

Орфанні захворювання: мультидисциплінарний погляд на державно-приватне партнерство

Ведення орфанної патології залишається однією з найгостріших проблем вітчизняної охорони здоров'я. Щоб привернути увагу суспільства до потреб людей із рідкісними хворобами, 10 жовтня в Києві відбувся форум «Гуманітарна допомога пацієнтам з орфаними захворюваннями: ефективна модель партнерства держави та приватного сектора».

За словами модератора зустрічі Андрія Вікторовича Куликова, в державі зроблено чимало на шляху до забезпечення пацієнтів необхідними обстеженнями, медикаментами. Наприклад, в Україні є власна лабораторія для діагностики рідкісних хвороб на базі Національної дитячої спеціалізованої лікарні «ОХМАТДИТ» (м. Київ). Громадська спілка «Орфанні захворювання України» є членом Європейської організації з рідкісних захворювань (EURORDIS) – альянсу 869 пацієнтських організацій із 71 країни, які працюють, щоб покращити життя 30 млн осіб з рідкісними хворобами.

Після ухвалення 2014 року закону про орфанні захворювання в країні було впроваджено істотні зміни для полегшення життя пацієнтів, утім, актуальним залишається питання забезпечення необхідними ліками: через брак бюджетних коштів лише третина хворих отримує терапію, якої потребує пожиттєво.

Сьогодні допомогу надає соціально відповідальний бізнес. Так, «Санофі Джензайм» є першою компанією, яка 17 років тому за запитом МОЗ України та лікарської спільноти започаткувала гуманітарну програму надання допомоги українським пацієнтам. За 17 років існування програми компанія забезпечила пацієнтів України ліками на суму понад 1,5 млрд грн.

Допомога пацієнтам: сучасний стан і перспективи

Заступник міністра охорони здоров'я України Михайло Степанович Загрійчук запевнив, що питання розробки ефективного алгоритму забезпечення медикаментами осіб з орфаними хворобами – одне із пріоритетних у планах нової команди МОЗ.

Найбільш гострими проблемами, за словами М.С. Загрійчука, є відсутність реєстру рідкісних патологій та підрахунок кількості пацієнтів із тим чи іншим захворюванням. Відповідно, немає вихідних даних для обчислення необхідних витрат для надання допомоги таким пацієнтам. Заступник міністра із лікувальної роботи акцентував увагу на тому, що надалі робота МОЗ буде спрямована на подолання цих проблем та всебічну підтримку осіб з орфаними хворобами. Станом на сьогодні державний бюджет не дозволяє покрити витрати для допомоги всім пацієнтам, тож і надалі розроблятимуться стратегії взаємодії із соціально відповідальним бізнесом.

Проблемні моменти законодавчої бази у сфері орфанних хвороб

Заступник голови Комітету Верховної Ради України з питань здоров'я нації, медичної допомоги та медичного страхування Артем Васильович Дубнов коментував недоліки законодавства про орфанні захворювання. На його думку, положення Закону України «Про внесення змін до Основ законодавства України про охорону здоров'я щодо забезпечення профілактики та лікування рідкісних (орфанних) захворювань» від 2014 року, метою якого було забезпечити пацієнтів препаратами, не врегульовані нормативно-правовими актами Кабінету Міністрів України, що унеможливує повноцінну реалізацію. Тому ведеться активна робота над стратегією 2020-2025 рр., що спрямована на створення умов для мінімізації суб'єктивних факторів впливу на можливість отримання медикаментів пацієнтами з орфаними хворобами. Також принциповим є питання формування реєстру пацієнтів із зазначенням діагнозу для подальшого оперування цими даними на державному рівні.

А.В. Дубнов висловив подяку фармацевтичній компанії «Санофі», що протягом 17 років надає пацієнтам необхідні ліки на безкоштовній основі.

До завдань, які мають бути виконані найближчим часом, А.В. Дубнов відніс:

- спрощення процедури реєстрації лікарських засобів для терапії рідкісних захворювань з метою полегшення роботи фармацевтичних організацій та надання пацієнтам доступу до ліків;
- залучення більшої кількості фармацевтичних компаній для співпраці та надання допомоги у тих сферах, у яких держава потребує підтримки.

Член Комітету ВРУ з питань здоров'я нації, медичної допомоги та медичного страхування Лада Валентинівна Булах висловила переконання, що завдяки роботі оновленого на 90% комітету, метою якого є захист права громадян на життя (а ліки, нагадаємо, – засіб реалізації цього права), у сфері охорони здоров'я будуть запроваджені суттєві зміни. Так, 2018 року бюджет МОЗ дорівнював 95 млрд грн, тоді як 2019 року він збільшився до 108 млрд грн. Незважаючи на те, що загальна сума видатків держави на охорону здоров'я збільшилась, у першому варіанті проекту бюджету Міністерства економічного розвитку і торгівлі України витрати на охорону здоров'я зросли, натомість на закупівлю ліків – зменшились. Уже відомо, що в держбюджеті 2020, ухваленому в першому читанні, фінансування орфанних захворювань збільшене на 800 млн грн порівняно з поточним роком.

Забезпечення лікарськими засобами

Генеральний директор ДП «Медичні закупівлі України» Арсен Куатович Жумаділов поділяє думку про важливість створення реєстру пацієнтів для нівелювання ризику перевитрат та неефективного використання коштів. Нагальним питанням є оновлення національної стратегії державної програми щодо планування діяльності у сфері орфанних захворювань. Та, що існувала, включала близько 40 програм лікування, які стосувалися серцево-судинної патології, онкології, трансплантології, рідкісних хвороб тощо. Майбутня система має переглянути пріоритети фінансування та залучити ресурси місцевих бюджетів в умовах децентралізації та наявності значних фінансових можливостей на місцях. Наразі складнощі виникають через відсутність підтримки ідеї спрямування коштів на медикаментозну терапію пацієнтів з рідкісними хворобами та деяких ліків у національному переліку.

ДП «Медичні закупівлі України» було створене у 2018 р. для реалізації рішень МОЗ стосовно забезпечення препаратами та медичними виробами. Цей поступ планується підтримувати та розвивати надалі. У контексті забезпечення ліками А.К. Жумаділов висловив подяку компанії «Санофі», яка запропонувала безоплатну допомогу тим, хто її потребує. Залучення інших компаній до програми «Корпоративна соціальна відповідальність» дозволить відкрити нові перспективи у цьому напрямі.

Пріоритети у сфері допомоги пацієнтам з орфаними захворюваннями

Голова громадської спілки «Орфанні захворювання України» Тетяна Григорівна Кулеша висловила подяку за віднесення проблеми рідкісних патологій до пріоритетних. Наразі накопичено масив даних про реальний стан і кількість пацієнтів, а також висунуто пропозицію проголосити 2020-й роком державної підтримки орфанних хворих, оскільки він є високосним, та 29 лютого – Днем орфанного хворого. Т.Г. Кулеша зауважила, що має сподівання на розширення фінансування таких пацієнтів й акцентувала увагу на необхідності створення чіткої стратегії, додатково запропонувавши підтримку й участь спілки, наприклад, в аналізі та наданні інформації про світову практику.

Звичайно, вона не змогла оминати увагою компанію «Санофі», за підтримки котрої деякі хворі отримали можливість жити та створювати сім'ї, незважаючи на орфанну патологію.

Гуманітарна програма Sanofi Genzyme в усьому світі є тимчасовим рішенням для забезпечення пацієнтів життєво необхідними лікарськими засобами з моменту встановлення діагнозу до початку лікування за рахунок державної програми. Зважаючи на складне соціально-економічне становище України, компанія продовжує йти назустріч пацієнтам, надаючи їм життєво необхідне лікування за рахунок власних коштів.

Гуманітарна програма Sanofi Genzyme – це шанс на життя для пацієнтів із рідкісними захворюваннями, які не мають доступу до лікування державним коштом, хоча воно передбачене Основами законодавства України про охорону здоров'я від 19.11.1992 № 2801-XII.

Заради пацієнтів

22
пацієнти

в Україні отримують лікування в межах гуманітарної програми Sanofi Genzyme¹

14
пацієнтів

отримують лікування в межах гуманітарної програми вже понад 10 років

4
пацієнти

було включено у гуманітарну програму Sanofi Genzyme з початку 2019 р.

6
пацієнток

стали мамами 9 здорових малюків, перебуваючи на лікуванні в межах гуманітарної програми Sanofi Genzyme

3 метою партнерства

Гуманітарна програма Sanofi Genzyme була започаткована в Україні 2002 року і тривалий час була єдиною можливістю для українських пацієнтів із рідкісними захворюваннями одержати життєво необхідне лікування

Окрім гуманітарної програми, Sanofi Genzyme надає підтримку у діагностиці орфанних захворювань та навчанні лікарів. Завдяки гуманітарній програмі Sanofi Genzyme багато лікарів отримали перший досвід у терапії пацієнта з рідкісною хворобою

За період дії в Україні гуманітарної програми компанії Sanofi Genzyme її обсяг за всіма нозологіями вже сягнув 1,5 млрд грн

Примітка: ¹ дані станом на жовтень 2019 р.

Продовження на стор. 46.

Орфанні захворювання: мультидисциплінарний погляд на державно-приватне партнерство

Продовження. Початок на стор. 45.

«Якщо Україна справді хоче стати європейською країною, необхідно впроваджувати європейські цінності, а життя громадянина є першочерговою з них», – підсумувала Т.Г. Кулеша.

Міжнародна гуманітарна програма: право на життя має кожен

Заступник директора гуманітарних програм «Санофі Джензайм» Ясміна Ахренс (Jasmina Ahrens) пояснила основні принципи компанії, які можна охарактеризувати так: «Біотехнологічна галузь існує, щоб створити революцію у медичній сфері невирішених проблем, але завдання полягає в тому, щоб забезпечити терапією людей, які потребують такої допомоги». Основна мета гуманітарної програми – забезпечити пацієнтів із рідкісними захворюваннями терапією в умовах обмеження доступу до такої терапії.

Гуманітарна програма компанії надає допомогу більш ніж 900 пацієнтам із 65 країн світу. Понад 3500 хворих були врятовані завдяки цьому проекту. Загалом 17 років «Санофі Джензайм» розвиває в Україні гуманітарні ініціативи, наразі 22 українські пацієнти завдячують їй за можливість жити.

За словами Я. Ахренс, «Санофі Джензайм» переважно отримує запит на допомогу від кваліфікованих лікарів, тому налагодження кращої взаємодії у плані державно-приватного партнерства має розвиватися. Важливий елемент місії компанії – підтримувати розвиток надійної взаємодії із системою охорони здоров'я та покращувати життя хворих, надаючи їм право на соціальну реалізацію та створення щасливих родин.

Реалії фінансування в «епіцентрі допомоги» орфанним хворим

Лікар-педіатр Центру орфанних захворювань НДСЛ «ОХМАТДИТ» Наталія В'ячеславівна Самоненко розповіла, що в лікарні налагоджено ефективний консультативний, діагностичний та лікувальний процес. До Центру орфанних захворювань систематично надсилається інформація з усієї України щодо реального стану та кількості пацієнтів. Н.В. Самоненко стверджує, що дуже мало хворих отримують оптимальну терапію, найгостріше постає питання їхньої фінансової неспроможності приймати дорогі ліки пожиттєво. Гуманітарна допомога та державна підтримка – єдині можливі джерела надходження препаратів для пацієнта. Утім, на сьогодні держава абсолютно не задовольняє потреби у медикаментах.

Прицільної уваги потребує проблема тривалості процедури надання ліків орфанному хворому після встановлення діагнозу навіть за умови участі

в гуманітарній програмі, адже через втрату дорогоцінного часу значно погіршуються стан здоров'я та прогноз. Мінімальний термін проходження всіх етапів оформлення становить 6-18 місяців. Н.В. Самоненко навела яскравий клінічний випадок діагностування хвороби у 2-річному віці. Уже через два місяці пацієнтка отримувала специфічне лікування завдяки гуманітарній допомозі від «Санофі», тоді як державну підтримку було надано лише через 24 місяці. Якби гуманітарну допомогу від «Санофі» не було організовано настільки вчасно, дівчинка би просто не дочекалася державної підтримки...

Наразі гуманітарна підтримка забезпечується роками. Так, «Санофі» вже більш ніж 15 років рятує життя деяких пацієнтів. Проте Наталія В'ячеславівна занепокоєна, чи надаватиметься допомога протягом усього життя хворого, інакше він буде змушений розраховувати лише на державу або втратити надію на порятунок.

Державно-приватне партнерство: можливості та виклики

Юридичний консультант МОЗ України Марина Костянтинівна Слободніченко вважає, що класичного державно-приватного партнерства за гуманітарної допомоги не існує, натомість такий формат наразі є благодійністю. Для того щоб державно-приватна співпраця відбулася, з одного боку, має бути надано допомогу, з іншого – створено реєстр, сформовано стратегію, чітко зазначено статті видатків, які повинні йти конкретно на орфанні захворювання, знайдено джерела фінансування.

Крім того, можливо започаткувати класичну модель державно-приватного партнерства – концесію, при якій інвестори спрямовують кошти, приміром, на підтримання діагностичних центрів; програма медичних гарантій поступово відшкодуватиме затрачені кошти. М.К. Слободніченко закликає шукати додаткові формати співпраці держави та приватних партнерів для успішної допомоги орфанним хворим.

Пацієнт з орфанним захворюванням: пряма мова

Михайло Мартиненко, пацієнт з хворобою Гоше, який отримує лікування за гуманітарною програмою «Санофі Джензайм» протягом понад 15 років, описує період від встановлення діагнозу у 2001 р. до отримання першої дози препарату у 2004 р. як «тернистий шлях». Тоді його батьки у розпачі зверталися до підрозділів МОЗ та не отримували життєво необхідної підтримки для дитини з фатальним рідкісним захворюванням. Зрештою саме гуманітарна програма «Санофі Джензайм» урятувала хлопцеві життя. «За час мого лікування змінилося п'ять президентів, але лише компанія «Санофі Джензайм» допомагає мені жити кожного дня», – зауважує М. Мартиненко.

Підготувала **Маргарита Марчук**





Церезим® 400 ОД

іміглюцераза

ПРИ ХВОРОБІ ГОШЕ

ПОТУЖНИЙ ЗАХИСТ ВІД КІСТКОВИХ УРАЖЕНЬ¹⁻⁵

ЦЕРЕЗИМ® 400 ОД ПРОДЕМОНСТРУВАВ
КЛІНІЧНУ ЕФЕКТИВНІСТЬ У ЛІКУВАННІ
КІСТКОВИХ УСКЛАДНЕНЬ ПРИ ХВОРОБІ ГОШЕ:

- Значно знижуючи ризик аваскулярного некрозу при початку лікування протягом 2 років після встановлення діагнозу¹
- Значно покращуючи мінеральну щільність кісток і знижуючи ризик уражень кісток, таких як переломи, деструкції кісткових пластинок, інфаркти кісток^{2,3}
- Значно знижуючи кісткові болі протягом **3 місяців**² та знижуючи кісткові кризи протягом **12 місяців**

ЗАХИСТІТЬ КІСТКИ З УПЕВНЕНІСТЮ¹⁻⁵

1. Mistry PK, et al. Br J Haematol. 2009;147(4):561-570. 2. Sims KB, et al. Clin Genet. 2008;73(5):430-440. 3. Wenstrup RJ, et al. J Bone Miner Res. 2007;22(1):119-126. 4. Chawrow J, et al. Clin Genet. 2007;71(3):205-211. 5. Genzyme Corporation. Cerezyme Web site. http://www.cerezyme.com/healthcare/about_cerezyme.aspx. Last accessed March 21, 2019.

ТОВ «Санофі-Авентіс Україна».

Адреса: вул. Жиланська, 48-50А, м. Київ 01033.

Тел. (044) 354-20-00, факс (044) 354-20-01.

www.sanofigenzyme.com

SANOFI GENZYME



Інформація про лікарський засіб Церезим® 400 ОД

Склад: діюча речовина: іміглюцераза; 1 флакон препарату містить 400 ОД іміглюцерази. Лікарська форма. Порошок для приготування концентрату для розчину для інфузій. Фармакотерапевтична група. Засоби, що впливають на травну систему та метаболічні процеси. Ензими. Код АТХ А16А В02. Показання. Церезим® 400 ОД (іміглюцераза) показаний для тривалої ферментозамісної терапії хворих з підтвердженою діагнозом хвороби Гоше ненеуропатичного типу (тип 1) або хронічного ненеуропатичного типу (тип 3), які мають клінічно значущі ненеуропатичні прояви хвороби. Протипоказання. Підвищена чутливість до активної речовини або до будь-якої з допоміжних речовин препарату. Взаємодія з іншими лікарськими засобами та інші види взаємодій. Досліджень щодо взаємодії з іншими лікарськими засобами не проводили. Застосування у період вагітності або годування груддю. Вагітність. Обмежені дані (насамперед отримані зі спонтанних повідомлень та опублікованих оглядів) стосовно понад 150 вагітних, які приймали Церезим® 400 ОД, показують, що застосування препарату достатнє для забезпечення контролю за хворобою Гоше під час вагітності. Годування груддю. Невідомо, чи потрапляє активна речовина препарату у грудне молоко жінки, однак ферменти, вірогідно, перетравлюються у шлунково-кишковому тракті дитини. Слід бути обережними при застосуванні препарату Церезим® 400 ОД жінкам, які годують груддю. Спосіб застосування та дози. Лікування пацієнта необхідно здійснювати під наглядом лікаря, який має достатній досвід та володіє знаннями щодо лікування хвороби Гоше. Дозування. Дозу препарату Церезим® 400 ОД визначають індивідуально для кожного хворого з урахуванням клінічних проявів захворювання. Була показана ефективність різних схем дозування щодо деяких або усіх ненеуропатичних проявів захворювання. Застосування початкової дози 60 ОД/кг 1 раз на 2 тижні призводить до покращення гематологічних та вісцеральних параметрів через 6 місяців від початку терапії, а подальше лікування препаратом Церезим® 400 ОД зупиняє прогресування або зменшує тяжкість уражень кісткової системи. Введення найменшої дози, яка становить 15 ОД/кг маси тіла 1 раз на 2 тижні, призводить до покращення гематологічних параметрів і зменшення проявів органомегалії, проте не впливає на кісткову симптоматику. Стандартною схемою лікування є одноразова внутрішньовенна інфузія препарату Церезим® 400 ОД кожні 2 тижні. Побічні реакції. Диспное, кашель, кропив'янка/ангіоневротичний набряк, свербіж, висипання, реакції підвищеної чутливості та інші побічні реакції (див. Інструкцію для медичного застосування). Категорія відпуску. За рецептом.

Інструкція для медичного застосування лікарського засобу Церезим® 400 ОД, порошок для приготування концентрату для розчину для інфузій по 400 ОД, Р.П. № UA/8659/01/02. Наказ МОЗ №1504 від 16.08.2018.

Інформація надана скорочено. Повна інформація міститься в Інструкції для медичного застосування препарату. Інформація про лікарський засіб для публікації у виданнях, призначених для медичних і фармацевтичних працівників, а також у матеріалах, що розповсюджуються на спеціальних семінарах, конференціях, симпозіумах із медичної тематики.

Лікарський засіб Церезим® 400 ОД, порошок для приготування концентрату для розчину для інфузій по 400 ОД, зареєстрований в Україні. Р.П. № UA/8659/01/02. Наказ МОЗ №1504 від 16.08.2018. Даний матеріал підготовлено на основі матеріалу GZEMA.CERZ.14.09.0197(1). Всі права на зміст матеріалу (включно з правами на фотозображення) захищені та належать Genzyme Corporation.

GZEA.CERZ.17.05.0253(2)
29 March 2019

Фабразим®

(1 мг/кг/кожні 2 тижні)

10-РІЧНІ РЕЗУЛЬТАТИ

Результат десятирічної ферментозамісної терапії з використанням агалсидази бета у пацієнтів із хворобою Фабрі¹:

ЛІКУЙТЕ ХВОРОБУ
ФАБРІ У ДОЗУВАННІ

1 мг/кг

кожні
2 тижні

- У **81 %** пацієнтів (42/52) не було жодних серйозних побічних реакцій* протягом інтервалу лікування
- **94 %** пацієнтів (49/52) залишилися живими наприкінці періоду дослідження
- Найкращий ефект від лікування одержали пацієнти, які розпочали його раніше і з меншим ураженням нирок


Фабразим®
агалсидаза бета

SANOFI GENZYME 

Інформація про лікарський засіб Фабразим®

Склад: діюча речовина: агалсидаза бета допоміжні речовини: маніт (Е 421); натрію дигідрофосфат, моногідрат; натрію гідрофосфат, гептагідрат. **Лікарська форма.** Порошок для приготування концентрату (5 мг/мл) для розчину для інфузій. **Показання.** Фабразим® призначають для довготривалого ферментозамісного лікування дорослих та дітей віком від 8 років з підтвердженою хворобою Фабрі (дефіцит альфа-галактосидази А). **Протипоказання.** Небезпечна для життя підвищена чутливість (анафілактична реакція) до активної речовини або до будь-якого з компонентів препарату. Взаємодія з іншими лікарськими засобами та інші види взаємодій. Дослідження взаємодії з іншими препаратами та впливу на обмін речовин in vitro не проводились. Несумісність з іншими лікарськими засобами. Через відсутність досліджень на сумісність з іншими препаратами не можна змішувати і вводити Фабразим® разом з іншими лікарськими засобами. **Особливості застосування.** Імуногенність. Через те що агалсидаза бета (r-haGAL) є рекомбінантним білком, можливий розвиток антитіл імуноглобуліну G у пацієнтів з низькою або відсутньою ферментною активністю. **Реакції, пов'язані з інфузіями.** У пацієнтів з антитілами до агалсидази бета більша вірогідність виникнення реакції, пов'язаної з введенням препарату, що проявляється будь-якою побічною реакцією в день введення препарату. **Реакції гіперчутливості.** Можливі прояви алергічної реакції через підвищену чутливість до компонентів препарату, який є протеїновим продуктом, що вводиться внутрішньовенним шляхом. **Застосування в період вагітності або годування груддю.** Вагітність. Дані про застосування агалсидази бета вагітним жінкам відсутні. **Годування груддю.** Агалсидаза бета може виводитись разом з грудним молоком. **Здатність впливати на швидкість реакції при керуванні автотранспортом або роботі з іншими механізмами.** Препарат Фабразим® може виявляти невеликий вплив на здатність керувати транспортними засобами та працювати з іншими механізмами, який проявляється в день прийому препарату і пов'язаний із можливим виникненням запаморочення, сонливості, вертиго і синкопе. **Спосіб застосування та дози.** Лікування Фабразим® слід проводити під наглядом терапевта, який має досвід у лікуванні хвороби Фабрі або інших спадкових хвороб обміну речовин. **Дозування.** Рекомендована доза Фабразим® становить 1 мг/кг маси тіла, яку вводять шляхом внутрішньовенної інфузії один раз на два тижні. **Передозування.** Випадки передозування невідомі. **Побічні реакції.** До небажаних явищ, які виникають дуже часто, належать озноб, пірексія, відчуття холоду, нудота, блювання, головний біль та парестезія. У 67 % пацієнтів виникала хоча б одна небажана реакція, пов'язана із інфузією. У період постмаркетингового спостереження були повідомлення про виникнення анафілактичних реакцій.

Інформація надана скорочено. Повна інформація міститься в інструкції для медичного застосування препарату.

Інструкція для медичного застосування лікарського засобу Фабразим®, порошок для приготування концентрату 5 мг/мл для розчину для інфузій. Р.П. № UA/10306/01/01. Наказ МОЗ України № 1770 від 01.10.2018.

Інформація про лікарський засіб призначена для медичних і фармацевтичних працівників для розповсюдження на спеціалізованих семінарах, конференціях, симпозіумах з медичної тематики, а також для розміщення у спеціалізованих виданнях, призначених для медичних та фармацевтичних працівників.

* Хронічний діаліз, трансплантація нирки, інфаркт міокарда, застійна серцева недостатність, серйозні ураження серця, інсульт, смерть.

1. Germain D, et al. J Med Genetics. 2015;52(5):353-358.
GZEA.FABR.18.02.0091(1)
29 March 2019

Лікарський засіб Фабразим®, порошок для приготування концентрату 5 мг/мл для розчину для інфузій зареєстрований в Україні. Р.П. № UA/10306/01/01. Наказ МОЗ України № 939 від 05.12.2014. Даний матеріал підготовлено на основі матеріалу SAGLB.FABR.17.01.0057а. Всі права на зміст матеріалу (включно з правами на фотозображення) захищені та належать Genzyme Corporation.