к этому?

— К сожалению, регионы слабо слышат форумы или пресс-конференции. Должен быть посыл от федеральных органов власти: и законодательных, и исполнительных. Кроме того, во Всероссийском союзе пациентов хотели бы, чтобы наиболее дорогостоящие заболевания и взрослых, и детей были полностью переданы под опеку федерального бюджета.

— Возможно ли создание фонда аналогичного «Кругу добра», но для взрослых пациентов? Или федерального бюджета достаточно?

— Мы не уверены в целесообразности такого фонда. У нас есть такая система, как высокотратные нозологии (федеральная целевая государственная программа, по которой осуществляется обеспечение дорогостоящими лекарственными препаратами лиц с редкими тяжелыми заболеваниями), и плодить фонды не факт, что правильно. Но это решает государство. Мы как пациенты сказали бы: «Как угодно делайте, но только решайте эту проблему».

— В 2022 году логистика многих товаров из-за рубежа в РФ осложнилась из-за санкций западных стран. Сказалась ли эта ситуация как-то на доступности препаратов для орфанных пациентов?

— Санкции не сказались на пациентах напрямую, но повлияли косвенно. Усложнились логистика, взаиморасчеты, доступ к определенным современным инновационным реактивам, которые требуются для диагностики или контроля лекарственного обеспечения. Прямых запретов на поставки в Россию лекарств нет, и никто из фармкомпаний вроде бы не ушел, но общий дефицит лекарств существует. Например, в списке потенциально дефицитных лекарств Минздрава, который был опубликован в одном из центральных СМИ, есть иммуноглобулины. Они требуются при лечении огромного количества заболеваний, включая часть орфанных. Перебоя с препаратами, да, есть, мы понимаем, что они чаще всего носят временный характер, но это не значит, что не надо ничего делать. В каждом конкретном случае надо разбираться и принимать меры.

— Из-за проблем с логистикой препаратов из других стран вопрос о том, какие зарубежные лекарства можно заменить на отечественные, стал обсуждаться чаще. Как вы считаете, соотносимы ли они по качеству с зарубежными?

— Пациентам, как и врачам, нужно разнообразие препаратов. Но если появляются дженерики, на рынке все равно должны оставаться и оригинальные препараты. Что касается эффективности и качества российских препаратов, они в целом все соответствуют существующим требованиям. Но и пациенты, и врачи говорят, что качество дженериков различается, и не всегда российский аналог самый плохой. Наоборот, мы сейчас чаще слышим, что они очень неплохого качества, а вот такие же препараты из других стран, не буду указывать конкретно каких, не всегда настолько эффективны, как хотелось бы. И говоря об аналогах, нужно отметить, что система фармаконадзора требует совершенствования. Потому что далеко не всегда, к сожалению, врачи заявляют о нежелательных явлениях, которые наблюдают пациенты. Причем это касается не только дженериков, но и вообще всех препаратов: и оригинальных, и воспроизведенных.

Интервью взяла Наталья Любезнова

здоровоохранение

Употреблять не рекламируется

Продажи российских лекарств и биологически активных добавок (БАД) в 2022 году выросли на фоне увеличения их рекламных бюджетов. Впервые сразу шесть локальных производителей вошли в топ-10 крупнейших фармкомпаний по инвестициям в телевизионную рекламу. Тем не менее западные игроки не спешат терять позиции в рознице, переключившись на другие, не столь очевидные каналы продвижения.

— медиапотребление —

Специально для „Ъ“ Twiga Data Solutions (входит в маркетинговую группу Twiga CG) на основе данных Mediascore составила топ-10 крупнейших рекламодателей на телевидении среди фармкомпаний по итогам 2022 года (см. подробное таблицу). На такое продвижение своей продукции рекламодатели фарминдустрии направляют до 80–85% своих медиабюджетов, поясняют аналитики. В прошлом году десятка фармпроизводителей, вошедших в рейтинг, потратила на эти цели совокупно почти 26,2 млрд руб., или 90,6% общего объема средств, вложенных всеми компаниями отрасли в ТВ-рекламу.

При этом состав лидеров по вложениям в такую рекламу среди фармпроизводителей в 2022 году сильно изменился. На смену

западным игрокам, многие из которых объявили о приостановке рекламной деятельности в России после начала военной операции на Украине, пришли российские. В итоге доля их инвестиций в общий объем бюджетов телерекламы всех фармкомпаний выросла с 32,4% до 50,4% год к году, согласно оценкам Twiga Data Solutions.

В рейтинг попали шесть локальных производителей, причем пять из них новые — «Биннофарм Групп» (с инвестициями 2,3 млрд руб.), «Петровакс» (1,9 млрд руб.), «Материя Медика» (1,6 млрд руб.), «Эвалар» (1,2 млрд руб.) и «ПФК Обновление» (74 млн руб.). Все они увеличили рекламные бюджеты в среднем в три раза. Самая высокая динамика у «Петровакса»: компания вложила в рекламу на телевидении на 565% больше, чем в 2021 году. На первом месте второй год под-

Крупнейшие рекламодатели на телевидении среди фармацевтических компаний в 2022 году

Место	Компания	Медиаинвестиции (млрд руб.)
1	«Отисифарм»	3,51
2	«Биннофарм Групп»*	2,36
3	Stada CIS	2,21
4	«Петровакс»	1,91
5	«Материя Медика»	1,59
6	«Эвалар»	1,21
7	Dr. Reddy's Laboratories	1,16
8	Sanofi Aventis	0,8
9	«ПФК Обновление»	0,74
10	GSK	0,71

*Без учета «Нивармедик» за январь 2022 года. Источник: расчеты Twiga Data Solutions на основе данных Mediascore.

ряд «Отисифарм» с инвестициями 3,5 млрд руб., что на 3% меньше, чем годом ранее. Вторую позицию, вложив в телерекламу 2,3 млрд руб., заняла «Биннофарм Групп». В «Петроваксе» и «Отисифарме» на запросы „Ъ“ не ответили. Получить комментарий «Биннофарм Групп» оперативно не удалось. В «Эваларе» уточнили, что продолжает наращивать медиаприсутствие в 2023 году, причем акцент будут делать именно на аналога импортных брендов.

При этом западные фармпроизводители, ранее занимавшие большую долю рекламного телерынка, сократили инвестиции

в эту область в среднем на 65%, по данным Twiga Data Solutions. Среди них — Sanofi Aventis, Bayer, GSK, Abbott Laboratories, Berlin-Chemie Menarini Group, Sandoz Farma, Teva, Johnson & Johnson. В Bayer отказались от комментариев, остальные компании (в том числе Haleon, отвечающая за безрецептурные бренды GSK) на запросы „Ъ“ не ответили. Только Stada CIS, входящая в международный фармконцерн Stada, увеличила свои вложения с 1,4 млрд руб. в 2021 году до 2,2 млрд руб. в 2022-м, став в итоге третьей по объему инвестиций в ТВ-рекламу в России. Там также не ответили на запрос „Ъ“.

На фоне таких изменений в рекламном поле российские компании сумели увеличить продажи в аптеках. Это следует из расчетов DSM Group, проведенных по просьбе „Ъ“. Вместе локальные производители, вошедшие в топ-10 по вложениям в телерекламу в 2022 году, реализовали в рознице препаратов на 130 млрд руб. против 120,7 млрд руб. в 2021-м (включая БАД). Иная ситуация у западных компаний, снизивших свою активность или совсем ушедших из российского медийного пространства. Прямой корреляции между продажами и рекламой препаратов, исходя из подсчетов Twiga Data Solutions и DSM Group, здесь не наблюдается.

Реклама не всегда действует моментально, а пациенты и врачи консервативны в выборе лекарств, говорит гендиректор DSM

Group Сергей Шуляк. Он считает, что для кардинального изменения структуры потребления нужно больше времени, и прогнозирует такие перемены ближе к 2024 году.

Директор по развитию RNC Phatma Николай Беспалов добавляет, что многие зарубежные компании полностью не свернули маркетинговую деятельность, а просто переключились на другие каналы продвижения, например на коммуникацию с врачами или активности в фармрознице. Тенденцию подтверждают и источники „Ъ“ на аптечном рынке, и некоторые российские производители.

Согласно исследованию компании Research 360 (есть у „Ъ“), 84% врачей продолжили общаться с фармкомпаниями в прежнем объеме. Изменился разве что характер коммуникации, говорит директор департамента маркетинговых исследований Research 360 Марина Шепотиненко. «Раньше западные производители сами устраивали мероприятия, теперь выступают их спонсорами и общаются с врачами в формате онлайн», — поясняет она. Тем не менее через шесть-восемь месяцев ушедшие из медиаканалов западные компании начнут проигрывать в спросе индийским и российским, считает управляющий директор «Twiga Россия» Сергей Оганджанян.

Ольга Август,
Валерия Лебедева

Редкость в новых границах

— статистика —

Такие данные по итогам 2021 года были собраны экспертами проектного офиса «Редкие (орфанные) болезни» Национального НИИ общественного здоровья им. Н. А. Семашко, которые опросили 25 субъектов РФ и собрали статистику о пациентах, которые проживают там и входят в различные перечни редких заболеваний РФ. В совокупности в этих регионах проживает 26% населения страны, что позволяет считать эти данные условно репрезентативными.

Как следует из пояснительной записки к принятому федеральному закону «Об особенностях правового регулирования отношений по обязательному социальному страхованию граждан, проживающих на террито-

риях ДНР, ЛНР, Запорожской области и Херсонской области», в совокупности на этих территориях на 1 января 2022 года проживали 8,7 млн человек. Из них 4,06 млн человек — в ДНР, 2,1 млн человек — в ЛНР, 1,6 млн человек — в Запорожской области, 1 млн человек — в Херсонской области. Исходя из данных проектного офиса, по численности населения ЛНР может быть сопоставима с Волгоградской областью (2,4 млн человек), Запорожская область — с Крымом (1,8 млн человек), Херсонская область — с Архангельской, Курской или Калининградской областями (1,06 млн, 1,02 млн и 1,08 млн человек соответственно). Очевидно, что по итогам 2022 года численность населения этих регионов будет меньше, однако необходимо учитывать, что часть жителей на-

ходится на территории РФ в качестве беженцев и также будет нуждаться в лекарственной терапии. Из этого следует, что прогнозная численность пациентов с редкими заболеваниями в ЛНР может составлять около 600 человек, в Запорожской области — около 300 человек, в Херсонской области — около 200. Региона, сопоставимого по численности с ДНР, в представленном списке нет, поэтому прогнозную численность пациентов с редкими заболеваниями там можно оценить по двум регионам РФ с аналогичной суммарной численностью населения, например Волгоградской области и Крыма. Возможное число нуждающихся в терапии в таком случае может составить около 1 тыс. человек.

Если полученные в результате расчетов «Ъ» данные о числе паци-

ентов на новых территориях верны (всего около 2,1 тыс. человек), то прирост популяции жителей с редкими заболеваниями на всей территории РФ в новых границах составит около 5%. Сейчас в РФ в различных регистрах числятся около 40 тыс. человек с орфанными заболеваниями (подробнее см. „Ъ“ от 30 октября 2022 года). Объем государственных средств, необходимых для обеспечения новых пациентов терапией, может составить как минимум 2 млрд руб., если исходить из расчетов экспертов проектного офиса о том, что в 25 регионах РФ расходы на одного пациента в год составляли 1,0–1,6 млн руб. Эти данные, впрочем, не включают расходы на подопечных, которых обеспечивает фонд «Круг добра», финансирующий лече-



Новым регионам РФ пока нужно время, чтобы наладить на своей территории полноценный учет орфанных пациентов по стандартам РФ

ние наиболее дорогих заболеваний, в том числе спинально-мышечной атрофии, стоимость терапии которой может составлять около 100 млн руб. за одного пациента.

Варвара Колесникова

ВАЛЕМИДИН®



ВАЛЕМИДИН
Капли
БЕЗ ФЕНОБАРБИТАЛА



ВАЛЕМИДИН ПЛЮС
Сироп на ксилите
БЕЗ САХАРА

ЕСТЬ ТО, НА ЧТО МЫ МОЖЕМ ПОВЛИЯТЬ

Успокоительный сироп на основе пяти лекарственных трав и магния.
Для укрепления нервной системы в периоды повышенных умственных и физических нагрузок.

Комбинированный лекарственный препарат растительного происхождения.
Для быстрого купирования проявлений тревоги, беспокойства, бессонницы.

ОГРН 1027801558730 ООО «Фармамед»