

Этические и методологические основания для основных лекарственных программ

В.В. Власов, Президент общества
специалистов доказательной
медицины

Предпосылки

- Утилитаризм
- Деонтологизм

Предпосылки

Авария автобуса в Швейцарии: погибли 22 ребенка

Автобус с бельгийскими туристами врезался в стену в подземном тоннеле возле города Сьер

14 марта, 22:14 | Лера КАЗАКОВА



В Швейцарии произошла крупная авария - разбился туристический автобус. В результате погибли 28 человек, большинство из них дети.

- Утилитаризм
- Деонтологизм

РОСБАЛТ

Темы дня | Москва | Петербург | Вся Россия | Вокруг России | Бизнес | Пр

Новости | Аналитика | Интерактив | Политика | Экономика | Общество | Про

Росбалт, 26/09/2012 17:53

В Индии автобус упал в реку: 18 погибших, в том числе дети

ДЕЛИ, 26 сентября. Очередная крупная дорожная катастрофа произошла в Индии. На западе страны 18 человек погибли в ДТП с автобусом.

Позиция врача





WHO

- Essential medicines (основные лекарства) – те, которые удовлетворяют приоритетные потребности медицинской помощи населения. Они тщательно отбираются в соответствии с нуждами общественного здоровья, доказательствами эффективности и сравнительной затратной эффективности.
- Основные лекарства предназначены для того, чтобы быть доступными в работе системы медицинской помощи всегда в адекватных количествах, в соответствующих формах и дозировке, гарантированном качестве и с адекватной информацией, и по цене, которую люди и сообщество могут себе позволить.

General Comment nr.14 (May 2000)

Art.12.2.c:

Right to prevention, treatment and control of diseases includes creation of a system of urgent medical care in case of accidents, epidemics; and disaster relief and humanitarian assistance

Art 12.2.d:

Right to health facilities, goods and services includes appropriate treatment of prevalent diseases, preferably at community level;

and the provision of essential drugs as defined by the WHO Action Programme on Essential Drugs

Rights-based approach: Justice as a right, not as charity

A rights-based approach to development describes situations not simply in terms of human needs, or of developmental requirements, but in terms of society's obligations to respond to the inalienable rights of individuals; empowers people to demand justice as a right, not as charity; and gives communities a moral basis from which to claim international assistance when needed.

Kofi Anan, then United Nations Secretary-General

2

- Помимо основных лекарств есть
Неосновные
 - Как быть с людьми, которым не повезло заболеть именно НЕ социально значимой болезнью?

НЕ важные социально

- Последовательно утилитаристский подход придает низкий приоритет страданиям малых групп людей
- Неплатежеспособные люди и страны с их особыми болезнями неинтересны для бизнеса, и не разрабатывается для них лекарств

ОМТ

- Последовательное применение ОМТ обнаруживает необходимость для высокоактивных лекарств делать исключения из выводов, сделанных на основе затратной эффективности (NICE)

США: Office of Orphan Products Development (OOPD)

Закон [Orphan Drug Act](#) (ODA, 1983) поощряет фармацевтические компании разрабатывать лекарства для болезней, которые создают маленький рынок.

Компании, разработавшие такое лекарство (для расстройства, поражающего <200,000 в США) могут продавать его без конкуренции 7 лет и получают налоговые освобождения для клинических испытаний.

Закон [Rare Disease Act of 2002](#) определяет редкие болезни как имеющие преваленс < 200,000 в США (примерно 1 in 1,500).

В FDA создан Office of Orphan Products Development (since 1983)

США

- Humanitarian Use Device (HUD) program (программа для устройств) нацелена на помощь пациентам с болезнями, которыми страдает <4,000 в год
- 21 CFR 814.3(n).

США и Европа:

- **Миллионы страдают от одной из примерно 6,000 известных редких болезней.**
- **Обычно эффективного лечения нет.**
- **85% серьезны и угрожают жизни.**
- **50% детские.**

Marketing Exclusivity - ИСКЛЮЧИТЕЛЬНЫЙ ДОСТУП К РЫНКУ

- Дает FDA для показания/лекарства
- 7 лет с момента одобрения FDA
- Означает, что FDA не может одобрить другое такое лекарство для этого показания 7 лет
 - Кроме как с согласия
 - При неспособности обеспечить

США, с 1983

- **1619 специальных орфанных продуктов**
- **294 одобренных:**
 - **227 лекарств**
 - **67 биологических**
 - **Потенциально ими лечатся 15 млн больных**

EU

the [European Commission](#) on Public Health defines rare diseases as "life-threatening or [chronically](#) debilitating diseases which are of such low prevalence that special combined efforts are needed to address them."^[4] The term *low prevalence* is later defined as generally meaning fewer than 1 in 2,000 people. Diseases that are statistically rare, but not also life-threatening, chronically debilitating, or inadequately treated, are excluded from their definition.

EU

Opinions on orphan medicinal product designations are based on the following three criteria:

- the seriousness of the condition;
- the existence of alternative methods of diagnosis, prevention or treatment;
- either the rarity of the condition (affecting not more than 5 in 10,000 people in the EU) or insufficient returns on investment.

Designated orphan medicinal products are products that are still under investigation and are considered for orphan designation on the basis of potential activity. An orphan designation is not a marketing authorisation. As a consequence, demonstration of quality, safety and efficacy is necessary before a product can be granted a marketing authorisation.

Наш ПЖНВЛС

Статья 80. Программа государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи

1. В рамках программы государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи предоставляются:...
2. При оказании в рамках программы государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи первичной медико-санитарной помощи в условиях дневного стационара и в неотложной форме, специализированной медицинской помощи, в том числе высокотехнологичной, скорой медицинской помощи, в том числе скорой специализированной, паллиативной медицинской помощи в стационарных условиях

осуществляется обеспечение граждан лекарственными препаратами для медицинского применения, включенными в (ПЖНВЛП) в соответствии с Федеральным законом от 12 апреля 2010 года № 61-ФЗ «Об обращении лекарственных средств», и медицинскими изделиями, которые предусмотрены стандартами медицинской помощи.

Наш ПЖНВЛС

Включает в себя не только основные
лекарства ВОЗ (не все),

-но и неэффективные

-но и причудливые

-но и другие важные,

- в том числе и для больных редкими болезнями

Наши сироты

Статья 15. Передача осуществления полномочий Российской Федерации в сфере охраны здоровья органам государственной власти субъектов Российской Федерации

1. Российская Федерация передает органам государственной власти субъектов Российской Федерации осуществление следующих полномочий:...

2) организация 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.

Статья 16. Полномочия органов государственной власти субъектов Российской Федерации в сфере охраны здоровья

1. К полномочиям органов государственной власти субъектов Российской Федерации в сфере охраны здоровья относятся:

...

10) организация обеспечения граждан лекарственными препаратами для лечения заболеваний, включенных в перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни гражданина или инвалидности, предусмотренный частью 3 статьи 44 настоящего Федерального закона;

Наши сироты

США	1/1 500
Европа	1/2 000
Россия	1/10 000

Статья 44. Медицинская помощь гражданам, страдающим редкими (орфанными) заболеваниями

1. Редкими (орфанными) заболеваниями являются заболевания, которые имеют распространенность не более 10 случаев заболевания на 100 тысяч населения.

2. Перечень редких (орфанных) заболеваний формируется уполномоченным федеральным органом исполнительной власти на основании статистических данных и размещается на его официальном сайте в сети «Интернет».

3. Перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности, из числа заболеваний, указанных в части 2 настоящей статьи, утверждается Правительством Российской Федерации.

4. В целях обеспечения ..., лекарственными препаратами осуществляется ведение Федерального регистра лиц, страдающих жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями, приводящими к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности (далее ...Федеральный регистр), содержащего следующие сведения:

- 1) страховой номер индивидуального лицевого счета гражданина в системе обязательного пенсионного страхования (при наличии);
- 2) фамилия, имя, отчество, а также фамилия, которая была у гражданина при рождении;
- 3) дата рождения;
- 4) пол;
- 5) адрес места жительства;
- 6) серия и номер паспорта (свидетельства о рождении) или удостоверения личности, дата выдачи указанных документов;
- 7) дата включения в Федеральный регистр;
- 8) диагноз заболевания (состояние);
- 9) иные сведения, определяемые Правительством Российской Федерации.

5. Ведение Федерального регистра осуществляется уполномоченным федеральным органом исполнительной власти в порядке, установленном Правительством Российской Федерации.

6. Органы государственной власти субъектов Российской Федерации осуществляют ведение регионального сегмента Федерального регистра и своевременное представление сведений, содержащихся в нем, в уполномоченный федеральный орган исполнительной власти в порядке, установленном Правительством Российской Федерации.

Перспектива

- Необходимо и неизбежно создание программы лекарственного обеспечения населения
- Единственной основой для такой программы может быть перечень социально значимых болезней (в идеале) и **ПЕРЕЧЕНЬ ОСНОВНЫХ ЛЕКАРСТВ**

Перспектива

- Лекарства для болезней-сирот образуют перечень, составляемый на иных принципах
- Необходимо сформулировать эти принципы и на их основе создавать второй перечень (не считая негативного)

Предлагаемые принципы

- Жизнеугрожающие (приводящие к сокращению продолжительности жизни и/или инвалидности),
- Хронические,
- Прогрессирующие,
- Редкие,
- Лекарства обладающие высокой эффективностью и изменяющие долгосрочный прогноз (не все, не любые лекарства)