

**Как далеко мы  
продвинулись? Проблемы  
регуляторной политики в  
отношении орфанных  
препаратов в Казахстане**

**ГАИТОВА КАМИЛА КАХАРМАНОВНА, MSc, PhD**

# Факты об орфанных заболеваниях



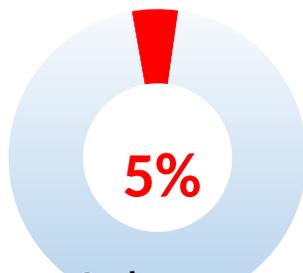
Орфанных заболеваний – генетические заболевания



Пациентов с орфанными заболеваниями – Дети



Детей с орфанными заболеваниями и не доживают до 5 лет



Орфанных заболеваний имеют одобренные методы лечения



От общего объема продаж ЛС составляют орфанные препараты



4 - 9 лет

Среднее время постановки точного диагноза

10+



Среднее количество специалистов через которых проходят пациенты до постановки диагноза

3+



Среднее количество неверных диагнозов

6000-8000

известных орфанных заболеваний

1 из 20

человек страдает от орфанного заболевания в какой-то период своей жизни

**Редкий!**



Только в Казахстане

около **0,9 млн** человек

# Политика РК в отношении орфанных препаратов

- В Кодексе дано **определение** орфанным заболеваниям и орфанным лекарственным препаратам
- В компетенции уполномоченного органа входит утверждение **перечня орфанных (редких) заболеваний**
- Местные представительные органы областей, городов республиканского значения и столицы принимают решение о **дополнительном предоставлении лекарственных средств**, специализированных лечебных продуктов, медицинских изделий отдельным категориям граждан при амбулаторном лечении бесплатно и (или) на льготных условиях
- Допускается ввоз и применение ЛС и ИМН для лечения редких заболеваний на территории РК **без прохождения регистрации** на основании наличия разрешительного документа от МЗ РК
- Допускается **использование стикеров** при ввозе ограниченного количества дорогостоящих орфанных (редких) лекарственных препаратов

Кодекс Республики Казахстан от 18 сентября 2009 года № 193-IV «О здоровье народа и системе здравоохранения», Приказ Министра здравоохранения Республики Казахстан от 13 мая 2019 года № ҚР ДСМ-73 «О внесении изменений в приказ Министра здравоохранения и социального развития Республики Казахстан от 17 августа 2015 года № 668 "Об утверждении Правил ввоза на территорию Республики Казахстан лекарственных средств, изделий медицинского назначения и медицинской техники и вывоза с территории Республики Казахстан лекарственных средств, изделий медицинского назначения и медицинской техники», Приказ и.о. Министра здравоохранения Республики Казахстан от 19 апреля 2019 года № ҚР ДСМ-42 «Об утверждении Правил регулирования цен на лекарственные средства»

# Политика РК в отношении орфанных препаратов

- Предельная цена на международное непатентованное наименование определяется на основе анализа **цен референтных** стран по МНН. В случае если заявленная стоимость годового применения орфанного ЛС превышает 3000 МРП и (или) имеются зарегистрированные ЛС с аналогичными показаниями предельная цена по МНН определяется с **учетом клинико-экономических характеристик** орфанного ЛС
- При экспертизе орфанных лекарственных препаратов с целью регистрации заявитель предоставляет программу исследований, результаты которых будут являться основанием для переоценки **соотношения "польза-риск"**, с соблюдением применения лекарственного препарата **под строгим наблюдением врача** и немедленным предоставлением карт-сообщений о нежелательных реакциях, серьезных нежелательных реакциях и об отсутствии эффективности лекарственного препарата
- Перечень орфанных заболеваний определен Приказом Министерства здравоохранения и социального развития Республики Казахстан от 22 мая 2015 года № 370 "Об утверждении Перечня орфанных (редких) заболеваний" и **входят в перечень СЗЗ** согласно Приказу Министерства здравоохранения и социального развития Республики Казахстан от 21 мая 2015 года № 367

# Орфанные препараты и КНФ.

КНФ формируется из лекарственных средств с доказанной клинической безопасностью и эффективностью, **а также орфанных (редких) лекарственных препаратов** Формулярной комиссией в порядке определяемым в соответствии с пунктом 2 статьи 86-2 Кодекса.

Лекарственное средство вносится в КНФ под международным непатентованным наименованием (далее – МНН) с указанием торгового наименования и кода АТХ, **в случае внесения орфанного препарата делается отметка, что данный препарат является орфанным.**

Для включения лекарственных средств в КНФ по МНН Формулярной комиссией рассматриваются:

- 1) наличие государственной регистрации, перерегистрации лекарственных средств в Республике Казахстан по МНН, **за исключением орфанных препаратов;**
- 2) наличие доказанной клинической безопасности и эффективности, определяемое в соответствии с пунктом 2 статьи 86-2 Кодекса;
- 3) наличие МНН в международных клинических руководствах;
- 4) наличие МНН в списке основных лекарственных средств Всемирной организации здравоохранения;
- 5) наличие МНН в Британском национальном лекарственном формуляре (далее – БНФ) и (или) Британском национальном формуляре для детей (далее – БНФ для детей);
- 6) наличие одобрения Управления по контролю пищевых продуктов и лекарственных средств Соединенных штатов Америки (далее – США) и (или) Европейского агентства по лекарственным средствам;
- 7) наличие в клинических протоколах Республики Казахстан.

При соответствии не менее пяти из вышеперечисленных критериев, в том числе подпункт 1) лекарственное средство по МНН включается в КНФ на основании протокола заседания Формулярной комиссии.

# Орфанные препараты и КНФ

...Для проведения критической оценки данных о клинической безопасности и эффективности лекарственных средств применяются следующие источники информации:

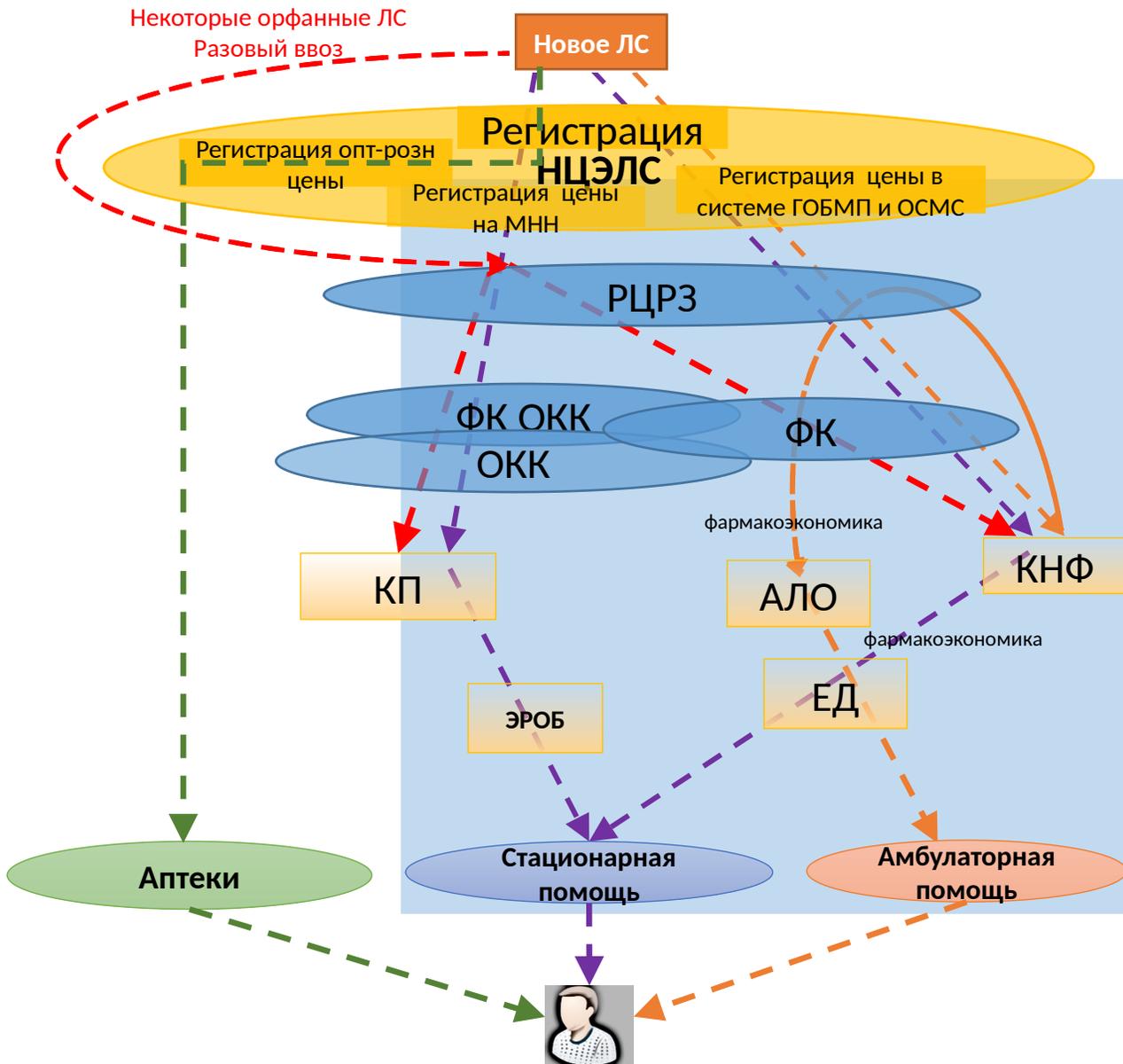
- 1) международные источники данных по доказательной медицине: Британский национальный лекарственный формуляр, Британский национальный лекарственный формуляр для детей, Кокрейновская библиотека, Список основных лекарственных средств Всемирной организации здравоохранения для взрослых и детей, Управление по контролю пищевых продуктов и лекарственных средств Соединенных штатов Америки, Европейское агентство по лекарственным средствам, **справочный портал "Орфанет"**, Мартиндэйл (полный справочник), при отсутствии информации в Кокрейновской библиотеке – Медлайн (ПабМед)...

\*Orphanet ([www.orpha.net](http://www.orpha.net))- консорциум 35 стран, европейский веб-сайт, предоставляющий информацию о редких заболеваниях и орфанных лекарствах. Содержит контент как для врачей, так и для пациентов.

# Что значит «орфанный» в Казахстане?

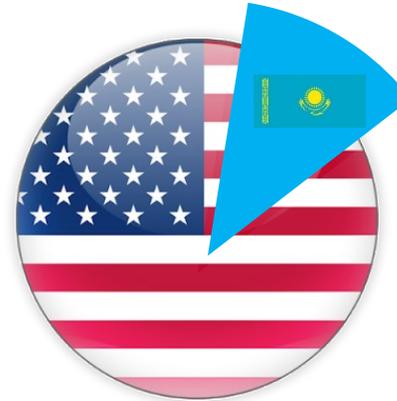
Согласно Кодексу

- ...орфанные (редкие) заболевания - редкие тяжелые болезни, угрожающие жизни человека или приводящие к инвалидности, частота которых не превышает **официально определенного уровня...**
- ...орфанный (редкий) лекарственный препарат – лекарственный препарат, предназначенный для диагностики, этиопатогенетического или патогенетического лечения орфанных (редких) заболеваний, частота которых не превышает **официально определенного уровня в Республике Казахстан...**



- Нет четкого определения и/или критериев орфанных заболеваний
- Нет критериев для присвоения ЛС статуса орфанных
- Отсутствуют регистры пациентов с редкими заболеваниями
- Не проводится мониторинг нежелательных реакций и отсутствия эффективности ЛС при лечении редких заболеваний

# Перечень орфанных ЛС



- В отечественный перечень орфанных препаратов входит
- **15%** (16 из 104 позиций) от общего числа ЛС зарегистрированных в ЕС с орфанным статусом
- **12%** (74 из 573 позиций) от общего числа ЛС одобренных **FDA** (США) со статусом орфанных

<https://www.orpha.net/>

<https://www.accessdata.fda.gov/>

• ***Спасибо за внимание!***