

Сравнительный анализ доступности лекарственного обеспечения пациентов с орфанными заболеваниями в Республике Казахстан за 2015 и 2020 годы

Дастан Ш.М.¹, Калиева Ш.С.², Есбатырова Л.М.³, Мясникова Ж.М.⁴, Каюпова Г.С.⁵

¹ Магистрант школы общественного здоровья и биомедицины, Медицинский университет Караганды, Казахстан. E-mail: shattyk.mukhtarkyzy@gmail.com

² Заведующая кафедрой клинической фармакологии и доказательной медицины, Медицинский университет Караганды, Казахстан. E-mail: sholpan_ks@mail.ru

³ Начальник отдела Центра экономики и оценки технологий здравоохранения, Республиканский центр развития здравоохранения, Нур-Султан, Казахстан. E-mail: yesbatyrova.l@gmail.com

⁴ Ассистент-исследователь кафедры клинической фармакологии и доказательной медицины, Медицинский университет Караганды, Казахстан. E-mail: myasnikovaz@qmu.kz

⁵ Ассоциированный профессор Медицинского университета Караганды, Казахстан. E-mail: kayupovag@qmu.kz

Резюме

Цель исследования: Провести сравнительный анализ патологий, включенных в Перечень орфанных (редких) заболеваний в Казахстане за 2015 и 2020 годы с дальнейшей оценкой динамики изменения структуры включенных заболеваний.

Методы. В данной работе с помощью логического, системного и документального анализа проведен сравнительный анализ имеющегося на данный момент законодательства по регулированию лечения орфанных заболеваний в Республике Казахстан, а также сравнительный анализ изменений данного законодательства. Данные были использованы за 2015 и 2020 годы.

Результаты. В рамках приказа «Об утверждении Перечня орфанных (редких) заболеваний» 2015 года в данный Перечень входили пациенты со следующими заболеваниями: (С) различными видами новообразований (данная группа включала 16 нозологий, что составляет 32% от общего количества включенных заболеваний), (Е) болезни эндокринной системы, расстройства питания и нарушения обмена веществ (включены 9 нозологий, доля охвата составила 18%), (D) болезни крови, кроветворных органов и отдельные нарушения, вовлекающие иммунный механизм (представлено 8 нозологий, которые составили 16% от общего охвата включенных заболеваний), (G) болезни нервной системы (всего - 4 нозологии, 8% от общего охвата), (А-В) некоторые инфекционные и паразитарные болезни (Сибирская язва, Крымская геморрагическая лихорадка, Малярия, Лейшманиоз – 4 нозологии, 8% от общего охвата), (Q) Врожденные аномалии (пороки развития), деформации и хромосомные нарушения (имеется 3 нозологии, 6% от общего количества охваченных нозологий) и по 1 заболеванию по кодам МКБ-10: (I) Болезни системы кровообращения, (J) Болезни органов, (K) Болезни органов пищеварения, (L) Болезни кожи и подкожной клетчатки. В 2020 году Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения (орфанных) был обновлен. Согласно новому документу, было охвачено уже 62 группы нозологий, что на 12 нозологий больше по сравнению с 2015 годом и составляет 12%. В динамике соотношение охвата нозологий не изменилось.

Выводы. В заключение следует отметить, что вследствие экономических и политических преобразований, проводимых в области здравоохранения в Казахстане в течение последних десяти лет, охват медицинской помощью пациентов с орфанными заболеваниями постоянно увеличивается. Также увеличивается лекарственное обеспечение соответствующих категорий пациентов. Обновленный Кодекс и подзаконные акты будут способствовать укреплению здоровья нации, в том числе и пациентов с редкими (орфанными) заболеваниями. Стоит отметить, что немаловажным фактором является разработка и утверждение правил формирования Перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения с определенными критериями отбора. Таким образом, в динамике отмечается улучшение доступа к медицинской помощи пациентов с орфанными заболеваниями в Республике Казахстан.

Ключевые слова: орфанные заболевания, редкие заболевания, орфанные лекарственные препараты, лекарственная политика, Казахстан.

Corresponding author: Shattyk Dastan, Master's student in the specialty "Management in Public Health" of the School of Public Health and Biomedicine, Medical University of Karaganda, Karaganda, Kazakhstan
Postal code: 100017
Address: Kazakhstan, Karaganda, Gogol street 40
Phone: +7 7774520077
E-mail: shattyk.mukhtarkyzy@gmail.com

J Health Dev 2021; 1 (41): 54-60
Received: 02-02-2021
Accepted: 18-03-2021



This work is licensed under a Creative Commons Attribution 4.0 International License

Введение

Редкие (орфанные, сиротские) заболевания — это заболевания, которые встречаются у небольшого числа людей относительно общей численности населения. Оказание медицинской помощи пациентам с орфанной патологией является одной из тяжелых задач для системы здравоохранения любой страны.

Большинство заболеваний, относящихся к группе орфанных болезней, являются генетическими. Однако к этой группе патологий могут относиться редкие инфекционные, аутоиммунные и онкологические заболевания, а также состояния, возникающие в результате воздействия факторов окружающей среды. Безусловно, лечение пациентов с такой патологией требует индивидуального подхода и значительных материальных затрат, которые часто являются непосильными для бюджета пациента и его семьи.

Редкие и орфанные заболевания затрагивают небольшое число пациентов и их ведение связано с особыми проблемами, включая потребность в комплексном, специализированном лечении. Эти заболевания не могут рассматриваться в качестве приоритетных в рамках системы всеобщего медицинского страхования и таким образом, могут оставаться вне системы государственных закупок и возмещения расходов [1]. По данным Европейского медицинского агентства, в ЕС различают от 5 000 до 8 000 редких болезней, поражающих от 27 до 36 миллионов человек [2].

Методов лечения многих редких и орфанных заболеваний не существует. Если метод лечения существует, его доступность может зависеть от национального законодательства и нормативных актов, включая национальную политику в отношении лекарств для орфанных заболеваний, порядка их назначения и регистрации [1].

Лекарства для лечения редких орфанных заболеваний, в том числе от рака в перечне основных лекарственных средств Всемирной организации здравоохранения (ВОЗ) составляют небольшую долю от общего числа лекарственных средств, одобренных и доступных на рынке для лечения рака и редких и орфанных заболеваний во всем мире. Этот перечень помогает государствам-членам определять приоритеты в области лекарственных препаратов для финансирования, закупок и возмещения расходов за счет государственных средств [1].

В Республике Казахстан (РК) разработан ряд регулирующих положений, призванных определить

объем медицинской помощи данной категории пациентов. В нашем исследовании мы провели анализ существующего законодательства по регулированию медицинской помощи пациентам с орфанными заболеваниями.

На данный момент единого общепринятого на международном уровне определения для орфанных заболеваний не существует, как нет и единого критерия отнесения заболеваний к этой группе.

Согласно Кодексу «О здоровье народа и системе здравоохранения» РК к орфанным (редким) заболеваниям относятся редкие тяжелые болезни, угрожающие жизни человека или приводящие к инвалидности, частота которых не превышает официально определенного уровня [3,4].

Кодекс «О здоровье народа и системе здравоохранения» — это основной документ, на который опирается вся медицинская общественность РК. Впервые Кодекс РК «О здоровье народа и системе здравоохранения» (Кодекс 2009) был утвержден 18 сентября 2009 года № 193-IV [4], 7 июля 2020 года № 360-VI ЗРК был обновлен Кодекс РК «О здоровье народа и системе здравоохранения» (Кодекс 2020) [3]. В предыдущем варианте Кодекса от 2009 года в основном положении был представлен термин «орфанный (редкий) лекарственный препарат», которым являлся лекарственный препарат, предназначенный для диагностики, этиопатогенетического или патогенетического лечения орфанных (редких) заболеваний, частота которых не превышает официально определенного уровня в РК (пп. 83, глава 1, раздел 1), но в обновленном Кодексе 2020 данной терминологии нет. Однако, термин «орфанные (редкие) заболевания» не изменился, к ним относятся редкие тяжелые болезни, угрожающие жизни человека или приводящие к инвалидности, частота которых не превышает официально определенного уровня (пп 84, главы 1, Основные положения, Раздела 1, Общие положения, Общая часть). Таким образом, в РК необходимо провести сравнительный анализ доступности лекарственного обеспечения пациентов с орфанными заболеваниями в РК.

Цель исследования: провести сравнительный анализ патологий, включенных в Перечень орфанных (редких) заболеваний за 2015 и 2020 годы с дальнейшей оценкой динамики изменения структуры включенных заболеваний.

Материалы и методы

В нашем исследовании, с помощью логического, системного и документального анализа были проведены сравнительный анализ патологий, включенных в Перечни орфанных (редких) заболеваний за 2015 и 2020 годы и оценка динамики изменения структуры включенных заболеваний.

Нормативно-правовые акты являются основой процессов оказания всех видов оказания медицинской помощи и соответственно поддержки пациентов с редкими заболеваниями. Законодательные акты в РК разделились соответственно с изменениями Кодекса «О здоровье народа и системе здравоохранения» на два

основных этапа [3]:

- до 2020 года действовали два приказа: Приказ Министра здравоохранения и социального развития Республики Казахстан от 22 мая 2015 года № 370 «Об утверждении Перечня орфанных (редких) заболеваний» [5] и Приказ Министра здравоохранения и социального развития Республики Казахстан от 29 мая 2015 года № 432 «Об утверждении перечня орфанных препаратов» [6].

- с 2020 года приказом Министра здравоохранения РК (МЗ РК) от 20 октября 2020 года №ҚР ДСМ 142/2020 утвержден новый Перечень

орфанных заболеваний и лекарств для их лечения [7].

В связи с обновлением Кодекса 2020 был сформирован перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения. Этот перечень утверждается уполномоченным органом с учетом следующих критериев:

- 1) распространенность заболевания в РК;
- 2) необходимость в систематическом лечении, для проведения которого имеются разработанные и зарегистрированные на территории РК лекарственные средства (курабельные пациенты);
- 3) необходимость в систематическом лечении с применением лекарственных средств, которые разработаны и имеются в мире, но не зарегистрированы к применению на территории РК;
- 4) наличие заболеваний, для лечения которых в мире отсутствуют разработанные лекарственные средства;
- 5) необходимость оказания паллиативной медицинской помощи в связи с отсутствием радикальной терапии (инкурабельные пациенты) [3].

Таким образом, в РК пациенты с орфанной патологией могут получить надлежащую медицинскую помощь по жизненным показаниям даже в том случае, когда необходимые для его лечения лекарственные средства и медицинские изделия не имеют регистрации на территории республики [3].

Кроме того, необходимо отметить, что ряд лекарственных средств для лечения орфанных заболеваний может применяться для лечения других заболеваний и входит в Казахстанский национальный лекарственный формуляр (КНФ). Являясь, по сути, перечнем лекарственных средств с доказанной клинической безопасностью и эффективностью, КНФ также представляет собой основу для разработки лекарственных формуляров медицинских организаций и формирования списков закупок лекарственных средств в рамках гарантированного объема бесплатной медицинской помощи и в системе обязательного социального медицинского страхования [3].

Наряду с вышеперечисленным, с целью определения характеристик группы орфанных заболеваний в Приказе МЗ РК «Об утверждении правил формирования перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения» утверждены правила формирования перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения [8]. Так, согласно данным правилам, показатель распространенности орфанного заболевания в РК - не более 50 случаев на 100 тысяч населения в РК.

Следует также отметить, что согласно порядку формирования перечня орфанных заболеваний физические, юридических лица, субъекты здравоохранения, представители ассоциаций и общественных объединений могут выдвигать предложения относительно включения заболеваний в Перечень. Данные предложения уполномоченным органом направляются в научные организации в области здравоохранения по профилю заболевания и анализируются созданной специальной комиссией. В основе проводимого анализа лежит наличие следующих критериев:

- 1) имеется общее описание болезни или состояния;

2) указан код в соответствии с Международной классификацией болезней (МКБ);

3) представлено описание этиологии и симптоматики;

4) указана распространенность орфанного заболевания, рассчитанная на основании статистических данных РК или международных статистических данных;

5) имеется обоснование тяжести или инвалидизирующего характера заболевания, основанное на объективной и количественной медицинской или эпидемиологической информации;

6) присутствует обоснование угрожающего жизни характера болезни или состояния, основанное на показателях смертности и продолжительности жизни.

В случае появления новых достоверных случаев осуществляется пересмотр перечня орфанных заболеваний. Если данные о новых случаях не поступают, то пересмотр проводится один раз в три года.

Формирование Перечня лекарственных средств для лечения орфанных заболеваний происходит по такому же принципу. Уполномоченная организация принимает заявления и проводит анализ предлагаемых лекарственных препаратов с подготовкой заключения, включающего следующую информацию:

- 1) общее описание лекарственного препарата;
- 2) сведения о регистрации лекарственного препарата на территории РК со статусом орфанного препарата (технологии) или описание причин отсутствия регистрации в РК;
- 3) общее описание орфанного заболевания, включенного в Перечень орфанных заболеваний, утвержденный в соответствии с п. 3 ст. 177 Кодекса 2020 или более узкого показания в рамках данного орфанного заболевания, при котором предлагается применение лекарственного препарата;
- 4) детали регуляторного орфанного статуса за рубежом;
- 5) обзор основных клинических исследований;
- 6) сравнение с орфанными технологиями, зарегистрированными в РК с подтверждением значимой клинической или экономической выгоды [5].

Лекарственный препарат включается в Перечень орфанных лекарственных средств при наличии положительной рекомендации Формулярной комиссии и в соответствии следующим критериям:

- 1) лекарственный препарат предназначен для диагностики, профилактики или лечения одного или нескольких орфанных заболеваний согласно утвержденному перечню орфанных заболеваний (на момент подачи предложения);
- 2) лекарственный препарат зарегистрирован к применению на территории РК со статусом орфанного препарата (технологии) или не зарегистрирован к применению на территории РК;
- 3) лекарственный препарат предназначен для пациентов с заболеванием, для которого не существует удовлетворительных методов диагностики, профилактики, лечения или при наличии такого метода, данный лекарственный препарат будет приносить значительно большую

пользу пациентам, страдающим таким заболеванием.

Также, как и в случае Перечня орфанных заболеваний, пересмотр Перечня орфанных лекарственных средств проводится один раз в три года и (или) при появлении новых орфанных лекарственных средств [7].

Результаты исследования

В рамках Приказа «Об утверждении Перечня орфанных (редких) заболеваний» 2015 года в данный Перечень входили пациенты со следующими заболеваниями [5]:

(С) различными видами новообразований (данная группа включала 16 нозологий, что составляет 32% от общего количества включенных заболеваний);

(Е) болезни эндокринной системы, расстройства питания и нарушения обмена веществ (включены 9 нозологий, доля охвата составила 18%);

(D) болезни крови, кроветворных органов и отдельные нарушения, вовлекающие иммунный механизм (представлено 8 нозологий, которые составили 16% от общего охвата включенных заболеваний);

(G) болезни нервной системы (всего - 4 нозологии, 8% от общего охвата);

(A-B) некоторые инфекционные и

Данная статья является фрагментом магистерского проекта «Қазақстан Республикасындағы орфандық аурулары бар науқастарды дәрілік қамтамасыз ету үдерістерінің менеджменті».

паразитарные болезни (Сибирская язва, Крымская геморрагическая лихорадка, Малярия, Лейшманиоз – 4 нозологии, 8% от общего охвата);

(Q) врожденные аномалии (пороки развития), деформации и хромосомные нарушения (имеется 3 нозологии, 6% от общего количества);

(M) болезни костно-мышечной системы и соединительной ткани (2 нозологии, 4% от общего количества охваченных нозологий) и по 1 заболеванию по кодам МКБ-10;

(I) болезни системы кровообращения (I 27.0 Первичная легочная гипертензия);

(J) болезни органов дыхания (J 84 Другие интерстициальные легочные болезни у взрослых);

(K) Болезни органов пищеварения (K 50 - K51 Неинфекционный энтерит и колит);

(L) Болезни кожи и подкожной клетчатки (L10 - L13.0 Буллезные нарушения) (рисунок 1) [6].

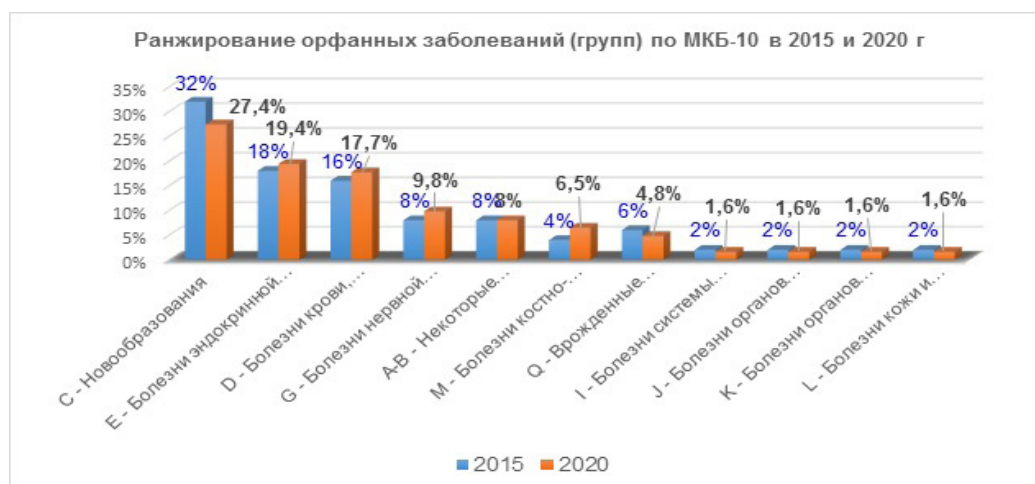


Рисунок 1 – Ранжирование орфанных заболеваний (групп) по МКБ - 10 за 2015 и 2020 гг.

В 2020 году Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения (орфанных) был обновлен. Согласно новому документу, было охвачено уже 62 группы нозологий (рисунок 1), что на 12 нозологий больше по сравнению с 2015 годом и составляет 12% [7].

В динамике соотношение охвата нозологий не изменилось (таблица 1). По 3 нозологии добавились в раздел (Е) болезни эндокринной системы, расстройства питания и нарушения обмена веществ (E70.0 – классическая фенилкетонурия, E23.0 – гипопитуитаризм, E22.8 - другие состояния гиперфункции гипофиза), в раздел (D) болезни крови, кроветворных органов и отдельные нарушения, вовлекающие иммунный механизм (D66 - D67 наследственный дефицит фактора VIII - наследственный дефицит фактора IX, D68.0 Болезнь

Виллебрандта, D68.2 Наследственный дефицит других факторов свертывания); по 2 нозологии (G) Болезни нервной системы (G70.2 - Миастения, G71.0 – G71.3 Болезни нервно-мышечного синапса и мышц), (M) Болезни костно-мышечной системы и соединительной ткани (M04.2 – Криопирин-ассоциированные периодические синдромы (CAPS), M06.1 Болезнь Стилла) и по одной нозологии в раздел (С) новообразования (С 71.0 – С71.9 глиальные опухоли высокой степени злокачественности) и в раздел (A-B) некоторые инфекционные и паразитарные болезни (A15.0 – A19.0 лекарственно-устойчивый туберкулез).

Таблица 1 - Сравнительная таблица по охвату орфанных нозологий за 2015 и 2020 гг.

Нозология	2015	2020
С - Новообразования	16	17
Е - Болезни эндокринной системы, расстройства питания и нарушения обмена веществ	9	12
Д - Болезни крови, кроветворных органов и отдельные нарушения, вовлекающие иммунный механизм	8	11
Г - Болезни нервной системы	4	6
А-В - Некоторые инфекционные и паразитарные болезни	4	5
М - Болезни костно-мышечной системы и соединительной ткани	2	4
Q - Врожденные аномалии (пороки развития), деформации и хромосомные нарушения	3	3
І - Болезни системы кровообращения (І 27.0 Первичная легочная гипертензия)	1	1
Ј - Болезни органов дыхания (Ј 84 Другие интерстициальные легочные болезни у взрослых)	1	1
К - Болезни органов пищеварения (К 50- К51 Неинфекционный энтерит и колит*)	1	1
L - Болезни кожи и подкожной клетчатки (L10 - L13.0 Буллезные нарушения)	1	1
Итого	50	62

Обсуждение

В результате проведенного сравнительного анализа можно заключить, что по сравнению с 2015 годом, в 2020 году охват орфанных патологий расширился. Наибольшее увеличение числа включенных нозологий наблюдается в группах болезней эндокринной системы, расстройства питания и нарушения обмена веществ и болезней крови, кроветворных органов и отдельные нарушения, вовлекающие иммунный механизм (по 3 заболевания). В меньшей степени расширился перечень заболеваний нервной системы, болезней

костно-мышечной системы и соединительной ткани, а также группы новообразований. Количество нозологий в остальных группах практически не изменилось. Однако, за увеличением числа нозологий в перечне стоит увеличение охвата пациентов с орфанной патологией.

Таким образом, они могут получить необходимую им медицинскую помощь несмотря на малую распространенность заболевания и необходимость специфического лечения.

Выводы

В заключение следует отметить, что в следствие экономических и политических преобразований, проводимых в области здравоохранения в Казахстане в течение последних десяти лет, охват медицинской помощью пациентов с орфанными заболеваниями постоянно увеличивается. Также увеличивается лекарственное обеспечение соответствующих категорий пациентов. Обновленный Кодекс и подзаконные акты будут способствовать укреплению здоровья нации, в

том числе и пациентов с редкими (орфанными) заболеваниями. Стоит отметить, что немаловажным фактором является разработка и утверждение правил формирования Перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения с определенными критериями отбора. Несомненно, отмечается в динамике улучшение доступа к медицинской помощи пациентов с орфанными заболеваниями в Республике Казахстан.

Литература

1. *Расширение доступа к эффективному лечению онкологических и редких или орфанных заболеваний, в том числе к лекарственным средствам, вакцинам, медицинским приборам, средствам диагностики, вспомогательным средствам, средствам клеточной и генетической терапии и другим медицинским технологиям; и повышение уровня транспарентности рынков лекарственных средств, вакцин и других изделий медицинского назначения. Всемирная организация здравоохранения. Доклад Генерального директора. 2020. – EB148/9. Электронный ресурс. [Дата обращения: 05 февраля 2021 года]. Режим доступа: https://apps.who.int/gb/ebwha/pdf_files/EB148/B148_9-ru.pdf.*

Rasshireniye dostupa k effektivnomu lecheniyu onkologicheskikh i redkikh ili orfannykh zabolevaniy, v tom chisle k lekarstvennyim sredstvam, vaktzinam, meditsinskim priboram, sredstvam diagnostiki, vspomogatel'nyim sredstvam, sredstvam kletochnoy i geneticheskoy terapii i drugim meditsinskim tekhnologiyam; i povysheniye urovnya transparentnosti rynkov lekarstvennykh sredstv, vaktzin i drugikh izdeliy meditsinskogo naznacheniya (Expanding access to effective treatments for cancer and rare and orphan diseases, including medicines, vaccines, medical devices, diagnostics, assistive products, cell- and gene-based therapies and other health technologies; and improving the transparency of markets for medicines, vaccines, and other health products) [in Russian]. Vsemirnaia organizatsiya zdravookhraneniia. Doklad General'nogo direktora. 2020. - EB148/9. Elektronnyi resurs. [Data obrashcheniia: 05 fevralia 2021 goda]. Rezhim dostupa: https://apps.who.int/gb/ebwha/pdf_files/EB148/B148_9-ru.pdf.

2. *Объединим усилия в борьбе с редкими болезнями. Всемирная организация здравоохранения.*

Бюллетень. – 2012. – №90 – С. 401. Электронный ресурс. [Дата обращения: 05 февраля 2021 года]. Режим доступа: <https://www.who.int/bulletin/volumes/90/6/12-020612/ru/>.

Ob'edinim usilia v bor'be s redkimi bolezniami. (Let's join forces in the fight against rare diseases) [in Russian]. Vsemirnaia organizatsiia zdavookhraneniia. Bulletin. 2012; 90: 401. Elektronnyi resurs. [Data obrashcheniia: 05 fevralia 2021 goda]. Rezhim dostupa: <https://www.who.int/bulletin/volumes/90/6/12-020612/ru/>.

3. Кодекс Республики Казахстан. О здоровье народа и системе здравоохранения: от 7 июля 2020 года, № 360-VI ЗРК.

Kodeks Respubliki Kazakhstan. O zdorov'e naroda i sisteme zdavookhraneniia (Code of the Republic of Kazakhstan. About people's health and the health care system) [in Russian]: ot 7 iuliia 2020 goda, № 360-VI ZRK.

4. Кодекс Республики Казахстан. О здоровье народа и системе здравоохранения: от 18 сентября 2009 года № 193-IV (утратил силу).

Kodeks Respubliki Kazakhstan. O zdorov'e naroda i sisteme zdavookhraneniia (Code of the Republic of Kazakhstan. About people's health and the health care system) [in Russian]: ot 18 sentyabrya 2009 goda, № 193-IV (utratil silu).

5. Приказ Министра здравоохранения и социального развития Республики Казахстан. Об утверждении Перечня орфанных (редких) заболеваний: утв. 22 мая 2015 года № 370. (утратил силу).

Prikaz Ministra zdavookhraneniia i social'nogo razvitiia Respubliki Kazahstan. Ob utverzhenii Perechnia orfannykh (redkikh) zabolevaniy (On approval of the List of Orphan (Rare) Diseases) [in Russian]: utv. 22 maja 2015 goda № 370 (utratil silu).

6. Приказ Министра здравоохранения и социального развития Республики Казахстан. Об утверждении перечня орфанных препаратов: утв. 29 мая 2015 года, № 432.

Prikaz Ministra zdavookhraneniia i sotsial'nogo razvitiia Respubliki Kazakhstan. Ob utverzhenii perechnia orfannykh preparatov (Order of the Minister of Health and Social Development of the Republic of Kazakhstan. On approval of the list of orphan drugs) [in Russian]: utv. 29 maia 2015 goda, № 432.

7. Приказ Министра здравоохранения Республики Казахстан. Об утверждении перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения (орфанных): утв. 20 октября 2020 года № ҚР ДСМ - 142/2020.

Prikaz Ministra zdavookhraneniia Respubliki Kazakhstan. Ob utverzhenii perechnia orfannykh zabolevaniy i lekarstvennykh sredstv dlia ih lechenia (Orphan diseases and medicines for their treatment) [in Russian]: utv. 20 oktiabria 2020 goda, № ҚР ДСМ142/2020.

8. Приказ Министра здравоохранения Республики Казахстан. Об утверждении правил формирования перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения: утв. 16 октября 2020 года, № ҚР ДСМ-135/2020.

Prikaz Ministra zdavookhraneniia Respubliki Kazakhstan. Ob utverzhenii pravil formirovaniia perechnia orfannykh zabolevaniy i lekarstvennykh sredstv dlia ih lechenia (On the approval of the rules for the formation of a list of orphan diseases and medicines for their treatment) [in Russian]: utv. 16 oktiabria 2020 goda, № ҚР ДСМ135/2020.

2015 және 2020 жылдар аралығындағы Қазақстан Республикасындағы орфандық аурулары бар науқастарды дерілік қамтамасыз етудің қолжетімділігіне салыстырмалы талдау

Дастан Ш.М.¹, Калиева Ш.С.², Есбатырова Л.М.³, Мясникова Ж.М.⁴, Каюпова Г.С.⁵

¹ Қоғамдық денсаулық сақтау және бірмедицина мектебінің «Қоғамдық денсаулық сақтаудағы менеджмент» мамандығы бойынша магистранты, Қарағанды медицина университеті, Қарағанды, Қазақстан.

E-mail: shattyk.mukhtarkyzy@gmail.com

² Клиникалық фармакология және дәлелді медицина кафедрасының меңгерушісі, Қарағанды медицина университеті, Қарағанды, Қазақстан. E-mail: sholpan_ks@mail.ru

³ Экономика және денсаулық сақтау технологияларын бағалау орталығының дәлелдерді іздестіру бөлімінің бастығы, Денсаулық сақтауды дамыту республикалық орталығы, Нұр-Сұлтан, Қазақстан.

E-mail: yesбатырова.l@gmail.com

⁴ Клиникалық фармакология және дәлелді медицина кафедрасының зерттеуші-ассистенті, Қарағанды медицина университеті, Қарағанды, Қазақстан. E-mail: myasnikovaz@qmu.kz

⁵ Қарағанды медицина университетінің қауымдастырылған профессоры, Қарағанды, Қазақстан.

E-mail: kayupovag@qmu.kz

Түйіндеме

Зерттеу мақсаты: 2015-2020 жылдар аралығында Қазақстандағы орфандық (сирек кездесетін) аурулардың тізбесіне енгізілген патологияларына, енгізілген аурулар құрылымының өзгеру динамикасын одан әрі бағалай отырып, салыстырмалы талдау жүргізу.

Әдістері. Бұл жұмыста логикалық, жүйелік және құжаттық талдаудың көмегімен қазіргі кездегі Қазақстан Республикасындағы орфандық ауруларды емдеуді реттеу бойынша қолданыстағы заңнамаға салыстырмалы талдау, сонымен қатар осы заңнамаға енгізілген өзгерістерге салыстырмалы талдау жүргізілді. Зерттеуде 2015-2020 жылдар аралығындағы деректер қолданылды.

Нәтижелері. 2015 жылғы «Орфандық (сирек кездесетін) аурулардың тізбесін бекіту туралы» бұйрық шеңберінде бұл тізбеге келесі аурулары бар науқастар енгізілді: (С) Ісіктердің әр түрлі түрлері (бұл топқа 16 нозология кірді, бұл енгізілген аурулардың жалпы санының 32% құрайды), (Е) Эндокриндік жүйе аурулары, тамақтанудың бұзылуы және зат

алмасудың бұзылысы (9 нозология енгізілген, қамту үлесі 18% құрады), (D) Қанның, қан өндіру ағзаларының аурулары және иммундық механизмді қамтитын жеке бұзылулар (8 нозология ұсынылған, бұл аурулардың жалпы санының 16% құрады), (G) Нерв жүйесінің аурулары (барлығы - 4 нозология, жалпы қамтудың 8%), (AB) Кейбір жұқпалы және паразиттік аурулар (Күйдіргі, Қырым геморрагиялы қызбасы, безгек, лейшманиоз - 4 нозология, жалпы қамтудың 8%), (Q) Туа біткен аномалия (қан ақаулары), қисаю және хромосомдық бұзылыстар (3 нозология бар, жалпы санының 6%), (M) Сүйек-бұлшық жүйесінің және қосушы тін ауруы (2 нозология, жалпы нозология санының 4% -ы) және АХЖ-10 кодтары бойынша 1 аурдан: (I) Қанайналым жүйесінің ауруы, (J) Мүшелер аурулары, (K) Асқорыту ағзасының ауруы, (L) Тері және теріасты жасушасының ауруы. 2020 жылы Орфандық аурулардың және оларды емдеуге арналған дәрілік заттардың (орфандық) тізбесі жаңартылды. Жаңа құжатқа сәйкес 62 нозология тобы қамтылды, бұл 2015 жылмен салыстырғанда 12 нозологияға артық және 12% құрайды. Динамикада нозологияларды қамту ара қатынасы өзгерген жоқ.

Қорытынды. Қорытындылай келе, соңғы он жыл ішінде Қазақстандағы денсаулық сақтау саласында жүргізілген экономикалық және саяси түрлендіру нәтижесінде орфандық аурулары бар науқастарды медициналық көмекпен қамту үнемі артып келе жатқанын атап өткен жөн. Сәйкес санаттағы науқастарды дәрілік қамтамасыз ету де ұлғаюда. Жаңартылған Кодекс және заңға тәуелді актілер ұлттың, оның ішінде сирек (орфандық) аурулары бар адамдардың да денсаулығын нығайтуға ықпал етеді. Белгілі бір іріктеу өлшемшарттары бар Орфандық аурулардың және оларды емдеуге арналған дәрілік заттардың тізбесін қалыптастыру қағидаларын әзірлеу және бекіту маңызды фактор болып табылатынын айта кету керек. Осылайша, Қазақстан Республикасында орфандық аурулары бар науқастарға медициналық көмектің қолжетімділігінің жақсару динамикасы байқалады.

Түйін сөздер: орфандық аурулар, сирек аурулар, орфандық дәрілік заттар, дәрілік саясат, Қазақстан.

Comparative Analysis of the Availability of Medicines for Patients with Orphan Diseases in the Republic of Kazakhstan for 2015 and 2020

Shattyk Dastan ¹, Sholpan Kalieva ², Lazzat Yesbatyrova ³, Zhanna Myasnikova ⁴, Gaukhar Kayupova ⁵

¹ Master's student on specialty «Public Health Management» of the School of Public Health and Biomedicine, Karaganda Medical University, Karaganda, Kazakhstan. E-mail: shattyk.mukhtarkyzy@gmail.com

² Head of the Department of Clinical Pharmacology and Evidence-Based Medicine, Karaganda Medical University, Karaganda, Kazakhstan. E-mail: sholpan_ks@mail.ru

³ Head of the Department of Evidence search of the Center for Economics and Evaluation of Health Technologies, Republican Center for Health Development, Nur-Sultan, Kazakhstan. E-mail: yesbatyrova.l@gmail.com

⁴ Research Assistant of the Department of Clinical Pharmacology and Evidence-Based Medicine, Karaganda Medical University, Karaganda, Kazakhstan. E-mail: myasnikovaz@qmu.kz

⁵ Associated professor of the Karaganda Medical University, Karaganda, Kazakhstan. E-mail: kayupovag@qmu.kz

Abstract

The aim of research: To conduct a comparative analysis of pathologies included in the List of orphan (rare) diseases in Kazakhstan for 2015 and 2020 with a further assessment of the dynamics of changes in the structure of the included diseases.

Methods. In this paper, by using logical, systematic, and documentary analysis, a comparative analysis of the current legislation on the regulation of the treatment of orphan diseases in the Republic of Kazakhstan was carried out, as well as a comparative analysis of changes in this legislation. The data was used for 2015 and 2020.

Results. Within the framework of the Order "On approval of the List of Orphan (Rare) Diseases" of the year 2015, this List included patients with the following diseases: (C) various types of neoplasms (this group included 16 nosologies, which is 32% of the total number of the included diseases), (E) diseases of the endocrine system, eating disorders and metabolic disorders (9 nosologies were included, the coverage rate was 18%), (D) diseases of the blood, hematopoietic organs and individual disorders involving the immune mechanism (8 nosologies were presented, which accounted for 16% of the total coverage of the included diseases), (G) diseases of the nervous system (total-4 nosologies, 8% of the total coverage), (A-B) some infectious and parasitic diseases (Anthrax, Crimean hemorrhagic fever, Malaria, Leishmaniasis – 4 nosologies, 8% of the total coverage), (Q) Congenital anomalies, deformities and chromosomal abnormalities (there are 3 nosologies, 6% of the total number), (M) Diseases of the musculoskeletal system and connective tissue (there are 2 nosologies, 4% of the total number of nosologies covered) and 1 disease according to the ICD-10 codes: (I) Diseases of the circulatory system, (J) Diseases of the organs, (K) Diseases of the digestive system, (L) Diseases of the skin and subcutaneous tissue. In 2020, the List of orphan diseases and medicines for their (orphan) treatment was updated.

According to the new document, 62 groups of nosologies were already covered, that is 12 nosologies more than in 2015 and which accounts for 12%. The ratio of nosology coverage has not changed over time.

Conclusions: In conclusion, it should be noted that due to the economic and political changes carried out in the field of health care in Kazakhstan over the past ten years, the coverage of medical care for patients with orphan diseases is constantly increasing. The drug supply of the corresponding categories of patients is also growing. The updated Code and by-laws will contribute to strengthening the health of the nation, including patients with rare (orphan) diseases. It is worth noting that an important factor is the development and approval of rules for the formation of the List of orphan diseases and medicines for their treatment with certain selection criteria. Thus, undoubtedly, there is an improvement in the dynamics of access to medical care for patients with orphan diseases in the Republic of Kazakhstan.

Keywords: Orphan diseases, Rare diseases, Orphan medicines, Drug policy, Kazakhstan.