



**МИНИСТЕРСТВО  
ЗДРАВООХРАНЕНИЯ  
РОССИЙСКОЙ ФЕДЕРАЦИИ  
(Минздрав России)**

**СТАТС-СЕКРЕТАРЬ –  
ЗАМЕСТИТЕЛЬ МИНИСТРА**

Рахмановский пер., 3, Москва, ГСП-4, 127994  
тел.: (495) 628-44-53, факс: (495) 628-50-58

Руководителю Российского фонда  
помощи ИД «Коммерсантъ»  
Президенту Русфонда

Л.С. Амбиндеру

№ \_\_\_\_\_  
На № \_\_\_\_\_ от \_\_\_\_\_

Уважаемый Лев Сергеевич!

Министерство здравоохранения Российской Федерации рассмотрело Ваше обращение от 31 октября 2013 г. по вопросу орфанных заболеваний и сообщает следующее.

Прежде всего, хотелось бы Вас поблагодарить за помощь, которую Русфонд оказывает больным редкими (орфанным) заболеваниями.

Вопрос 1.

В соответствии со статьей 44 Федерального закона от 21 ноября 2011 г. № 323-ФЗ «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» редкими (орфанными) заболеваниями являются заболевания, которые имеют распространенность не более 10 случаев на 100 тысяч населения. Перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности, из числа заболеваний, указанных выше, формируется на основании статистических данных и утверждается Правительством Российской Федерации.

В настоящее время действует Перечень жизнеугрожающих и хронических редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан и инвалидности, утвержденный постановлением Правительства Российской Федерации от 26 апреля 2012 г. № 403. В данный Перечень вошли те редкие заболевания, которые имеют орфанные средства для своего лечения, т.е. прямого патогенетического действия, разрешенные к применению на территории Российской Федерации.

В соответствии с Федеральным законом от 21 ноября 2011 г. № 323-ФЗ «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» организация лекарственного обеспечения лиц, страдающих муковисцидозом, осуществляется по перечню, утвержденному распоряжением Правительства Российской Федерации от 31 декабря 2008 г. № 2053-р, за счет средств федерального бюджета.

Наследственный буллезный эпидермолиз включен в Перечень редких наследственных болезней, размещенный в соответствии с частью 2 статьи 44 Федерального закона от 21 ноября 2011 г. № 323-ФЗ «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» на официальном сайте Минздрава России.

Распространенность наследственного буллезного эпидермолиза составляет 2,5 на 100 000 населения, идентификационный номер – 24, код Q81 в соответствии с МКБ – 10. Заболевание не имеет орфанного средства для лечения. Указанный перечень формировался с участием соответствующих главных специалистов по профилям, общественных и пациентских организаций.

### Вопрос 2.

Статьей 83 Федерального закона от 21 ноября 2011 г. № 323-ФЗ «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» за органами исполнительной власти субъектов Российской Федерации закреплены полномочия по обеспечению граждан зарегистрированными в установленном порядке на территории Российской Федерации лекарственными препаратами для лечения заболеваний, включенных в перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни гражданина или его инвалидности.

По данным мониторинга в 2012 году на лекарственное обеспечение данной категории граждан из средств бюджетов субъектов Российской Федерации было направлено около 2,6 млрд. рублей.

При этом следует отметить, что большинство детей с редкими (орфанными) заболеваниями являются инвалидами.

Федеральным законом от 17 июля 1999 г. № 178-ФЗ «О государственной социальной помощи» определено, что в состав предоставляемого отдельным категориям граждан набора социальных услуг включается обеспечение необходимыми лекарственными препаратами, изделиями медицинского назначения, а также специализированными продуктами лечебного питания для детей-инвалидов.

Расходы федерального бюджета на финансовое обеспечение набора социальных услуг в части обеспечения граждан необходимыми лекарственными препаратами в 2011 году составили 44,930 млрд. рублей, в 2012 году – 43,459 млрд. рублей. На 2013 год запланировано 41,727 млрд. рублей.

Кроме того, постановлением Правительства Российской Федерации от 30 июля 1994 г. № 890 «О государственной поддержке развития медицинской промышленности и улучшении обеспечения населения и учреждений здравоохранения лекарственными средствами и изделиями медицинского назначения» определено, что дети первых трех лет жизни и дети-инвалиды в возрасте до 18 лет обеспечиваются всеми лекарственными средствами по рецептам врачей бесплатно, а больные с некоторыми редкими (орфанными) заболеваниями (фенилкетонурией, острой перемежающей порфирией, преждевременным половым развитием, гематологическими заболеваниями, гемобластомами, цитопениями, наследственными гемопатиями) обеспечиваются необходимыми лекарственными средствами по рецептам врачей бесплатно.

### Вопрос 3.

По данным мониторинга при реализации региональных программ льготного лекарственного обеспечения, исполненных в 2012 году, из средств бюджетов субъектов Российской Федерации было направлено 36,8 млрд. рублей.

В то же время, в целях оказания финансовой помощи субъектам Российской Федерации для исполнения ими полномочий федеральным бюджетом предусматривается предоставление межбюджетных трансфертов, в том числе

дотаций на выравнивание бюджетной обеспеченности субъектов Российской Федерации.

По информации Министерства финансов Российской Федерации, общий объем дотаций на выравнивание бюджетной обеспеченности субъектов Российской Федерации в 2013 году проиндексирован на 5,5 % от уровня 2012 года и предусмотрен в сумме 418,83 млрд. рублей.

#### Вопрос 4.

Финансирование лечения заболеваний, включенных в перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни гражданина или его инвалидности в 2014 г. будет осуществляться в соответствии со статьей 83 Федерального закона от 21 ноября 2011 г. № 323-ФЗ за счет бюджетных средств субъектов Российской Федерации. Финансирование лечения данных заболеваний за счет средств федерального бюджета в 2014 г. не предусмотрено.

#### Вопрос 5.

С 2008 года предусмотрено отдельное финансирование из федерального бюджета расходов на централизованную закупку лекарственных препаратов, предназначенных для лечения 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.

Вышеуказанные нозологии были выбраны как наиболее затратная группа заболеваний по результатам обеспечения граждан лекарственными препаратами из набора социальных услуг за период с 2005 по 2007 год до введения определения редких (орфанных) заболеваний.

С 2008 года организовано ведение Федерального регистра лиц, больных злокачественными новообразованиями лимфоидной, кроветворной и родственной им тканей, гемофилией, муковисцидозом, гипофизарным нанизмом, болезнью Гоше, рассеянным склерозом и лиц после трансплантации органов и (или) тканей (далее – Федеральный регистр). Этап первичного финансирования Федерального регистра повсеместно завершен к началу 2009 года. Ведение указанного федерального регистра осуществляется в соответствии с правилами ведения Федерального регистра лиц, больных гемофилией, муковисцидозом, гипофизарным нанизмом, болезнью Гоше, рассеянным склерозом, лиц после трансплантации органов и (или) тканей, утвержденными постановлением Правительства Российской Федерации от 26 апреля 2012 г. № 404.

Перечень лекарственных препаратов, закупаемых централизованно за счет средств федерального бюджета и предназначенных для лечения названных заболеваний утвержден распоряжением Правительства Российской Федерации от 31 декабря 2008 г. № 2053-р и включает 18 международных непатентованных наименований лекарственных препаратов.

Положение о закупках лекарственных препаратов, предназначенных для лечения больных злокачественными новообразованиями лимфоидной, кроветворной и родственной им тканей, гемофилией, муковисцидозом, гипофизарным нанизмом, болезнью Гоше, рассеянным склерозом, а также после трансплантации органов и (или) тканей, утверждено постановлением Правительства Российской Федерации от 26 декабря 2011 г. № 1155.

В 2012 году на обеспечение лекарственными препаратами больных с заболеваниями, требующими проведения дорогостоящей терапии, из федерального бюджета было выделено 53,87 млрд. рублей, предусмотрено на 2013 год 51,7 млрд. рублей, на 2014 год – 48, 4 млрд. рублей.

Учитывая вышеизложенное, общие суммарные расходы на льготное лекарственное обеспечение граждан Российской Федерации в амбулаторных условиях за счет средств федерального бюджета составили в 2011 году 92,9 млрд. рублей, в 2012 году – 95,2 млрд. рублей.

В соответствии с Федеральным законом от 25 ноября 2013 г. № 317-ФЗ «О внесении изменений в отдельные законодательные акты Российской Федерации по вопросам охраны здоровья граждан в Российской Федерации», Российская Федерация передает с 1 января 2015 года органам государственной власти субъектов Российской Федерации осуществление полномочий по организации обеспечения 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 лекарственными препаратами по перечню, утверждаемому Правительством Российской Федерации.

#### Вопрос 6.

Перечень орфанных болезней России будет отличаться от подобного Перечня болезней Европы и Америки, так как в нашей стране приняты свои критерии орфанного заболевания. Кроме того, спектр болезней по генетическим параметрам может отличаться от аналогичного спектра других стран. Например, частота фенилкетонурии в России 1: 7000 новорожденных, а в Японии 1: 80 000. Различны и спектры мутаций. Поэтому при формировании Перечня редких (орфанных) заболеваний, размещенного на официальном сайте Минздрава России, учитывался не только спектр отдельных нозологий, а и принцип нозологических групп.

Вместе с тем вопросы оказания медицинской помощи больным редкими (орфанными) заболеваниями в течение 2010-2013 гг. стали шире обсуждаться на различных научно-практических мероприятиях (конгрессы и съезды педиатров, генетиков, детских неврологов России, Всероссийские конференции и симпозиумы, круглые столы и мастер-классы). Для ознакомления врачей с редкой патологией у детей подготовлены и выпущены пособия для врачей «Тирозинемия I типа: клиника, диагностика и лечение», «Болезнь Нимана-Пика тип C у детей: клиника, диагностика и лечение», «Специализированные продукты лечебного питания для детей с фенилкетонурией», «Диетотерапия при наследственных болезнях аминокислотного обмена». Опубликовано 5 статей в ведущих педиатрических журналах, посвященных проблемам профилактики, ранней диагностики и лечения редких (орфанных) заболеваний.

*С. Франкман,*

Д.В. Костенников