



Пресс-релиз

Комплексный подход к орфанным заболеваниям: от научных исследований и разработок к лекарственному обеспечению

Москва, 24 апреля 2019 года

В преддверии Всемирного дня легочной гипертензии эксперты из государственных, научно-исследовательских, медицинских и общественных организаций обсудили комплекс мер, необходимых для увеличения продолжительности и улучшения качества жизни пациентов с орфанными заболеваниями. Поддержка научных исследований и разработок, вопросы диагностики и лекарственного обеспечения – именно эти аспекты эксперты назвали крайне важными для улучшения ситуации с доступностью эффективного лечения для пациентов.

Легочная гипертензия – редкое тяжелое прогрессирующее и угрожающее жизни заболевание легких и сердца. Возрастной диапазон пациентов включает социально активных, трудоспособных людей. Одна из ключевых проблем заболевания – это длительная диагностика, так как в настоящее время может пройти несколько лет от появления первых жалоб до постановки окончательного диагноза. Диагностику затрудняет неспецифичность симптомов, присущих легочной гипертензии, основным и наиболее частым из которых является одышка при незначительных нагрузках, например, при подъеме по лестнице. Это приводит к тому, что более 70% пациентов диагностируются с III и IV функциональными классами, т.е. уже в тяжелом состоянии. Такие больные практически прикованы к креслу или постели и не способны переносить самую элементарную повседневную физическую нагрузку без одышки, слабости, боли в грудной клетке и головокружения. Задержка в постановке диагноза, в свою очередь, сказывается на позднем начале терапии, что приводит к прогрессированию заболевания, потере трудоспособности и здоровья пациентом, летальным исходам.

Результаты первого международного регистра пациентов с легочной гипертензией свидетельствуют о неблагоприятном прогнозе для пациентов, не получающих лечение, – медиана выживаемости таких больных составляла всего 2,8 лет.

По данным ежегодного бюллетеня экспертного совета по редким (орфанным) заболеваниям комитета ГД по охране здоровья, идиопатическая легочная артериальная гипертензия (иЛАГ) лидирует по уровню летальности среди редких жизнеугрожающих заболеваний из «Перечня 19-ти».

При этом своевременное начало лечения и непрерывность лекарственного обеспечения дают быстрые положительные результаты. Благодаря современной терапии пациенты живут дольше: результаты 6-летнего наблюдения за пациентами из Национального регистра по ЛГ показали, что выживаемость больных в России составляет уже 86%,



кроме того, у большей части пациентов тяжёлая форма заболевания переходит в менее тяжёлые формы, где ограничения физической активности не так выражены.

По данным регистра пациентов с хронической тромбоэмболической легочной гипертензией (ХТЭЛГ), доступ к лечению позволяет значительно улучшить качество жизни пациентов с этим заболеванием и перевести большую часть пациентов, имеющих тяжёлую форму заболевания (III и IV функциональные классы, которые характеризуются неспособностью переносить любую физическую нагрузку без появления клинических симптомов) в менее тяжёлые формы – I и II функциональные классы, где ограничений физической активности нет или они минимальны. В результате пациенты могут выполнять повседневные домашние дела, вернуться на работу, жить полноценной жизнью.

Александра Олеговна Конради, заместитель генерального директора по научной работе НМИЦ имени В.А. Алмазова, заведующий научно-исследовательским отделом артериальной гипертензии, профессор и член-корреспондент РАН, д.м.н., профессор: «На базе НМИЦ им. В.А. Алмазова успешно функционирует специализированный центр по лечению легочной гипертензии, нашими специалистами накоплен богатый опыт не только диагностики, но и современного эффективного лечения этой редкой патологии. Сегодня в арсенале врачей появились новые группы препаратов, ранее не используемые в лечении легочной гипертензии, новые хирургические методы. И мы видим свою задачу как национального медицинского исследовательского центра – в трансляции этих знаний и компетенций во все регионы для обеспечения качества и равнодоступности инновационных медицинских технологий для орфанных пациентов».

За последние несколько лет произошли положительные сдвиги в сфере совершенствования государственной политики в целях поддержки больных с редкими заболеваниями (например, ускоренная регистрация орфанных лекарственных препаратов, перенос финансирования части орфанных заболеваний на федеральный уровень, разработка клинических рекомендаций), однако всё ещё остается ряд нерешенных проблем.

Анастасия Александровна Татарникова, председатель правления центра экспертной помощи «Дом Редких» отметила: «Несовершенство нормативно-правового регулирования в области орфанных заболеваний продемонстрировано на примере легочной гипертензии. Два вида одного заболевания – иЛАГ и ХТЭЛГ – имеют разную степень доступности патогенетической терапии. Несмотря на то, что иЛАГ, находясь в так называемом «Перечне 19-ти», более урегулирована с точки зрения лекарственного обеспечения, пациенты с этим заболеванием все ещё сталкиваются с серьезными проблемами с лекарствами, о чем свидетельствуют регулярные обращения на «горячую линию» нашей организации. Эти проблемы, в первую очередь, связаны с высокой финансовой нагрузкой для региональных бюджетов. Ещё сложнее обстоят дела у пациентов с ХТЭЛГ: для них отсутствие в каком-либо перечне, включая «Перечень 19-ти», делает наличие инвалидности обязательным для получения бесплатной терапии. Очевидно, что обе нозологии требуют системного решения с участием федерального бюджета».



Елена Юрьевна Красильникова, заместитель директора Института ЕАЭС, руководитель Центра изучения и анализа проблем народонаселения, демографии и здравоохранения: «Закрепление за субъектами РФ обязательств по льготному лекарственному обеспечению пациентов с редкими жизнеугрожающими заболеваниями стало причиной развития в каждом из 85 субъектов РФ своего «редкого» сценария, увы, не всегда благополучного. Если в 2012 году расходы на лекарственное обеспечение пациентов с редкими заболеваниями составляли 6% от региональных расходов на льготное лекарственное обеспечение в целом, то в 2018 году доля расходов на «редкие» выросла до 20%. Основное финансовое бремя до 2019 года формировали 10 жизнеугрожающих редких нозологий, среди которых идиопатическая легочная артериальная гипертензия. 5 из этих нозологий с 2019 года переведены на федеральное финансирование. Пациенты с легочной гипертензией пока ожидают такого решения. Выравнивание права на льготное лекарственное обеспечение пациентов с легочной гипертензией и дальнейшая федерализация орфанных нозологий – залог качественной медицинской помощи «редкому» пациенту, гармонизированной со всеми элементами системы здравоохранения в целом».

Сегодня уже можно сказать, что орфанные заболевания перестали быть «сиротскими»: всё больше компаний и научных учреждений инвестируют в разработку новых решений для терапии этих пациентов, а также заключают научные партнерства, чтобы в арсенале врачей было больше возможностей для лечения редких заболеваний. Новый статус национальных медицинских исследовательских центров в российском здравоохранении еще раз укрепил приоритеты инновационного развития медицинской науки, в том числе в области проведения полного трансляционного цикла научно-исследовательских работ, включая создание новых препаратов.

В 2018 году ФГБУ «Национальный медицинский исследовательский центр имени В.А. Алмазова» Минздрава РФ и Bayer подписали меморандум о сотрудничестве в области трансляционной медицины, разработки и применения инновационных лекарственных препаратов. В рамках развития сотрудничества один из проектов НМИЦ им. В.А. Алмазова получил экспертную и грантовую поддержку концерна Bayer. Следующим важным шагом стало подписание в 2019 году соглашения о доклиническом исследовании молекулы концерна на базе НМИЦ им. В.А. Алмазова.

В НМИЦ им. В.А. Алмазова была создана уникальная животная модель развития ХТЭЛГ, в которой на крысах был показан процесс развития и течения заболевания, похожий на человеческий. Использование этой модели для тестирования будущих лекарственных препаратов позволяет эффективно предсказывать их активность при применении у человека. Качество данной модели было проверено совместными усилиями ученых НМИЦ им. В.А. Алмазова и Bayer.

В рамках подписанного соглашения на данной модели будет проведено доклиническое исследование нового лекарственного соединения, разработанного Bayer. Результаты исследования станут частью подготовки клинической программы исследования будущего лекарства. Такое партнерство – это пример первого научного доклинического исследования концерна Bayer в России.



Оба партнерских проекта, как разработка НМИЦ им. В.А. Алмазова, так и разработка концерна Bayer – это пример трансляционной медицины, современного научного направления, ключевой задачей которого является повышение вероятности успеха новой молекулы, а значит – и снижение стоимости разработки новых лекарственных препаратов.

Александра Олеговна Конради, заместитель генерального директора по научной работе НМИЦ имени В.А. Алмазова, заведующий научно-исследовательским отделом артериальной гипертензии, профессор и член-корреспондент РАН, д.м.н., профессор: «Благодаря международному сотрудничеству с Bayer происходит эффективный обмен научным опытом, что стимулирует развитие научно-исследовательской деятельности в области орфанных заболеваний и медицинской науки в России. Совместный проект позволит не только получать новые сведения о процессе формирования хронического заболевания, но и изучать эффективность новых веществ. Результаты прикладных исследований и получение новых знаний по легочной гипертензии будут иметь большое значение для пациентов и системы здравоохранения в связи с социальной значимостью заболевания и высоким экономическим бременем на государство».

Диагностика и лечение людей с орфанными заболеваниями – сложный и высокочрезвычайно затратный процесс. Именно поэтому во всем мире положение людей с редкими заболеваниями – индикатор эффективности системы здравоохранения. Это большая медико-социальная и экономическая проблема, которая требует комплексного подхода как со стороны федеральных и региональных органов законодательной и исполнительной власти, так и со стороны научного сообщества, общественных организаций пациентов и социально ответственного бизнеса.

Bayer

Балобаева Екатерина
PR-менеджер
тел.: +7 495 234-20-00
ekaterina.balobaeva@bayer.com

PR-Consulta

Каневская Мария
PR-менеджер
тел.: +7 985 261-24-31
mkanevskaya@pr-consulta.ru