



МІНІСТЕРСТВО ОХОРОНИ ЗДОРОВ'Я УКРАЇНИ
(МОЗ України)

вул. М. Грушевського, 7, м. Київ, 01601, тел. (044) 253-61-94, E-mail: moz@moz.gov.ua,
web: <http://www.moz.gov.ua>, код ЄДРПОУ 00012925

12.02.2019 № 04.01.17- Дз-1/10/241-19 /3757

На № 416/338 від 17.01.2019

Народному депутату України
Гуляєву В.О.

Шановний Василю Олександровичу!

Міністерство висловлює Вам свою повагу та цінує Вашу зацікавленість у суспільно важливих процесах, які зараз відбуваються в охороні здоров'я.

Наша команда працює над трансформацією системи охорони здоров'я для підвищення якості та доступності медичної допомоги громадянам.

Міністерство охорони здоров'я України на виконання доручення Прем'єр-міністра України Гройсмана В.Б. від 29.01.2019 № 2518/1/1-19 спільно з Міністерством фінансів України опрацювало Ваш депутатський запит, оголошений на засіданні Верховної Ради України 18 січня 2019 року, до звернення Харківського благодійного фонду «Діти зі спінальною м'язовою атрофією» щодо забезпечення дітей хворих на спінальну м'язову атрофію необхідним лікуванням за бюджетні кошти і надає інформацію, що додається.

Харківському благодійному фонду «Діти зі спінальною м'язовою атрофією» надіслано письмове повідомлення.

МОЗ України високо цінує Ваш внесок у процес забезпечення пацієнтів якісною медичною допомогою. Сподіваємось на Вашу підтримку у впровадженні медичної реформи.

Додаток: на 3 арк.

З повагою

Заступник Міністра

Олександр ЛІНЧЕВСЬКИЙ

Проблема орфанних захворювань носить глобальний характер. Лікування таких хворих є довготривалим (в переважній більшості випадків пожиттєвим) і вимагає значних грошових витрат.

Відповідно до Закону України «Про Державний бюджет України на 2019 рік» Міністерству охорони здоров'я України за бюджетною програмою КПКВК 2301400 «Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру» в рамках реалізації державних цільових програм та заходів програмного характеру передбачені видатки на закупівлю лікарських засобів та медичних виробів для забезпечення хворих на тяжкі захворювання у сумі 6,6 млрд. гривень.

У межах цієї бюджетної програми здійснюється закупівля лікарських засобів та медичних виробів для забезпечення тяжкохворих, у тому числі дітей, за окремими нозологіями, такими як: онкологія, туберкульоз, ВІЛ/СНІД, гемофілія, серцево-судинні, орфанні захворювання тощо.

Варто зазначити, що в рамках бюджетної програми КПКВК 2301400 закупаються ліки та медичні вироби по 15 захворюванням, які відносяться до орфанних (хвороба Гоше, первинні (врожені) імунodefіцити, муковісцидоз, фенілкетонурія, гіпофізарний нанізм/нанізм різного походження, мукополісахаридоз, ювенільний ревматоїдний артрит, гемофілія, хвороба Помпе, хвороба Фабрі, ідіопатична сімейна торсійна дистонія, бульозний епідермоліз, легенева артеріальна гіпертензія, тирозинемія та гіперфенілаланінемія з дефіцитом тетрагідробіоптерину), загальний бюджет, відведений для орфанних патологій дорівнює 1,8 млрд гривень, що складає близько 27% від загального бюджету програми, за якою закупаються ліки для 40 нозологій.

Щороку Міністерство охорони здоров'я звертається до Міністерства фінансів України із проханням про фінансування бюджетної програми на рівні 14 млрд гривень, що б дозволило покрити 100% потребу в ліках усіх громадян.

Закупівля препаратів та медичних виробів для лікування хворих на спінальну м'язову атрофію за кошти державного бюджету можливе тільки у разі виділення у державному бюджеті на 2019 рік додаткових коштів на зазначений захід.

Оскільки коштів, що виділяються МОЗ України у державному бюджеті на 2019 рік, недостатньо для задоволення потреби всіх хворих по 40 напрямках, що входять до бюджетної програми КПКВК 2301400 «Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру», МОЗ України наразі не може гарантувати розширення спектру нозологій, що підлягатимуть фінансуванню.

Стрімкий розвиток медичної науки сьогодні обумовлює постійне розширення діагностичних та терапевтичних можливостей. Особливо це відчувається по відношенню до рідкісних (орфанних) спадкових захворювань.

Кожного року світова медична практика поповнюється новими методами діагностики та лікування цих хвороб з метою корекції спадково обумовлених порушень і зменшення захворюваності, інвалідизації та смертності населення.

Це, безумовно, відноситься і до рідкісного тяжкого інвалідизуючого спадкового захворювання спінальна м'язова атрофія (СМА). Погодження FDA препарату нусінерсен (Spinrasa™), як єдиного на сьогодні таргетного засобу лікування СМА, обумовило його впровадження в медичну практику і спонукало на розробку методів ранньої діагностики цього захворювання з метою підвищення ефективності лікування. Деякі з цих методів, наприклад кількісна флуоресцентна полімеразна ланцюгова реакція, були визнані як такі, що можуть використовуватись для масового неонатального скринінгу СМА. Цим було обумовлене рішення Консультативного комітету з питань спадкових розладів у дітей і новонароджених Департаменту охорони здоров'я та медичної допомоги США (Advisory Committee on Heritable Disorders in Newborns and Children US Department of Health and Human Service, ACHDNC) про внесення СМА до переліку рекомендованих патологічних станів для проведення неонатального скринінгу.

Але, навіть група експертів ACHDNC, які подали проект впровадження неонатального скринінгу на СМА на затвердження, зазначають, що впровадження такого скринінгу буде потребувати певного часу і великих зусиль. Це обумовлено необхідністю суттєвого розширення фінансування програми неонатального скринінгу та впровадження нових технологій в роботу відповідних лабораторій, тому що діагностика СМА базується на застосуванні високовартісного молекулярно-генетичного аналізу, який досі майже не використовувався в програмах неонатального скринінгу. Таким чином, за даними ACHDNC, станом на початок 2018 року лише два штати США (Масачусетс та Юта) почали роботу із впровадження неонатального скринінгу на СМА. Жодна інша країна світу, в тому числі європейська, не заявляла про початок роботи із імплементації масового неонатального скринінгу на СМА.

В 2009 році Європейською Комісією в рамках Програми дій Співтовариства у сфері громадського здоров'я ЄС (робочий план на 2009 рік) було започатковано захід «Оцінка практики скринінгу новонароджених на рідкісні захворювання у державах – членах Європейського Союзу». Радою ЄС були розроблені Рекомендації щодо дій в галузі рідкісних захворювань (European Commission. Council Recommendation of 8 June 2009 on an action in the field of rare diseases (2009/C 151/02). Official Journal of the European Communities C151, 3/7/2009, p. 7-10), які передбачають прийняття національних планів та стратегій щодо рідкісних захворювань та встановлює напрями співпраці та координації між державами – членами ЄС для кращого використання національних ресурсів та досвіду у цій галузі та зменшення нерівності у доступності до високоякісної медичної допомоги. Відповідно до завдань, визначених Європейською Комісією, було також розроблено документ (Newborn screening in Europe. Expert Opinion document, 2011), який містить інформацію для розробки подальших обговорень в межах EUCERD (European Union Committee of Experts on Rare Diseases) або інших відповідних структур,

спрямованих на підготовку європейських рекомендацій щодо впровадження скринінгових та інших діагностичних тестів для населення.

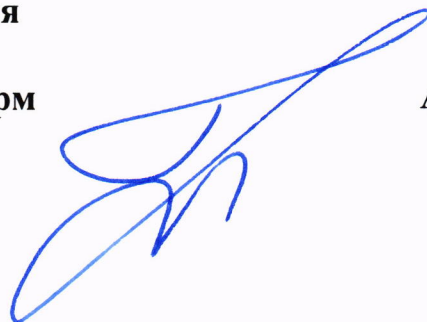
На підставі цього документу Експертна група з неонатального скринінгу ЄС (European Union Network of Experts on Newborn Screening (EUNENBS)) в 2012 році запропонували 31 захворювання для поетапного впровадження в країнах Європейського союзу. Спінальна м'язова атрофія, навіть після рішення ACHDNC про початок впровадження неонатального скринінгу на СМА в США, не була включена до переліку захворювань для поетапного впровадження в країнах Європейського союзу.

Таким чином, зважаючи на те, що:

1. Неонатальний скринінг на СМА потребує суттєвого розширення фінансування, яке не передбачене Державним бюджетом України на 2019 рік;
2. Відсутня достовірна інформація щодо генетичної характеристики хворих на СМА в Україні і частоти серед них делеції 7-го екзону гена SMN1, виявлення якої і покладене в основу неонатального скринінгу на це захворювання;
3. Відсутній досвід проведення неонатального скринінгу на СМА в країнах Європи;

говорити про початок впровадження неонатального скринінгу на спінальну м'язову атрофію в Україні передчасно. Крім того, неонатальний скринінг на СМА потребує впровадження в практику відповідних лабораторій нових сучасних високотехнологічних методів діагностики і закупівлю високовартісного лабораторного обладнання. Таким чином, перш ніж розпочинати роботу по підготовці до імплементації цієї програми в Україні, необхідно пройти етап дооснащення лабораторій і підготовки відповідних фахівців.

**Заступник директора Департаменту –
начальник відділу з питань надання
медичних послуг населенню
Департаменту впровадження реформ**



А. Гаврилюк