

Комаров И. А.

**ОСОБЕННОСТИ ФОРМИРОВАНИЯ ОГРАНИЧИТЕЛЬНЫХ ПЕРЕЧНЕЙ ЛЕКАРСТВЕННЫХ ПРЕПАРАТОВ.
МЕСТО ОРФАННЫХ ЛЕКАРСТВЕННЫХ ПРЕПАРАТОВ**ФГБНУ «Национальный научно-исследовательский институт общественного здоровья имени Н. А. Семашко» Минобрнауки России, 105064,
г. Москва

Правила формирования ограничительных перечней лекарственных препаратов в Российской Федерации в виде отдельного Постановления Правительства были сформированы в 2014 г. С тех пор процедура пересмотра данных перечней претерпела различные изменения. В последних редакциях нормативно-правового документа был сделан ряд поправок в отношении орфанных лекарственных препаратов. Так, в последней версии балльная шкала по оценке фармакоэкономических характеристик включает отдельную составляющую применительно к таким препаратам. Это говорит об уникальных особенностях, которые не позволяют рассматривать их наряду с лекарственными препаратами, не относящимися к орфанным. В настоящей статье отмечаются основные этапы процедуры формирования перечней лекарственных препаратов в свете того, как имеющаяся методология адаптирована применительно к орфанным лекарственным препаратам.

Ключевые слова: общественное здоровье; здравоохранение; редкие заболевания; орфанные лекарственные препараты; перечни; медицинская помощь; пациенты; законодательство; нормативно-правовое регулирование.

Для цитирования: Комаров И. А. Особенности формирования ограничительных перечней лекарственных препаратов. Место орфанных лекарственных препаратов. Проблемы социальной гигиены, здравоохранения и истории медицины. 2022;30(6):1328—1330. DOI: <http://dx.doi.org/10.32687/0869-866X-2022-30-6-1328-1330>

Для корреспонденции: Комаров Илья Александрович канд. фарм. наук, старший научный сотрудник ФГБНУ «Национальный НИИ общественного здоровья имени Н. А. Семашко», e-mail: iliya_komarov@mail.ru

Komarov I. A.

THE CHARACTERISTICS OF RESTRICTIVE LISTINGS OF MEDICATIONS: THE POSITION OF ORPHAN MEDICAL PREPARATIONS

N. A. Semashko National Research Institute of Public Health, 105064, Moscow, Russia

In the Russian Federation, the regulations on making out restrictive listings of medications were established as separate Government Order in 2014. Since this moment, the procedure of listing revision underwent various changes. The last revisions of this legal document contained several amendments regarding orphan medications. So, in last version the rating scale included separate component related to these medications. This indicates at unique characteristics of orphan medications that not allow to consider them along with other medications. The article covers main stages of drug list forming procedures of making out restrictive listings of medications in the light of how available methodology is adapted to be applied to orphan medications.

Keywords: public health; health care; rare diseases; orphan medications; listing; medical care; patients; legal regulation.

For citation: Komarov I. A. The characteristics of restrictive listings of medications: the position of orphan medical preparations. *Problemi socialnoi gigieni, zdravookhraneniya i istorii meditsini*. 2022;30(6):1328–1330 (In Russ.). DOI: <http://dx.doi.org/10.32687/0869-866X-2022-30-6-1328-1330>

For correspondence: Komarov I. A., candidate of pharmaceutical sciences, the Senior Researcher of the Federal State Budget Scientific Institution “The N. A. Semashko National Research Institute of Public Health” of the Minobrnauka of Russia. e-mail: iliya_komarov@mail.ru

Conflict of interests. The author declares absence of conflict of interests.

Acknowledgment. The study had no sponsor support

Received 22.03.2022
Accepted 23.06.2022

Орфанные препараты характеризуются уникальными особенностями, которые не позволяют рассматривать их наряду с не относящимися к орфанным при формировании ограничительных перечней лекарственных препаратов. К таким особенностям относятся прежде всего ограниченная популяция пациентов, для лечения которых применяются данные препараты, а также их высокая стоимость [1, 2].

Прежде чем приступить к изучению особенностей оценки орфанных лекарственных препаратов при формировании ограничительных перечней лекарственных препаратов, стоит отметить, какие списки существуют согласно действующему нормативно-правовому регулированию. Процедура пересмотра пе-

речней, о которых пойдет речь в настоящей статье, регламентируется постановлением Правительства Российской Федерации № 871¹³. К таким перечням, согласно данному постановлению, относятся:

— перечень жизненно необходимых и важнейших лекарственных препаратов для медицинского применения (ЖНВЛП);

¹³ Постановление Правительства Российской Федерации от 28.08.2014 № 871 «Об утверждении Правил формирования перечней лекарственных препаратов для медицинского применения и минимального ассортимента лекарственных препаратов, необходимых для оказания медицинской помощи». Режим доступа: http://www.consultant.ru/document/cons_doc_LAW_167999/ (дата обращения 09.09.2021).

Реформы здравоохранения

- перечень дорогостоящих лекарственных препаратов;
- минимальный ассортимент.

Применительно к орфанным лекарственным препаратам актуальными для изучения являются первые два отмеченных перечня, поскольку последний список предназначен для розничного регулирования, что не применимо к дорогостоящим орфанным лекарственным препаратам.

При изучении методологии формирования перечней лекарственных препаратов установлено, что существуют три рейтинговые шкалы с пороговыми балльными значениями, набрав которые, поданное досье на лекарственный препарат не будет рекомендовано к положительному рассмотрению на финальной комиссии. При этом для каждой шкалы, кроме порогового значения баллов для всех лекарственных препаратов, сделано исключение для орфанных лекарственных препаратов, для которых необходимо к набору количество баллов ниже. Рассмотрим каждую шкалу в отдельности.

Прежде всего обратим внимание на интегральную количественную оценку качества исследований. Каждому исследованию, которое было приложено в структуре досье при подаче лекарственного препарата на рассмотрение к включению в ограничительные списки, присваивается балльное значение.

Затем полученные балльные показатели суммируются по всем поданным в рамках досье исследованиям и рассчитывается среднее арифметическое значение. Данное значение должно превышать 12 баллов применительно к орфанным лекарственным препаратам и 18 баллов для прочих препаратов.

В результате данная особенность призвана учесть характерные черты доказательной базы орфанных лекарственных препаратов, а именно: малые когорты пациентов в проведенных клинических исследованиях, немногочисленные сравнительные испытания и пр. Более низкий балльный порог может быть удовлетворительным по отношению к ограниченным результатам клинической эффективности таких препаратов, в то время как для других лекарственных препаратов это уже считается недопустимым с точки зрения действующей методологии.

Следующей балльной рейтинговой шкалой является раздел, посвященный оценке фармакоэкономических характеристик лекарственных препаратов, поданных для рассмотрения на предмет включения в ограничительные перечни.

При этом важно обратить внимание, что процент отклонения, который в имеющейся в Постановлении соответствующей шкале фармакоэкономических характеристик указан в скобках после основного приведенного значения, относится к орфанным лекарственным препаратам. Таким образом, в случае оценки таких препаратов для набора тех же баллов потребуются меньшее значение соотношения затрат и эффективности, чем в случае рассмотрения лекарственных препаратов, не относя-

щихся к орфанным. На данную особенность необходимо обратить внимание, так как для представленных балльных шкал утверждено минимальное пороговое значение, требуемое для рекомендации к включению лекарственного препарата в соответствующий перечень.

Согласно действующему нормативно-правовому регулированию, для рекомендации к включению лекарственного препарата в перечни итоговая фармакоэкономическая оценка должна быть не менее 6 баллов, а в случае с орфанными лекарственными препаратами — не менее 2 баллов. Следовательно, подобно оценке убедительности и доказательности клинической эффективности лекарственного препарата, для оценки фармакоэкономических характеристик также выделен меньший порог по отношению к орфанным лекарственным препаратам.

Наконец, заключительной шкалой, в которой выделен специальный балльный порог, является оценка так называемых дополнительных данных: степень востребованности препарата субъектами Российской Федерации, локализация, стратегическая значимость и пр. Здесь подобным образом выделены два минимальных допустимых порога: 4 балла для всех лекарственных препаратов, за исключением орфанных, при оценке которых соответствующее значение равняется 2 баллам.

При этом, если поданное досье на лекарственный препарат не набирает нужного количества баллов, остается еще возможность получить их на этапе оценки главным внештатным специалистом. Тем не менее минимальный порог в 2 балла сохраняется для орфанных лекарственных препаратов в любом случае, в том числе и с учетом данной экспертизы.

Заключение

Необходимо отметить, что уникальные особенности орфанных лекарственных препаратов нашли отражение в существующем законодательном регулировании относительно процесса формирования ограничительных перечней лекарственных препаратов. Учитывая более специфическую доказательную базу относительно эффективности препаратов, высокую стоимость лечения и другие особенности, регуляторами российского здравоохранения было принято решение об установлении специальных минимальных балльных порогов, которые должны набирать каждое поданное досье. Безусловно, принятые отличительные особенности делают процесс включения орфанных препаратов в ограничительные перечни более легким по сравнению с другими лекарственными препаратами.

Однако даже принятые меры могут быть недостаточными для ряда орфанных лекарственных препаратов. В случае очень высокой стоимости последних и/или ограниченной доказательной базы включение в перечни будет невозможным по формальному критерию недобора необходимого количества баллов. Например, +2 балла, которые необходимо набрать за счет фармакоэкономических характеристик, включают в себя в том числе результаты ана-

лиза «влияния на бюджет». Очевидно, что применение инновационных орфанных лекарственных препаратов всегда будет приводить к тому, что потребуются дополнительные бюджетные средства. При этом для многих редких болезней такое лечение является безальтернативным, единственно возможным для спасения жизни пациентов.

Представляется целесообразным рассмотреть подход, при котором для оценки орфанных лекарственных препаратов анализ «влияния на бюджет» будет исключен из процедуры. Определение соотношения профиля затрат и эффективности, которое проводится в рамках клинико-экономического анализа, видится достаточным для такой уникальной группы препаратов. Формальное ограничение, которое сделает невозможным включение орфанного лекарственного препарата в перечень, может стать не просто барьером для доступа к нему пациентов с соответствующим редким заболеванием, но и причиной, по которой компания-производитель не станет выводить его на российский фармацевтический рынок.

Проделана большая работа по формированию особенностей рассмотрения орфанных лекарствен-

ных препаратов в рамках процедуры пересмотра ограничительных перечней лекарственных препаратов. Принятые возможности способствуют более легкому включению орфанных лекарственных препаратов в соответствующие списки. Тем не менее остается ряд направлений для дальнейшего совершенствования данного механизма, от быстроты и полноты принятия которого зависят жизнь и здоровье российских пациентов.

Исследование не имело спонсорской поддержки.
Автор заявляет об отсутствии конфликта интересов.

ЛИТЕРАТУРА

1. Taruscio D., Vittozzi L., Stefanov R. National plans and strategies on rare diseases in Europe. *Ad. Exper. Med. Biol.* 2010;686:475—91.
2. Miller K. L., Lanthier M. Investigating the landscape of US orphan product approvals. *Orphanet J. Rare Dis.* 2018;183(13):1—8.

Поступила 22.03.2022
Принята в печать 23.06.2022

REFERENCES

1. Taruscio D., Vittozzi L., Stefanov R. National plans and strategies on rare diseases in Europe. *Ad. Exper. Med. Biol.* 2010;686:475–91.
2. Miller K. L., Lanthier M. Investigating the landscape of US orphan product approvals. *Orphanet J. Rare Dis.* 2018;183(13):1–8.