

Современная организация лекарственного обеспечения

№ 3
2015

Журнал «Современная организация
лекарственного обеспечения»
Свидетельство о регистрации средства массовой
информации ПИ №ФС77-53035 от 04 марта 2013 г.

ISSN 2312-2854
подписной индекс по каталогу
"Пресса России" 92326

Отпечатано:
Индивидуальный предприниматель
Цыба Артем Андреевич
125459 г. Москва, Туристская, д. 19, корп. 4
Тел./факс: (495) 737 04 67
Учредитель:
Региональная общественная организация
"Московское фармацевтическое общество"
www.mospharma.org

Редакционная коллегия

Ягудина Роза Исмаиловна

Главный редактор,

Заведующий кафедрой организации лекарственного обеспечения и фармакоэкономики Первого Московского государственного медицинского университета им. И.М. Сеченова, профессор

yagudina@inbox.ru

Куликов Андрей Юрьевич

Заместитель главного редактора,

Профессор кафедры организации лекарственного обеспечения и фармакоэкономики, ведущий научный сотрудник лаборатории фармакоэкономических исследований Первого Московского государственного медицинского университета им. И.М. Сеченова

7677041@mail.ru

Проценко Марина Валерьевна

Заместитель главного редактора,

Научный сотрудник лаборатории фармакоэкономических исследований Первого Московского государственного медицинского университета им. И.М. Сеченова

mpro2006@mail.ru

Борисов Дмитрий Александрович

Исполнительный директор НП «Равное право на жизнь»

dborisov@ravnoepravo.ru

Вольская Елена Алексеевна

Проректор по научной работе и международной деятельности Московского государственного медико-стоматологического университета им. А.И. Евдокимова

vols-elena@yandex.ru

Глембоцкая Галина Тихоновна

Профессор кафедры организации и экономики фармации Первого Московского государственного медицинского университета им. И.М. Сеченова

kafedra_oef@mail.ru

Демидов Николай Валерьевич

Руководитель «IMS Health Россия и СНГ»

demidovnick@gmail.com

Editorial board

Roza I. Yagudina

Editor-in-chief

Head of Department of organization of medical provision and pharmacoconomics, I.M. Sechenov First Moscow State Medical University, professor

yagudina@inbox.ru

Andrey Yu. Kulikov

Deputy Editor-in-chief

Professor of Department of organization of medical provision and pharmacoconomics leading scientific employee of Laboratory of pharmacoconomical research, I.M. Sechenov First Moscow State Medical University

7677041@mail.ru

Marina V. Protsenko

Deputy Editor-in-chief,

Scientific employee of Laboratory of pharmacoconomical research, I.M. Sechenov First Moscow State Medical University

mpro2006@mail.ru

Dmitry A. Borisov

Executive Director of NGO «Equal right to life»

dborisov@ravnoepravo.ru

Elena A. Volskaya

The vice rector on scientific work and the international activity, Moscow State University of Medicine and Dentistry named after A.I. Evdokimov

vols-elena@yandex.ru

Galina T. Glembotskaya

Professor of Department of organization and economy of pharmacy, I.M. Sechenov First Moscow State Medical University

kafedra_oef@mail.ru

Nikolay V. Demidov

Head of "IMS HEALTH Russia and CIS"

demidovnick@gmail.com

Колбин Алексей Сергеевич

Руководитель РЦ МБЛС Санкт-Петербургского государственного медицинского университета, профессор

alex.kolbin@mail.ru

Комиссинская Ирина Геннадьевна

Проректор по непрерывному образованию и международному сотрудничеству, заведующая кафедрой фармации ФПО Курского государственного медицинского университета, профессор

farmacyfpo@rambler.ru

Маркарян Артем Александрович

Заведующий кафедрой фармации Первого Московского государственного медицинского университета им. И.М. Сеченова, профессор

markaryan@mma.ru

Сулейманов Салават Шейхович

Профессор

kaf11@ipksz.khv.ru

Aleksey S. Kolbin

Head of Regional center of monitoring of a safety of medical products, St.-Petersburg State University, professor

alex.kolbin@mail.ru

Irina G. Komissinskaya

Vice rector for continuous education and international cooperation head of Department of pharmacy, Kursk State Medical University, professor

farmacyfpo@rambler.ru

Artem A. Markaryan

Head of Department of pharmacy, I.M. Sechenov First Moscow State Medical University, professor

markaryan@mma.ru

Salavat Sh. Sulejmanov

Professor

kaf11@ipksz.khv.ru

Содержание

ОЦЕНКА ТЕХНОЛОГИЙ ЗДРАВООХРАНЕНИЯ

Актуальные вопросы оценки технологий здравоохранения в азербайджане, армении, беларуси, кыргызстане, молдове, россии, таджикистане, узбекистане

Р.И. Ягудина, Д.Т. Угрехелидзе, А.А. Агзамов, Н.Т. Бакирова, З. Безверхни, Г.Ш. Борчурбаева, Е. Влас, М. Заднипру, М.Я. Ибрагимова, Э.Т. Клычева, Н.Н. Максудова, Н.В. Малашко, С. Махмудова, С.Р. Молдоисаева, М.Ю. Овчинникова, Н. Онилов, А.Е. Саакян, А.К. Сыдыкова, С.Д. Юсуфи

ИННОВАЦИИ

Особенности лекарственного обеспечения пациентов с системной красной волчанкой в Российской Федерации

Почуприна А.А.

РЕГУЛИРОВАНИЕ ЛЕКАРСТВЕННОГО

ОБЕСПЕЧЕНИЯ

Формирование Перечня специализированных продуктов лечебного питания в современных условиях

Рыбченко Ю.В.

РЕДКИЕ ЗАБОЛЕВАНИЯ. ОРФАННЫЕ

ЛЕКАРСТВЕННЫЕ СРЕДСТВА

Ферментопатии - как патогенетически обусловленная группа редких заболеваний

Королева Н.И.

СОБЫТИЯ

Научно-практический семинар «Современные подходы к оценке использования лекарственных средств и фармакоэкономике»

Бабий В.В.

Contents

HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT

Aspects of health technology assessment development in Azerbaijan, Armenia, Belarus, Kyrgyzstan, Moldova, Russia, Tajikistan, Uzbekistan

R.I. Yagudina, D.T. Ugrekheldidze, A.A. Agzamov, N.T. Bakirova, Z. Bezverhni, G.Sh. Bochurbaeva, E. Vlas, M. Zadnipro, M.Y. Ibragimova, E.T. Klycheva, N.N. Maqsudova, N.V. Malashko, S. Makhmudova, S.R. Moldoisaeva, M. Auchynnikava, N. Onilov, A.E. Sahakyan, A.K. Sydykova, S.D. Yusufi

INNOVATION

Features of provision of medicines of patients with a system red volchanka in the Russian Federation

Pochuprina A.A.

REGULATION OF DRUG SUPPLY

The formation of list for specialized therapeutic food in modern conditions of the Russian Federation

Rybchenko U.V.

RARE DISEASES. ORPHAN DRUGS

Fermentopathy - as pathogenetically due to the group of rare diseases

Koroleva N.I.

EVENTS

Scientific-practical seminar "Contemporary approaches to assessing drug use and pharmacoconomics"

Babiy V.V.

АКТУАЛЬНЫЕ ВОПРОСЫ ОЦЕНКИ ТЕХНОЛОГИЙ ЗДРАВООХРАНЕНИЯ В АЗЕРБАЙДЖАНЕ, АРМЕНИИ, БЕЛАРУСИ, КЫРГЫЗСТАНЕ, МОЛДОВЕ, РОССИИ, ТАДЖИКИСТАНЕ, УЗБЕКИСТАНЕ

Р.И. Ягудина, Д.Т. Угрехелидзе, А.А. Агзамов, Н.Т. Бакирова, З. Безверхни, Г.Ш. Борчубаева, Е. Влас, М. Заднипру, М.Я. Ибрагимова, Э.Т. Клычева, Н.Н. Максудова, Н.В. Малашко, С. Махмудова, С.Р. Молдоисаева, М.Ю. Овчинникова, Н. Онилов, А.Е. Саакян, А.К. Сыдыкова, С.Д. Юсуфи

¹ Кафедра организации лекарственного обеспечения и фармакоэкономики, Первый МГМУ им. И.М. Сеченова

Резюме: В данной статье освещены актуальные вопросы развития оценки технологий здравоохранения в Азербайджане, Армении, Беларуси, Кыргызстане, Молдове, Таджикистане, Узбекистане. Представлены точки зрения ведущих специалистов в области здравоохранения данных стран, описаны особенности применения методологии оценки технологий здравоохранения для каждой республики.

Ключевые слова: Оценка технологий здравоохранения, СНГ, фармакоэкономика, системы здравоохранения, ВОЗ, ISPOR, Азербайджан, Армения, Беларусь, Кыргызстан, Молдова, Россия, Таджикистан, Узбекистан

Aspects of health technology assessment development in Azerbaijan, Armenia, Belarus, Kyrgyzstan, Moldova, Russia, Tajikistan, Uzbekistan

R.I. Yagudina, D.T. Ugrehelidze, A.A. Agzamov, N.T. Bakirova, Z. Bezverhni, G.Sh. Bochurbaeva, E. Vlas, M. Zadnipro, M.Y. Ibragimova, E.T. Klycheva, N.N. Maqsudova, N.V. Malashko, S. Makhmudova, S.R. Moldoisaeva, M. Auchynnikava, N. Onilov, A.E. Sahakyan, A.K. Sydykova, S.D. Yusufi

¹ Department of organization of medicinal provision and pharmacoeconomics, I.M. Sechenov First Moscow State Medical University

Abstract: The analysis of aspects of health technology assessment development Azerbaijan, Armenia, Belarus, Kyrgyzstan, Moldova, Russia, Tajikistan, Uzbekistan is presented in this article. The points of view of the leading decision-makers from these countries is highlighted. The peculiarities of application of HTA for each country is covered.

Key words: Health technology assessment, CIS, pharmacoeconomics, healthcare system, WHO, ISPOR, Azerbaijan, Armenia, Belarus, Kyrgyzstan, Moldova, Russia, Tajikistan, Uzbekistan

Введение

В последние десятилетия отмечается бурное развитие медицинской науки в связи с чем на рынке уже появилось и появляется множество новых технологий, которые позволяют более эффективно и качественно лечить и предотвращать различные заболевания. В то же время стоимость данных технологий неуклонно растет, что в условиях ограниченных ресурсов, выделяемых на здравоохранение, становится достаточно серьезной проблемой для всех стран мира.

Поэтому сегодня все более значимую роль в мировом здравоохранении и экономике стала играть актуальная, прозрачная, всеобъемлющая и основанная на проверенных данных оценка технологий здравоохранения.

Оценка технологий здравоохранения — это мультидисциплинарный научный анализ технологий здравоохранения на различных этапах их жизненного цикла с изучением клинической и экономической эффективности, безопасности, этических, правовых и социальных аспектов для принятия реше-

ний по использованию технологий здравоохранения на различных административных уровнях. [1] Данная методология принятия решений активно применяется в ведущих системах здравоохранения (США, Канада, Австралия, Великобритания и другие страны ЕС) и давно доказала свою эффективность. [2]

Однако в странах СНГ данный инструмент принятия решений в здравоохранении только набирает популярность, данным странам еще предстоит долгий путь внедрения ОТЗ в свою систему здравоохранения.

Одним из шагов, необходимых для распространения ОТЗ в странах СНГ, является процесс обмена опытом и наработками, одним из примеров образовательных программ и семинаров является тематический семинар «Современные требования к проведению фармакоэкономических исследований» для лиц, принимающих решения (ЛПР) в сфере здравоохранения из стран СНГ, который прошел 15 - 19 декабря 2014 года в Москве на базе Кафедры организации лекарственного обеспечения и фармакоэкономики Первого МГМУ им. И.М. Сеченова при поддержке Всемирной Организации Здравоохранения. В нем приняли участие сотрудники министерств здравоохранения, страховых организаций, высших учебных заведений 8 стран СНГ (Россия, Узбекистан, Кыргызстан, Молдова, Таджикистан, Беларусь, Азербайджан, Армения). В рамках данного курса рассматривались основные методы фармакоэкономического анализа и их практическое применение, современные схемы лечения и особенности проведения фармакоэкономических исследований при различных нозологиях, вопросы оценки технологий здравоохранения на разных уровнях системы здравоохранения.

Также в ходе данного образовательного цикла был проведен анкетирование, целью которого было выявить отношения ЛПР из Азербайджана, Армении, Беларуси, Кыргызстана, Молдовы, России, Таджикистана, Узбекистана к методологии ОТЗ и возможность ее внедрения в данных странах. На основании данного опроса и был подготовлен обзор текущего состояния ОТЗ в этих странах и была показана возможность внедрения методологии оценки технологий в действующие системы здравоохранения этих стран.

Анкетирование

Анкетирование проводилось после посе-

щения участниками лекций по теме «Оценка технологий здравоохранения», на которой участники ознакомились с методологическими основами проведения ОТЗ, международным опытом, основными тенденциями проведения такой оценки. Были описан алгоритм, последовательность стадий оценки технологий здравоохранения, особое внимание было уделено истории зарождения данной методологии и влияния результатов таких исследований на результаты принятия решений в сфере здравоохранения в странах Европы и Северной Америки. На лекции по теме «ОТЗ на региональном уровне и мини-ОТЗ» участникам была предложена информация об особенностях систем ОТЗ на региональном уровне (в качестве примера были описаны наиболее успешные примеры применения ОТЗ - страна Басков, Венето, Квебек), а также на уровне лечебно-профилактических учреждений. [7] В этой секции особое внимание посвящено организации процесса оценки в данном типе учреждений, составу комиссии по ОТЗ и описанию процесса принятия решений в конкретном ЛПУ. В качестве примера были выбраны ведущие клиники Италии, Швеции и Канады, в которых активно используется методология мини-ОТЗ. [5,6]

Далее приведем обзор мнений ведущих лиц, принимающих решения, в Азербайджане, Армении, Беларуси, Кыргызстане, Молдове, России, Таджикистане, Узбекистане по основным вопросам, связанным с оценкой технологий здравоохранения.

Азербайджан

Представитель Центра инноваций и снабжения Минздрава Азербайджана считает, что внедрение ОТЗ в систему здравоохранения Азербайджана необходимо, по его мнению, наиболее актуальной будет оценка лекарственных средств. Эксперт полагает, что организация должна быть независимым органом, однако финансирование должно производиться из средств Минздрава. Было отмечено, что отсутствие специалистов в данной сфере является ключевым фактором, препятствующим развитию ОТЗ в Азербайджане.

Специалист также считает актуальным в будущем проведение ОТЗ в регионах Азербайджана и в наиболее крупных ЛПУ. Однако, препятствием этому может стать ограниченность бюджетов.

Армения

Заместитель Научного Центра экспертизы лекарственных средств выразил уверенность в необходимости внедрения ОТЗ в систему здравоохранения Армении. Специалист отметил, что такую оценку необходимо проводить для лекарственных средств, медицинской техники, медицинских процедур, диагностических программ, программ реабилитации и организационных систем. Было отмечено, что агентство по ОТЗ может быть как независимой организацией, так и являться подразделением Минздрава. Предпочтительной схемой финансирования таких агентств в Армении было бы финансирование Министерством Здравоохранения. Специалист отметил, что отчасти фармакоэкономическими исследованиями в республике занимается Центр экспертизы лекарственных средств Армении, однако ограниченность бюджетных средств и отсутствие структурированной политики Минздрава в области ОТЗ препятствуют проведению полных исследований по ОТЗ.

Беларусь

Начальник отдела организации лекарственного обеспечения Минздрава Республики Беларусь и научный сотрудник Лаборатории основ стандартизации и оценки медицинских технологий Минздрава РБ отметили, что внедрение ОТЗ в систему здравоохранения Беларуси необходимо, особенно актуальной данная оценка будет для ЛС, медицинской техники и медицинских процедур, а также для диагностических программ. Было отмечено, что агентство по ОТЗ должно быть подразделением Минздрава, получать финансирование из его источников, также допускается совместное финансирование фармацевтическими компаниями. Республиканский центр медицинских технологий проводит частичную оценку технологий здравоохранения, однако отмечается, что полномасштабное применение ОТЗ в Беларуси осложняется отсутствием информации у организаторов здравоохранения о преимуществах данной методики.

Кыргызстан

Из республики Кыргызстан на данном семинаре присутствовали представители фонда ОМС и министерства здравоохранения. Все опрошенные из этой страны подтвердили необходимость и готовность внедрять ОТЗ в местную систему здравоохранения. Наиболее актуальна для этой страны оценка ЛС, медицинских процедур, медицинской

техники.

Мнения экспертов разделились при ответе на вопрос «В чьем подчинении по вашему мнению должно находиться подразделение по ОТЗ?». В частности, 50% опрошенных высказались за структуру в подчинении Минздрава, и 50% считают, что независимая форма предпочтительнее. Было отмечено, что важным является присутствие независимых представителей в наблюдательном совете будущего подразделения. В качестве пояснения было указано на возможность конфликта интересов, ввиду того, что Минздрав не сможет руководить и финансировать ведомства ОТЗ одновременно. Также эксперты обратили внимание на ограниченный бюджет местного Минздрава.

Были получены разные ответы на вопрос об источниках финансирования: 2 эксперта высказались за участие Минздрава, 1 эксперт за преобладание средств страховых компаний, 1 эксперт за необходимость привлечения средств фармацевтических компаний, пятый представитель выбрал совместное участие Минздрава и фарм.компаний.

К факторам, препятствующим развитию ОТЗ в Кыргызстане были отнесены: ограниченный бюджет, низкий уровень принятия решений в здравоохранении, недостаточный уровень знаний для эффективной оценки расходов государственного бюджета и государственных закупок.

Молдова

По мнению авторов, ответы представителей Молдовы наиболее показательны, так как в их делегации присутствовали и врачи-регуляторы из Агентства медикаментов и медицинской техники, и представители академического сообщества, а также организаторы здравоохранения (заведующий Департаментом медикаментов Национальной Страховой Медицинской Компании).

Все опрошенные заявили о необходимости внедрения ОТЗ, в частности, заведующий Департаментом медикаментов ОМС указал о планах проведения пилотного проекта по ОТЗ при поддержке национальной страховой компании. Мнение о том, в чьем подчинении должна находится организация по ОТЗ разделились: представитель Департамента ОМС высказался за независимую форму, и представитель кафедры социальной медицины и экономист здравоохранения выступили за форму работы в подчинении Минздраву, представитель врачебного сообщества допустила оба варианта разви-

тия ОТЗ. Источник финансирования также стал спорным вопросом: в частности, представитель Департамента ОМС выступил за финансирование из таких источников, как фарм. компании и страховые компании, остальные опрошенные выбрали финансирование из средств Минздрава. В качестве основного фактора, препятствующего развитию ОТЗ в Молдове, опрошенными было отмечено отсутствие заинтересованности в этом у местного Минздрава.

Было отмечено, что специалисты заинтересованы во внедрении методологии мини-ОТЗ и ОТЗ на уровне регионов, однако это является проблематичным ввиду непонимания руководителями ЛПУ и регионов методологии ОТЗ и отсутствия ресурсов для ее внедрения.

Россия

Проведение ОТЗ на региональном уровне особенно актуально для Российской Федерации. Предполагаемое подразделение по ОТЗ должно быть в подчинении у Министерства здравоохранения региона, финансирование может осуществляться из средств бюджета. В России есть печатные издания интернет-ресурсы, в которых можно найти данные о проведенных ОТЗ. В качестве отрицательных факторов отмечено, что недостаточная информированность ЛПР о преимуществах методологии замедляет развитие ОТЗ в регионах. Опыт региона Венето заинтересовал представителей России. В частности, было отмечено, что подразделению по ОТЗ в Венето организована структура из 11 специалистов (экономисты, врачи, провизоры, статистики) с привлечением внештатных консультантов, а финансирование осуществляется из средств региона. Также в анкете было указано, что полностью копировать такую модель ОТЗ нецелесообразно, из-за различий в размерах регионов и различной удаленности городов от центра.

Таджикистан

При опросе представителей Таджикистана было учтено мнение как представителя Министерства здравоохранения и социальной защиты населения (начальник управления медицинского и фармацевтического образования, кадровой политики и науки МЗСЗН), так и представителя академического сообщества (Таджикский государственный медицинский университет имени Абуали ибни Сино). Следует отметить, что мнения опрошенных во многом сошлись, в

частности оба эксперта отметили необходимость внедрения ОТЗ в Таджикистане, важную роль Министерства здравоохранения и социальной защиты населения в развитии данной методологии. В качестве проблемных факторов были отмечены ограниченные финансовые ресурсы, при этом большое внимание следует уделить подготовке специалистов в данном направлении. Было отмечено, что иностранный опыт ОТЗ должен быть принят с ограничениями ввиду различий в ВВП Таджикистана и западных стран.

Узбекистан

Директор Центра приватизации и организации платных медицинских услуг и начальник отдела Центра политики лекарственных средств и изделий медицинского назначения Главного управления по контролю качества лекарственных средств и медицинской техники Минздрава Республики Узбекистан полагают, что внедрение ОТЗ необходимо для здравоохранения Узбекистана. ЛС и медицинская техника были выбраны как приоритетные направления оценки. Эксперты были едины в мнении, что будущее подразделение по ОТЗ должно быть внедрено в структуру Минздрава. В качестве факторов, препятствующих развитию методологии, были названы: отсутствие специалистов по ОТЗ, отсутствие достаточного опыта ЛПР принимать решения на доказательной основе. В вопросах о региональном ОТЗ было отмечено, что принятие политики оценки технологий на региональном уровне на данный момент является более актуальной задачей. Было отмечено, что зарубежный опыт ОТЗ рекомендуется адаптировать с учетом местных условий страны.

Результаты

Итак, в рамках анкетирования все ЛПР в сфере здравоохранения отметили, что оценка технологий здравоохранения необходима при принятии решений в здравоохранении их стран. Большинство опрошенных (25% опрошенных) полагают, что лекарственные средства должны стать приоритетной целью ОТЗ в данных странах, 19% указали диагностические программы и медицинскую технику в качестве приоритета в своих странах. (Рис.1)

65% опрошенных считают, что организация по ОТЗ должна финансироваться Министерством Здравоохранения, 20% видят важную роль фармацевтических компаний в финансировании, а 15% полагают, что за

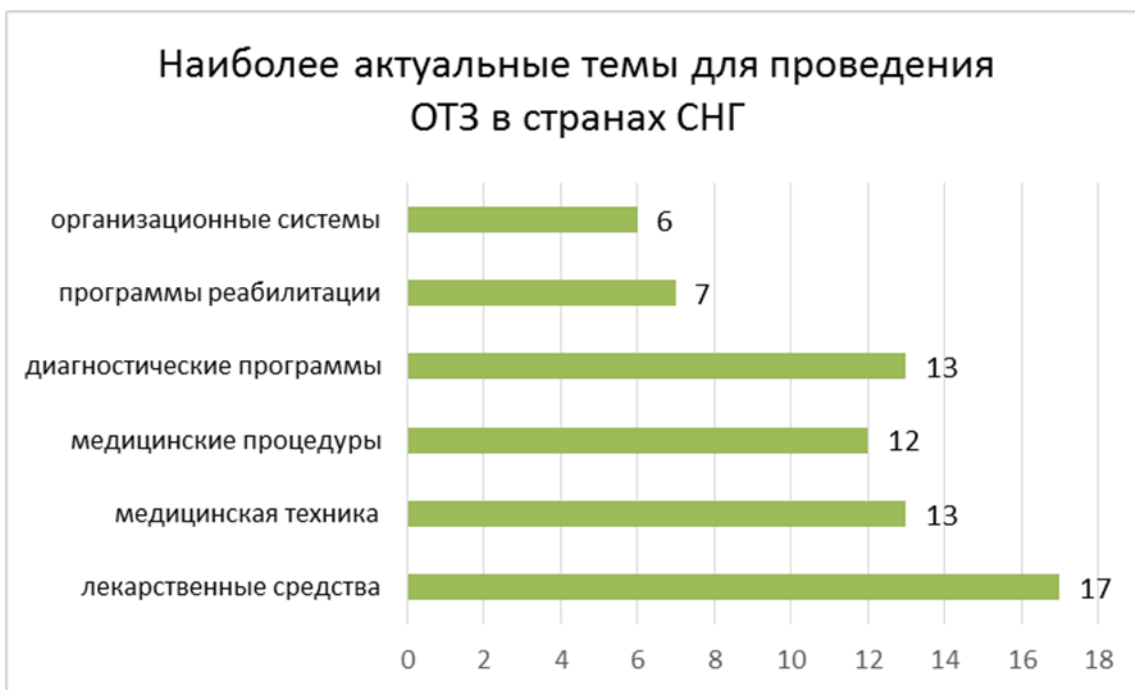


Рисунок 1.

Наиболее актуальные темы для проведения ОТЗ в Азербайджане, Армении, Беларуси, Кыргызстане, Молдове, России, Таджикистане, Узбекистане

финансирование организации по ОТЗ должны отвечать страховые компании. (Рис.2)

При этом 65% опрошенных считают, что подразделение должно быть подведомственным министерству здравоохранения, а 35% полагают, что организация по ОТЗ должна быть независимой. (Рис.3)

В качестве факторов, сдерживающих развитие ОТЗ в указанных странах, были

названы: лимитированный бюджет, отсутствие квалифицированных кадров, отсутствие политической воли, недостаток информации о методологии ОТЗ и ее преимуществах, нестабильная социально-политическая обстановка. Все опрошиваемые, кроме представительницы России, отметили, что в их странах нет печатных изданий или интернет-ресурсов, в которых они мог-

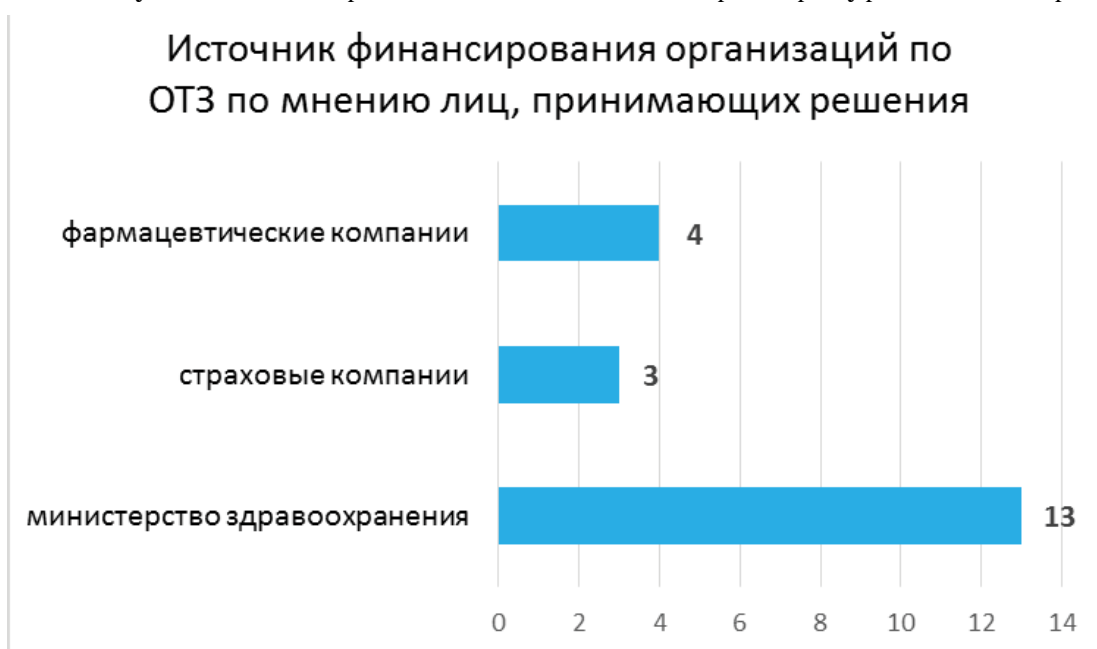


Рисунок 2.

Источники финансирования организаций по ОТЗ по мнению ЛПР



Рисунок 3.

Предполагаемая структура организаций по ОТЗ

ли бы найти данные о проведенных ОТЗ. Следует отметить, что лица, принимающие решения также считают необходимым внедрение регионального ОТЗ в своих странах (82% опрошенных) и структур мини-ОТЗ на уровне ЛПУ (100% опрошенных). При обсуждении модели работы мини-ОТЗ мнения разделились. 53% опрошенных считают предпочтительным создание комитетов по оценке технологий здравоохранения при ЛПУ, 47 % выступают за запрос экспертной оценки консультантов из других учреждений (модель Амбассадор).

Заключение

Как следует из проведенного исследования, оценка технологий здравоохранения в высшей степени актуальна для лиц, принимающих решения в Азербайджане, Армении, Беларуси, Кыргызстане, Молдове, Таджикистане, Узбекистане. Несмотря на особенности системы здравоохранения каждой страны, можно отметить общую заинтересованность в объективной и всеобъемлющей оценке государственных программ в сфере здравоохранения, основанной на принципах фармакоэкономики и доказательной медицины.

Литература:

1. Хабриев Р.У., Ягудина Р.И., Правдюк Н.Г. Оценка технологий здравоохранения. М.: ООО «Медицинское информацион-

ное агенство», 2013. – 416 с.

2. Хабриев Р.У., Ягудина Р.И., Аринина Е.Е., Угрехелидзе Д.Т., Скоробогатов В.К. Оценка технологий здравоохранения. Международный опыт и перспективы развития. Современная организация лекарственного обеспечения. 2014. № 2. С. 16-22

3. Хабриев Р.У., Ягудина Р.И., Аринина Е.Е., Угрехелидзе Д.Т. Обзор существующих систем оценки технологий здравоохранения в странах с различным уровнем доходов. Современная организация лекарственного обеспечения. №1.2015. С.6-16

4. Ягудина Р.И., Угрехелидзе Д.Т. Перспективы развития оценки технологий здравоохранения в странах Союза Независимых Государств и Грузии // Современная организация лекарственного обеспечения. -2015. - №2. - С.5-11

5. Banta D. The development of health technology assessment. Health Policy 2003; 63(2): 121-132.

6. Oortwijn W, Broos P, Vondeling H, Banta D, Todorova L. Mapping of health technology assessment in selected countries. Int J Technol Assess Health Care 2013; 29(4): 424-434

7. Velasco Garrido M, Kristensen FB, Palmhoj Nielsen C, Busse R. Health technology assessment and health policy-making in Europe: Current status, challenges and potential. Copenhagen: World Health Organization, The European Observatory on Health Systems and Policies; 2008

ОСОБЕННОСТИ ЛЕКАРСТВЕННОГО ОБЕСПЕЧЕНИЯ ПАЦИЕНТОВ С СИСТЕМНОЙ КРАСНОЙ ВОЛЧАНКОЙ В РОССИЙСКОЙ ФЕДЕРАЦИИ

Почуприна А.А.

ФГБУ «Научный центр экспертизы средств медицинского применения» Минздрава России, Москва

Резюме: Системная красная волчанка представляет собой комплексное аутоиммунное заболевание, которое может сопровождаться множеством поражений различных органов и систем. В данной статье проведен обзор существующих подходов к лечению пациентов с системной красной волчанкой в Российской Федерации. Рекомендации по лечению пациентов с системной красной волчанкой, разработанные Ассоциацией ревматологов России, отображают основные направления для профилактики обострений, ранней диагностики заболевания, а также основные принципы при выборе терапии для лечения пациентов с различными клиническими проявлениями системной красной волчанки. Лечение пациентов с данной нозологией проводят различными препаратами, многие из которых не имеют данного диагноза для показания к применению в утвержденных инструкциях по медицинскому применению и нашли свое использование только по off-label показаниям. Новым этапом в лечении пациентов с системной красной волчанкой стало появление инновационного таргентно-направленного генно-инженерного биологического лекарственного препарата – белимумаба, который стал первым препаратом, одобренным за последние 50 лет для лечения больных СКВ Управлением по контролю за продуктами питания и лекарственными средствами США (Food and drug administration), а также утвержденным Ассоциацией ревматологов России видом терапии для пациентов, имеющих высокую иммунологическую и клиническую активность, без клинических признаков активного волчаночного нефрита и поражения центральной нервной системы.

Ключевые слова: Системная красная волчанка, волчаночный нефрит, глюкокортикостероиды, люпус-нефрит, рекомендации, белимумаб, нейро-люпус, В-лимфоциты, аминокинолиновые препараты, аутоантитела

Features of provision of medicines of patients with a system red volchanka in the Russian Federation

Pochuprina A.A.

FSBI «Scientific Center of Medical Expertise» Ministry of Health of Russia, Moscow

Abstract: Systemic lupus erythematosus is a complex autoimmune disease that may be accompanied by a variety of lesions of various organs and systems. This article presents review of existing approaches to the treatment of patients with systemic lupus erythematosus in the Russian Federation. Recommendations for treatment of patients with systemic lupus erythematosus, developed by the Association of Rheumatologists of Russia, represent the main directions for the prevention of exacerbations, early diagnosis of diseases, as well as reflect the basic principles in the selection of therapy for the treatment of patients with different clinical manifestations of systemic lupus erythematosus. Treatment of patients with this disease conducted various drugs, many of which do not have this diagnosis for the indications for use in approved instructions for medical use and found its use only for off-label indications. A new stage in the treatment of patients with systemic lupus erythematosus has been the emergence of innovative target genetically engineered biological drug - belimumab (Benlista®). It became the first drug approved in the last 50 years for the treatment of patients with SLE by FDA, and approved by the Association of Russian rheumatologists as type of therapy for patients with a high clinical and immunological activity without clinical signs of active lupus nephritis and central nervous system.

Key words: Systemic lupus erythematosus, lupus nephritis, glucocorticoids, lupus nephritis, recommendations belimumab, neuro-lupus, B-lymphocytes, aminohinoline drugs, autoantibodies

Введение

Системная красная волчанка (СКВ) является комплексным аутоиммунным заболеванием, основу патогенеза которого связывают с гиперпродукцией аутоантител к ядерным антигенам с дальнейшим иммуновоспалительным повреждением тканей и органов [1,2,3,4]. Наиболее часто СКВ поражает женщин детородного возраста, по данным различных исследований мужчины заболевают в 8-15 раз реже, чем женщины [4]. В возрастных группах от 15 до 64 лет заболеваемость СКВ у женщин в 6–10 раз превышает таковую у мужчин [5]. По объединенным результатам эпидемиологических исследований, проведенных в Европе и США в период 1950-2006 гг., средняя распространенность СКВ составила около 50 человек на 100 тыс. человек [1]. В то же время, согласно результатам эпидемиологического исследования, проведенного в России (Ярославле и Курске), было продемонстрировано, что распространенность СКВ в указанных регионах находится на уровне 9 человек на 100 тыс. человек, что значительно меньше, чем в Европе [6]. Но, тем не менее, в последнее время отмечен рост заболеваемости СКВ, что связано с повышением качества диагностики ревматологических заболеваний [5].

Патогенез

В основе патогенеза СКВ лежит утрата иммунологической толерантности к собственным антигенам, что связывают с одновременной поликлональной активацией В-лимфоцитов и антигенспецифической Т-зависимой стимуляцией синтеза аутоантител к хроматину и его отдельным компонентам [7,8]. Развитие многих клинических проявлений СКВ связано с повреждением тканей, обусловленным образованием циркулирующих иммунных комплексов, которые, обладая высокой антигенной активностью, откладываются в различных органах и тканях, и, тем самым, активируя систему комплемента, приводят к генерации хемотаксических факторов и миграции лейкоцитов и мононуклеаров и их дальнейшему участию в фагоцитозе, что способствует высвобождению медиаторов воспаления. Деструкция соединительной ткани, наблюдаемая в очаге воспаления, способствует высвобождению новых нуклеарных антигенов, к которым образуются новые антитела.

Таким образом, для патогенеза СКВ характерна цикличность образования аутоантител, что обуславливает хронический характер заболевания [7,8].

Следует отметить, что увеличение концентрации аутоантител также связывают с гиперпродукцией стимулятора В-лимфоцитов (В-lymphocyte stimulator — BlyS), функции которого заключаются в активации, дифференцировке В-клеток, а также к увеличению «выживаемости» аутоантигенопродуцирующих В-клеток за счет предотвращения их селекции и апоптоза. Молекула BlyS является существует в двух формах - связанной с клеточной мембраной и растворимой (pBlyS) формы, только последний pBlyS проявляет биологическую активность [9]. Одним из доказательств, наличия такого пути в механизме развития заболевания, послужили результаты, полученные при изучении трансгенных мышей с гиперэкспрессией BlyS, где было показано, что его гиперпродукция ассоциируется с развитием волчаноподобных аутоиммунных проявлений. Также у мышей, у которых был обнаружен спонтанно развивающийся волчаночноподобный синдром (MRL/Mr-lpr/lpr, NZB/NZW F1), выявлена гиперпродукция BlyS, и в то же время при введении рецептора pBlyS наблюдалось увеличение продолжительности жизни животных [8,10]. Таким образом, BlyS является одним ключевых звеньев патогенеза СКВ.

Клинические проявления

Клиническая картина у пациентов с СКВ может колебаться от незначительных поражений кожи и суставов до тяжелых осложнений, связанных с повреждениями почек, желудочно-кишечного тракта, а также сердечно-сосудистой и центральной нервной систем, которые могут варьировать по времени проявления в зависимости от степени активности заболевания [6,8]. Как правило, у части больных СКВ начинается остро, характеризуясь высокой лихорадкой или выраженной общей слабостью, артритом, миалгиями, перикардитом, плевритом, миокардитом и симптомами поражения ЦНС. В других случаях заболевание начинается с появления недомогания или субфебрильной температуры, артралгий, или миалгий, эритематозных высыпаний, язвочек слизистой рта или носоглотки. В связи с неоднозначным началом СКВ и широким спектром клинических и лабораторных проявлений

нередко диагноз устанавливается с большим опозданием (месяцы и даже годы) [6,8].

Как было замечено ранее, СКВ представляет собой комплексное заболевание, для которого характерна поливариантность течения и клинической картины. Однако, среди многообразия клинических проявлений выделяют конституциональные симптомы, которые представляют собой типичные

проявления СКВ и отражают активность патологического процесса: слабость, снижение массы тела, лихорадка, анорексия [6,8].

Все остальные симптомы принято делить по системам и органам:

Походы к лечению

Основной целью лечения СКВ является

Таблица 1.

Характерные повреждения у пациентов с СКВ [11,12]

| Система или орган | Повреждения, характерные для СКВ |
|------------------------------|---|
| Поражения кожи | <ul style="list-style-type: none"> - дискоидные очаги; - эритема, локализующаяся на лице, шее, в области крупных суставов с образованием фигуры «бабочки» на лице; - фотосенсибилизация; - распространенные фоточувствительные чешуйчатые папулосквематозные или анулярные полициклические бляшки (подострая кожная волчанка); - алопеция (генерализованная, так и очаговая); - панникулит; - васкулит: пурпура, крапивница, околоногтевые или подногтевые микроинфаркты; - сетчатое ливедо |
| Поражение слизистых оболочек | <ul style="list-style-type: none"> - хейли |
| Поражения суставов | <ul style="list-style-type: none"> - артралгия; - артрит: симметричный неэрозивный полиартрит, затрагивающий мелкие суставы кистей, лучезапястные и коленные суставы; - хронический волчаночный артрит: характерны стойкие деформации и контрактуры, («шея лебедя», латеральная девиация); - асептический некроз: чаще возникает головки бедренной кости и плечевой кости |
| Поражение мышц | <ul style="list-style-type: none"> - миалгия; - мышечная слабость; - миастения (очень редко) |
| Поражение легких | <ul style="list-style-type: none"> - плеврит; - волчаночный пневмонит; - легочная гипертензия |
| Поражения сердца | <ul style="list-style-type: none"> - перикардит; - миокардит; - нарушением ритма, и проводимости; - эндокардит; - коронарит (возможно развитие васкулита коронарных артерий, или даже инфаркта миокарда); |

| | |
|---|--|
| Поражения почек: | - волчаночный нефрит развивается у 50 % пациентов. По классификации ВОЗ волчаночный нефрит делят на шесть классов: - класс I (отсутствие изменений); - класс II (мезангиальный); - класс III (очаговый пролиферативный); - класс IV (диффузный пролиферативный); - класс V (мембранозный); - класс VI (хронический гломерулосклероз) |
| Поражение нервной системы: | - головная боль мигренозного характера; - судорожные припадки (большие, малые, по типу височной эпилепсии); - поражение черепных нервов; - острый психоз; - инсульты, поперечный миелит; - периферическая невропатия (симметричная или двигательная); - органический мозговой синдром |
| Поражение ретикулоэндотелиальной системы: | лимфаденопатия |

наступление ремиссии и снижение риска возникновения коморбидных заболеваний, для достижения которых пациентам, в первую очередь, необходимо соблюдать профилактические меры. Согласно рекомендациям Ассоциации ревматологов России пациентам следует избегать факторов, способных спровоцировать обострение заболевания, представленных ниже:

- инсоляции;
- интеркуррентные инфекции;
- стресс;
- курения;
- лишняя масса тела [7].

При лечении СКВ наиболее используемыми являются следующие группы препаратов: глюкокортикоиды (ГК), цитостатики и аминоинолиновые препараты. Специфичность лечения СКВ зависит от степени активности СКВ и индивидуальных особенностей организма пациента, а именно от: активности заболевания и степени проявлений аутоиммунного поражения тканей [7,8].

Пациенты с невысокой степенью активности СКВ и без поражений жизненно-важных органов

Так, для лечения пациентов с СКВ, имеющих невысокую степень активности и без поражений жизненно-важных органов, требуется назначение низких доз ГК или аминоинолиновых препаратов. Наиболее часто

пациентам с СКВ назначают гидроксихлортиазин особенно в случаях длительного лечения заболевания, так как его использовании в течение продолжительного периода времени позволяет снизить число обострений, активности и риска развития сердечно-сосудистых осложнений [7]. НПВС применяют редко и в течение короткого периода времени в виду наступления потенциальных нежелательных явлений. Также ограничения по приему препарата, связанные возникновением нежелательных явлений, характерны и для ГК. При длительном приеме ГК у больных необходимо контролировать и проводить профилактику возможных нежелательных явлений: остеопороза, сахарного диабета, атеросклероза, гиперлипидемии, артериальной гипертензии, поражения ЖКТ, катаракты и глаукомы. Назначение ГК является обязательным при средней и высокой активности СКВ и их применение практически не ограничено по длительности и может продолжаться в течение многих лет. Доза ГК при достижении улучшения может быть медленно уменьшена (обычно по 1 мг в 7-10 дней) до поддерживающей, которая варьирует в зависимости от течения болезни, поражения того или иного органа или системы, риска развития обострения, коморбидных заболеваний и осложнений [7,8].

Пациенты с высокой степенью активно-

сти СКВ и поражениями жизненно-важных органов

При высокой активности, прогрессирующем течении с поражением жизненно-важных органов, а также в случаях недостаточной эффективности ГК или с целью уменьшения дозы возможно, назначение цитостатиков (азатиоприн, мофетила микофенолат или метотрексат). Назначение цитостатиков также должно находиться под постоянным контролем, что связано с высоким риском развития бактериальных и вирусных инфекций, токсического гепатита и угнетения костномозгового кроветворения. Также согласно рекомендациям, утвержденным Ассоциацией онкологов России, предложен алгоритм по лечению пациентов люпус-нефритом и нейро-люпусом, представляющими одни из самых тяжелых органых повреждений [7,8].

Новым этапом в лечении пациентов с СКВ стало появление нового таргетно направленного генно-инженерного биологического препарата белимумаб. Он используется для пациентов с СКВ с высокой иммунологической и клинической активностью (высокий уровень анти-ДНК, снижение С3 и С4 компонентов комплемента, SLEDAI больше 6-10 баллов), без клинических признаков активного волчаночного нефрита и поражения ЦНС. Белимумаб назначается больным СКВ с преимущественным поражением кожи, слизистых оболочек, суставов, неактивным волчаночным нефритом (протеинурия ≤ 2 г), с не критическим уровнем анемии, тромбоцитопении, лейкопении, с частым развитием обострений и с зависимостью от приема средних и высоких доз ГК, высоким риском развития осложнений терапии (повреждения органов), инфекций. Первые 3 инфузии по 10 мг\кг веса назначаются в стационаре (0-14-28 день) и далее в амбулаторных условиях ежемесячно в течение не менее 6 месяцев [13] Отличием белимумаба от других лекарственных препаратов, традиционно применяемых при СКВ, является механизм действия, который затрагивает один из основных путей патогенеза СКВ: белимумаб связывает В - лимфоцитарный стимулятор (BLyS), что приводит к снижению дифференцировки и устойчивости к апоптозу В-лимфоцитов, играющих ключевую роль в развитии патологического иммуновоспалительного процесса [13,14].

Таким образом, рекомендации, разработанные Ассоциацией ревматологов России отображают современные подходы по ле-

чению пациентов с СКВ, которые должны быть соблюдены врачами-ревматологами при выборе метода лечения для пациента.

Литература

1. Шостак Н. А., Клименко А. А. Красная волчанка в практике терапевта и ревматолога—дифференциальный диагноз //Фарматека. — 2010. — №. 13. — С. 66-71.
2. Danchenko N., Satia J. A., Anthony M. S. Epidemiology of systemic lupus erythematosus: a comparison of worldwide disease burden //Lupus. — 2006. — Т. 15. — №. 5. — С. 308-318.
3. Lawrence R. C. et al. Estimates of the prevalence of arthritis and other rheumatic conditions in the United States: Part II // Arthritis & Rheumatism. — 2008. — Vol. 58. — №. 1. — P. 26-35.
4. Squance M. L. et al. Exploring lifetime occupational exposure and SLE flare: a patient-focussed pilot study //Lupus science & medicine. — 2014. — Vol. 1. — №. 1. — С. 23.
5. Симпозиум 47. Системная красная волчанка (часть I). Определение, эпидемиология, этиология и патогенез, диагностические критерии, лабораторная диагностика, классификация, прогноз и летальность//А.И. Дядык [и др.]/Новости медицины и фармации.- 2012.- 3 (401).
6. Nasonov E. et al. The prevalence and incidence of Systemic Lupus Erythematosus (SLE) in selected cities from three Commonwealth of Independent States countries (the Russian Federation, Ukraine and Kazakhstan) //Lupus. — 2013. — С. 0961203313512881.
7. Насонов Е. Л. и др. Белимумаб: прогресс в лечении системной красной волчанки //Научно-практическая ревматология. — 2012. — №. 5 (54).
8. Федеральные клинические рекомендации. Насонов Е.Л. URL.2015.: <http://www.rheumatolog.ru/experts/klinicheskie-rekomendacii> (Дата обращения: 01.01.2016.)
9. Science. 1999 Jul 9;285(5425):260-3. BLyS: member of the tumor necrosis factor family and B lymphocyte stimulator. Moore PA.
10. Arthritis Res Ther. 2010; 12(2): 111. Systemic lupus erythematosus and its ABCs (APRIL/BLyS complexes)William Stohl,
11. Системная красная волчанка. В кн.: Ревматология: Клинические рекомендации. Под ред. Е.Л. Насонова. М.: ГЭОТАР — Медиа, 2010: 429- 81.

12. Ревматология. Национальное руководство. Под редакцией Е.Л. Насонова, 2008

13. Инструкция по медицинскому применению белимумаба. URL.2015.: <http://grls.rosminzdrav.ru/grls.aspx?s=белимумаб> (Дата обращения: 01.01.2016).

14. Ginzler E. M. et al. Disease control and safety of belimumab plus standard therapy over 7 years in patients with systemic lupus erythematosus//The Journal of rheumatology. – 2014. – Т. 41. – №. 2. – С. 300-309

ФОРМИРОВАНИЕ ПЕРЕЧНЯ СПЕЦИАЛИЗИРОВАННЫХ ПРОДУКТОВ ЛЕЧЕБНОГО ПИТАНИЯ В СОВРЕМЕННЫХ УСЛОВИЯХ РОССИЙСКОЙ ФЕДЕРАЦИИ

Рыбченко Ю.В.

Кафедра организации лекарственного обеспечения и фармакоэкономики, Первый МГМУ им. И.М. Сеченова

Резюме: В настоящей статье проанализирована структура Постановления Правительства №333 и отражены основные этапы рассмотрения предложения о включении/исключении специализированного лечебного продукта питания в перечень специализированных продуктов лечебного питания для детей-инвалидов. Показана актуальность проведения фармакоэкономических исследований, направленных на сравнение клинико-экономических характеристик применения диетотерапии с использованием различных лечебных смесей у детей-инвалидов.

Ключевые слова: Диетотерапия, лечебные смеси, фармакоэкономический анализ, клинико-экономическое обоснование, правила включения/исключения, перечень специализированных продуктов лечебного питания, дети-инвалиды

The formation of list for specialized therapeutic food in modern conditions of the Russian Federation

Rybchenko Y.V.

Department of organization of medical provision and pharmacoconomics, I.M. Sechenov First Moscow State Medical University

Abstract: In this paper we analyze the structure of Government decree No. 333 and cover the main stages of the consideration of proposals for the inclusion/exclusion of specialized therapeutic food product in the list of specialized therapeutic food for children with disabilities. The relevance of conducting pharmaco-economic studies aimed at comparing clinical and economic characteristics of the application of diet therapy using various therapeutic mixtures in children with disabilities is presented.

Key words: Diet therapy, medical compounds, pharmaco-economic analysis, clinical and economic rationale, rules of inclusion/exclusion, the list of specialized therapeutic food for children with disabilities

В настоящее время фармакоэкономический анализ в Российской Федерации (РФ) динамично развивается и охватывает разнообразные методы лечения, в т.ч. в связи с утверждением Постановления Правительства РФ от 09.04.2015 г. №333 актуально проведение клинико-экономической (фармакоэкономической) оценки диетотерапии, которая является основным методом лечения ряда заболеваний [2].

Важно отметить, что для эффективности лечения и предотвращения необратимых нарушений функций организма диета должна быть назначена как можно раньше [3,4]. Для бесплатного получения детьми специализированного продукта лечебного питания в рамках программы государственных

гарантий оказания гражданам медицинской помощи лечебное питание должно быть включено в перечень в соответствии с Постановлением Правительства РФ от 09.04.2015 №333 [2].

В указанном документе установлены правила формирования перечня специализированных продуктов лечебного питания для детей-инвалидов, в которых говорится о соблюдении следующих критериев:

«...а) специализированный продукт должен пройти процедуру государственной регистрации в порядке, установленном техническим регламентом Таможенного союза «о безопасности пищевой продукции»

б) специализированный продукт применяется в качестве диетического лечебно-

го питания при лечении детей-инвалидов, больных орфанными заболеваниями — ..., а также больных целиакией, муковисцидозом, гистидинемией (далее — дети-инвалиды);

в) специализированный продукт имеет клинко-экономическое преимущество по сравнению с другими специализированными продуктами, используемыми в качестве диетического лечебного питания при лечении детей-инвалидов».

Как видно из вышеприведенной информации, основанием для включения в перечень лечебного питания является фармакоэкономическое исследование, в котором показано преимущество исследуемого препарата по отношению к сравниваемому [5].

Формирование перечня специализированных продуктов лечебного питания для детей-инвалидов осуществляется комиссией Министерства здравоохранения РФ (далее — комиссия), в состав которой входят представители Министерства здравоохранения РФ, Министерства финансов РФ, Министерства труда и социальной защиты РФ, Министерства промышленности и торговли РФ, Федеральной службы по надзору в сфере защиты прав потребителей и благополучия человека, Федерального медико-биологического агентства, Федерального агентства научных организаций, иных федеральных органов исполнительной власти,

государственных образовательных организаций высшего медицинского образования и медицинских научных организаций, а также общественных объединений, осуществляющих деятельность в сфере охраны здоровья, обращения специализированных продуктов и защиты прав детей-инвалидов.

При подаче предложения о включении/исключении специализированного продукта лечебного питания в государственные программы оказания медицинской помощи гражданам заявителем предоставляются данные клинко-экономических исследований, которые включают следующие сведения: авторы, наименование, дизайн исследования, виды используемых фармакоэкономических анализов, информация о продукте сравнения, значение затрат в рублях на сравниваемые лечебные продукты, эффективность сравниваемых лечебных продуктов, результаты исследования и список литературы, оформленный в соответствии с ГОСТ Р 7.05-2008 [1,6].

Постановление содержит 5 приложений, четыре из которых представляют собой форму для заполнения по завершении этапа рассмотрения предложения:

1) Форма предложения о включении специализированного продукта лечебного питания в перечень специализированных продуктов лечебного питания для детей-ин-

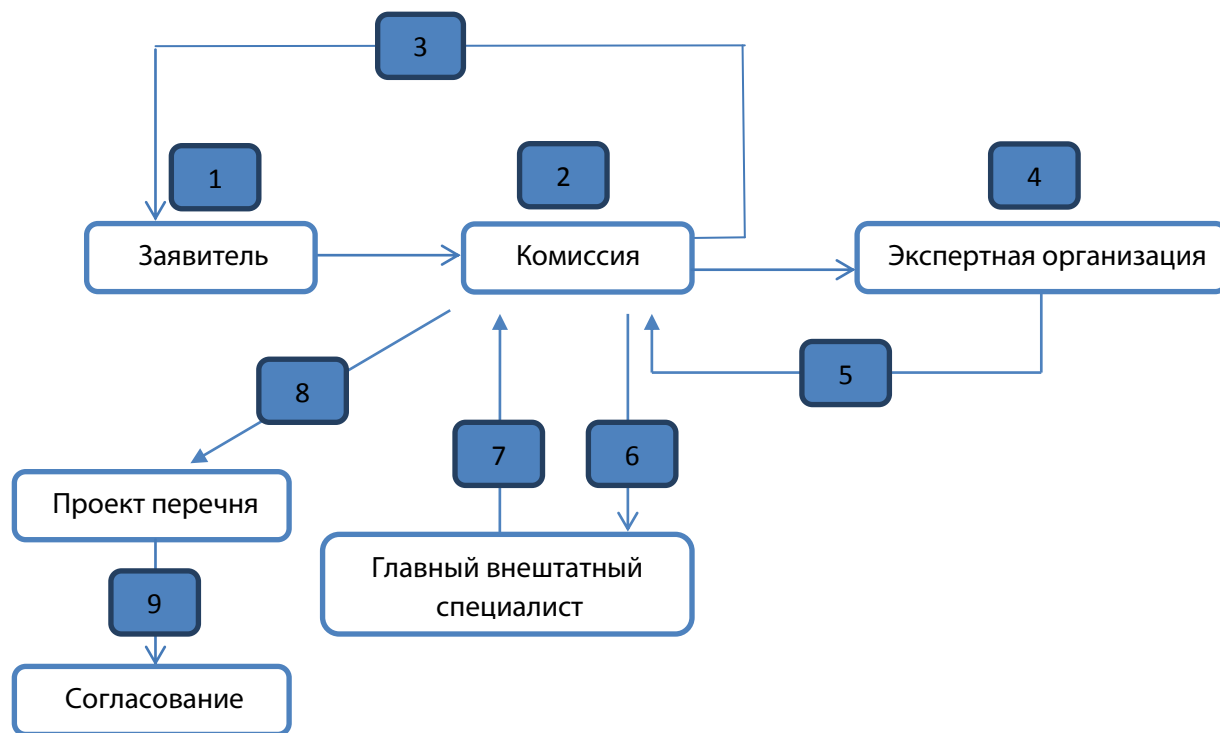


Рисунок 1.

Схема рассмотрения предложения о включении/исключении лечебного продукта в перечень

Таблица 1.

Количественная оценка клинико-экономической эффективности специализированного продукта лечебного питания

| Критерии оценки | Результат оценки | Процент отклонения | Шкала оценки (баллов) | |
|---|---|---|-----------------------|----|
| 1. Представленная стоимость курса или годового лечения специализированным продуктом лечебного питания | Выше стоимости лечения продуктом сравнения | 100 и более | -10 | |
| | | 80 – 100 | -8 | |
| | | 60 – 80 | -6 | |
| | | 40 – 60 | -4 | |
| | | 20 – 40 | -2 | |
| | Соответствует стоимости лечения продуктом сравнения | Не более 10 | 0 | |
| | | | | |
| | Ниже стоимости лечения продуктом сравнения | 10 – 20 | 1 | |
| | | 20 – 40 | 2 | |
| | | 40 – 60 | 4 | |
| | | 60 – 80 | 6 | |
| | 80 и более | 8 | | |
| Итоговая оценка по шкале оценки представленных затрат | | | | |
| 2. Преимущества по клинико-экономической эффективности специализированного продукта лечебного питания с продуктами сравнения (по каждому из представленных или найденных самостоятельно исследований) | Применение специализированного продукта лечебного питания приводит к снижению общих затрат (указать отдельно прямые и непрямые затраты) на оказание гражданам медицинской помощи в рамках программы государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи (влияние на бюджет) | До 20 | 2 | |
| | | 20 – 40 | 4 | |
| | | 40 – 60 | 6 | |
| | | 60 – 80 | 8 | |
| | | Более 80 | 10 | |
| | Применение специализированного продукта лечебного питания приводит не требует увеличения общих затрат (указать отдельно прямые и непрямые затраты) на оказание гражданам медицинской помощи в рамках программы государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи (влияние на бюджет) | - | 0 | |
| | | Применение специализированного продукта лечебного питания требует увеличения общих затрат (указать отдельно прямые и непрямые затраты) на оказание гражданам медицинской помощи в рамках программы государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи (влияние на бюджет) | До 20 | -2 |
| | | | 20 – 40 | -4 |
| | | | 40 – 60 | -6 |
| | | | 60 – 80 | -8 |
| | Более 80 | -10 | | |
| | Оценка затрат и эффективности (отношение показателя специализированного продукта лечебного питания и продуктов сравнения) | Снижение показателя | 1 | |
| | | Повышение показателя | | |
| | Итоговая оценка по шкале оценки преимущества специализированного продукта лечебного питания по клинико-экономической эффективности (отношение суммы баллов по каждому исследованию к количеству исследований) | | | |
| | Итоговая оценка клинико-экономической эффективности оценки специализированного продукта лечебного питания (сумма баллов оценки представленных затрат и итоговой оценки по шкале оценки преимущества специализированного продукта лечебного питания по клинико-экономической эффективности) | | | |
| Итоговая сумма баллов клинико-экономической оценки предложения (не менее +4) для рекомендации к включению специализированного лечебного питания в перечень | | | | |

валидов;

2) Форма предложения об исключении специализированного продукта лечебного

питания из перечня специализированных продуктов лечебного питания для детей-инвалидов;

3) Форма заключения по результатам проведения документальной экспертизы предложения о включении (исключении) специализированного продукта лечебного питания в перечень специализированных продуктов лечебного питания для детей-инвалидов;

4) Интегральные шкалы клинико-экономической оценки специализированных продуктов лечебного питания при проведении экспертизы;

5) Форма заключения по результатам поведения экспертизы предложения о включении (исключении) специализированного продукта лечебного питания в перечень специализированных продуктов лечебного питания для детей-инвалидов

На рисунке 1 схематично представлены этапы рассмотрения предложения о включении/исключении лечебного питания в перечень:

1. Подача заявителем предложения о включении/исключении лечебного продукта (приложение 1/приложение 2) до 31 марта (включительно);

2. Документальная экспертиза в течение 15 дней, по результатам которой составляется заключение (приложение 3);

3. В случае отклонения предложения: в течение 7 дней заявителю направляют заключение. Доработанное заявителем предложение с устраненными замечаниями может быть повторно направлено до 1 июня (включительно) текущего года;

4. В случае положительного заключения: в течение 7 дней заключение направляют в экспертную организацию, где в течение 30 дней проводится клинико-экономическая оценка (на основе интегральных шкал, приложение 4), по результатам которой формируется заключение экспертизы (приложение 5) (таблица 1);

5. Экспертная организация предоставляет заключение по результатам экспертизы в комиссию;

6. В течение 7 дней результаты экспертизы и предложение направляют главному внештатному специалисту Министерства Здравоохранения РФ;

7. В течение 15 дней главный внештатный специалист составляет научно обоснованные рекомендации о включении (об исключении, отказе во включении) и представляет их в комиссию;

8. Решения по предложениям принимаются в течение 30 дней. Подготовленный по результатам заседаний комиссии проект

перечня специализированных продуктов размещается на официальном сайте в сети «Интернет» на срок не менее 15 дней;

9. Проект перечня подлежит согласовывающемуся с Министерством финансов РФ, Министерством труда и социальной защиты РФ и Министерством промышленности и торговли РФ.

Важно отметить, что клинико-экономическая оценка учитывает процент отклонения результата анализа затрат (стоимость курса или годового лечения) и анализа «влияния на бюджет» исследуемого продукта лечебного питания по отношению к сравниваемому, а также результаты анализа «затраты-эффективность» [7]. Итоговая сумма баллов клинико-экономической оценки для рекомендаций к включению специализированного продукта лечебного питания должна быть не менее «+4».

Таким образом, проанализировав структуру Постановления Правительства РФ №333, отражены основные этапы рассмотрения предложения о включении/исключении специализированного продукта лечебного питания в перечень и показано, что клинико-экономическая оценка является основанием при принятии решения при формировании указанного перечня. В связи с этим в современных условиях РФ актуально проведение фармакоэкономического анализа, направленного на сравнение различных специализированных продуктов лечебного питания, включенных в диетотерапию детей-инвалидов.

Список литературы

1. ГОСТ Р 7.0.5-2008. Национальный стандарт Российской Федерации. Система стандартов по информации, библиотечному и издательскому делу. Библиографическая ссылка. Общие требования и правила составления (утв. И введен в действие Приказом Ростехрегулирования от 28.04.2008 №95-ст).

2. Постановление Правительства РФ от 09.04.2015 г. №333 «Об утверждении Правил формирования перечня специализированных продуктов лечебного питания для детей-инвалидов».

3. Приказ Министерства здравоохранения и социального развития РФ от 22 марта 2006 г. №185 «О массовом обследовании новорожденных детей на наследственные заболевания»

4. Федеральные клинические рекомен-

дации по диагностике и лечению фенилкетонурии, М.:2013

5. Ягудина Р.И., Аринина Е.Е., Бабий В.В. Анализ факторов, влияющих на процесс принятия решения в области организации лекарственного обеспечения: теория принятия решений // Современная организация лекарственного обеспечения. - 2015. - №2 - С.19-23.

6. Ягудина Р.И., Куликов А.Ю., Серпик В.Г, Проценко М.В., Голоенко Н.Г. Развитие фармакоэкономического анализа соответствии с современными требованиями системы здравоохранения Российской Федерации. Ведомости научного центра экспертизы средств медицинского применения. – 2014. №3. С. 56-61.

7. Ягудина Р.И., Серпик В.Г., Угрехелидзе Д.Т. Методологические основы «влияния на бюджет» // Фармакоэкономика: теория и практика. - 2015. - Т.3, №4. - С.5-8

ФЕРМЕНТОПАТИИ - КАК ПАТОГЕНЕТИЧЕСКИ ОБУСЛОВЛЕННАЯ ГРУППА РЕДКИХ ЗАБОЛЕВАНИЙ

Королева Н.И.

Кафедра организации лекарственного обеспечения и фармакоэкономики Первого МГМУ им. И.М. Сеченова Минздрава России

Резюме: Редкие (орфанные) заболевания – крайне актуальная и многогранная тема, охватывающая целый ряд аспектов: от этиологии и патогенеза различных нозологий до этических, правовых и социальных последствий применения медицинских технологий пациентским контингентом. Данной статьей мы открываем подборку публикаций, раскрывающих суть этиологии и патогенеза редких заболеваний.

Ключевые слова: Редкие заболевания, патогенез, наследственные болезни обмена веществ, ферментопатия, нарушения обмена, генетика

Fermentopathy - as pathogenetically due to the group of rare diseases

Koroleva N.I.

Department of organization of medical provision and pharmacoconomics, I.M. Sechenov First Moscow State Medical University

Abstract: Rare (orphan) diseases is highly relevant and multifaceted subject, covering a range of aspects: from the etiology and pathogenesis of different diseases to the ethical, legal and social implications of the use of medical technology patient population. In this article, we open a collection of publications that reveal the essence of the etiology and pathogenesis of rare diseases.

Key words: Rare diseases, pathogenesis, hereditary metabolic diseases, fermentopathy, metabolic disorders, genetic

Патогенетически все редкие болезни следует подразделять на наследственные болезни обмена веществ (ферментопатии), врожденные пороки развития (аномалии морфогенеза) и комбинированные состояния, а также редкие опухоли, онкогематологические заболевания, инфекции и прочие патологии [1].

Наследственные болезни обмена веществ – в целом это обширный класс известных на сегодня порядка 800 моногенных заболеваний, суммарная частота которых оценивается как 1 случай на 5 000 – 7 000 новорожденных детей. Совокупность всех биохимических реакций или молекулярных механизмов, ассоциированных с наследственным аппаратом, изучена недостаточно. Эпидемиологические данные большинства наследственных ферментопатий носят разрозненный характер, базируясь на ретроспективном анализе выявленных случаев и результатах селективного и массового

скрининга [1,2]. В зависимости от вида пораженного метаболического пути весь класс ферментопатий подразделяется на 22 подкласса, основными из которых являются наиболее представленные и многочисленные по количеству нозологических форм лизосомные болезни накопления и митохондриальные болезни, а также органические ацидурии, аминокислотопатии, нарушения обмена углеводов, пероксисомные болезни и др. [1].

В данной статье будет рассмотрена последовательность биохимических процессов наследственных ферментопатий, а также будут проиллюстрированы основные из известных на сегодня патологий данной группы.

Итак, сначала происходит первичный дефект, когда мутантный ген воздействует на какой-либо белок. Далее запускается вторичная реакция взаимодействия уже измененного белка с другим структурным компонентом, что в итоге и определяет развитие

того или иного наследственного симптома- тического комплекса в полном разнообра- зии его клинических проявлений. Причем, подвергнуться изменениям со стороны де- фектного гена могут любые соединения: белки, участвующие в процессах свертыва- ния крови, белки системы комплемента, структурные, транспортные, рецепторные белки, пептидные гормоны, и наконец, фер- менты [1].

Для многих редких заболеваний основное звено патогенеза — это генетически обуслов- ленный дефицит ферментов (энзимов). Важ- ной функцией всех ферментов является их непосредственное участие в обмене амино- кислот, углеводов, липидов, пуринов и пи- римидинов, и других метаболитов. Таким образом, по причине генной мутации воз- никает полное ингибирование синтеза фер- ментов или стойкая функциональная недо- статочность ферментных систем органов и тканей — ферментопатия (энзимопатия). Де- фицит фермента, в свою очередь, влечет за собой нарушения обмена веществ, метабо- лизм которых энзим должен осуществлять в норме. Как результат — симптоматический комплекс различной степени выраженности. Краткие описания редких заболеваний как наследственных ферментопатий в рамках подгрупп в зависимости от биохимической принадлежности дефицитного фермента приведены ниже [1,3,4,5,6].

1. Ферментопатии синтеза мочевины

1. Цитруллинемия — заболевание, обу- словленное дефицитом фермента синтеза аргининянтарной кислоты, дебютирующее в первые месяцы жизни и клинически про- являющееся тремором конечностей, рвотой, судорогами, гиперрефлексией, мышечной гипотонией, коматозными состояниями, за- держкой нервно-психического развития, остеопорозом, гепатомегалией, гипераммо- ниемией.

2. Аргининянтарная ацидурия — заболе- вание, обусловленное дефицитом фермента лиаза аргининянтарной кислоты, дебютиру- ющее как в период новорожденности, так и в первые 1-2 года жизни, клинически прояв- ляющееся как цитруллинемия в раннем пе- риоде, так и выраженной неврологической симптоматикой с задержкой умственного развития и наличием ломких волос — в бо- лее позднем.

3. Гипераргининемия — заболевание, обусловленное дефицитом фермента арги-

наза, дебютирующее с первых дней и раз- вивающееся до 4-5 лет жизни, клинически проявляющееся фебрильными судорогами, гиперрефлексией, спастической диплегией, атаксией, гепатомегалией, задержкой ум- ственного развития.

4. Недостаточность орнитинтранскарбо- милазы - заболевание, обусловленное дефи- цитом фермента орнитинтранскарбомила- зы, дебютирующее в неонатальный период жизни, клинически сходное с цитруллине- мией.

2. Нарушения обмена серосодержащих аминокислот

1. Гомоцистинурия - заболевание, обу- словленное дефицитом фермента цистати- онин-бета-синтетаза, дебютирующее на 1-2 году жизни и клинически проявляющееся ускоренным ростом скелета, остеопорозом, кифосколиозом, специфической походкой, задержкой нервно-психического развития, эктопией хрусталика, судорогами, опасно- стью тромбоэмболий.

2. Цистатионинурия - заболевание, обу- словленное дефицитом фермента цистатио- ниназа, дебютирующее на 1-2 году жизни и клинически проявляющееся задержкой нервно-психического развития.

3. Нарушения обмена тирозина, гистидина

1. Тирозиноз (тирозинемия), тип I - заболе- вание, обусловленное дефицитом фермента фурамил-ацетоацетаза (с депонированием сукцинил-ацетоацетата и сукцинил-ацето- на), дебютирующее при рождении и кли- нически проявляющееся гепаторенальным синдромом, общим возбуждением, сомно- лентностью, желтухой, циррозом печени, рахитоподобным поражением костной си- стемы, отставанием в физическом развитии.

2. Тирозиноз (тирозинемия), тип II - за- болевание, обусловленное дефицитом фер- мента тирозин-аминотрансфераза, дебюти- рующее в раннем возрасте и клинически проявляющееся задержкой умственного и физического развития, изъязвлениями ро- говицы, кератозом ладоней, стоп и вторичной профирией.

3. Тирозиноз (тирозинемия), тип III - забо- левание, обусловленное дефицитом фермен- та оксидаза 4-гидроксинилпировиноградной кислоты, имеющее те же клинические про- явления, что и при II типе.

4. Гистидинемия - заболевание, обуслов-

ленное дефицитом фермента гистидаза (с депонированием имидазолкарбоновых кислот), дебютирующее от 1 года до 5 лет и клинически проявляющееся снижением интеллекта, гидроцефалией, изменением мышечного тонуса. В некоторых случаях возможно отсутствие клинических проявлений патологии, и большинство исследователей склонны рассматривать данное состояние как особенность метаболизма, а не болезнь.

4. Нарушения обмена аминокислот с разветвленной углеродной цепью (лейцин, изолейцин, валин)

1. Лейциноз (болезнь кленового сиропа) - заболевание, обусловленное дефицитом фермента декарбоксилаза аминокислот, дебютирующее в период новорожденности и клинически проявляющееся рвотой, летаргией, судорогами, неврологическими симптомами, гипорефлексией, нистагмом, задержкой психомоторного развития, специфическим запахом мочи.

2. Изовалериановая ацидурия - заболевание, обусловленное дефицитом фермента дегидрогеназа изовалериановой кислоты, дебютирующее в период новорожденности и клинически проявляющееся рвотой, судорогами, гиперрефлексией, атаксией, специфическим запахом тела, умеренным отставанием в нервно-психическом развитии.

5. Лизосомные болезни накопления (сфинголипидозы)

1. Липогранулематоз Фарбера - заболевание, обусловленное дефицитом фермента церамидаза (ацилсфингозиндеацилаза), дебютирующее в первые месяцы жизни и клинически проявляющееся стридером, низким голосом, отечностью суставов, подкожными узелками, задержкой психомоторного развития, гепатомегалией, наличием пигментных пятен на кожных покровах, подкожными гранулемами, подъемами температуры тела.

2. Болезнь Ниманна-Пика, тип А - заболевание, обусловленное дефицитом фермента сфингомиелиназа, дебютирующее в первые месяцы жизни и клинически проявляющееся рвотой, потерей массы тела, мышечной гипотонией, гипорефлексией, нарушением нервно-психического и физического развития, повторными пневмониями, гепато — и спленомегалией, вишнево-красным пятном на глазном дне.

3. Болезнь Ниманна-Пика, тип В, хроническая висцеральная форма - заболевание, отличающееся от типа А нормальным развитием ребенка в первые годы жизни и отсутствием вовлечения в патологический процесс ЦНС.

4. Болезнь Ниманна-Пика, тип С — заболевание, ассоциированное с нарушением внутрилизосомного транспорта липидов, характеризующееся накоплением гликолипидов в печени селезенке и клетках и клинически проявляющееся прогрессирующими неврологическими симптомами, такими как: вертикальный паралич зрения, катаплексия, дизартрия, дисфагия, атаксия, дистония, а также снижение когнитивных функций и гепатоспленомегалия.

5. Болезнь Гоше (глюкоцереброзид липидоз), детская острая прогрессирующая нейропатическая форма - заболевание, обусловленное дефицитом фермента кислая бета - глюкозидаза, дебютирующее с 6 месяцев жизни и клинически проявляющееся ригидностью затылочных мышц, мышечной гипертензией, страбизмом, стридером, судорогами, апатией, гепато — и спленомегалией, пневмониями.

6. Болезнь Гоше (глюкоцереброзид липидоз), ювенильная подострая форма - заболевание, обусловленное дефицитом фермента кислая бета-глюкозидаза, дебютирующее в 1-2 годы жизни и клинически проявляющееся гепато — и спленомегалией, лихорадкой, абдоминальными коликами, гипертонией мышц, гиперрефлексией, хореатетонидными движениями.

7. Болезнь Гоше (глюкоцереброзид липидоз), хроническая висцеральная форма взрослого типа - заболевание, обусловленное дефицитом фермента кислая бета - глюкозидаза, дебютирующее во взрослом периоде жизни и клинически проявляющееся болями в костях, деформациями костей, переломами, некрозами и пигментацией кожи, анемией, гепато — и спленомегалией.

8. Болезнь Краббе (глободно-клеточная лейкоцистрофия) - заболевание, обусловленное дефицитом фермента галакто-цереброзид-бета-галактозидаза, дебютирующее с первых недель или месяцев жизни, иногда — в возрасте 2-5 лет и клинически проявляющееся нервно-мышечной возбудимостью, лихорадочными кризами, рвотой, нарушениями нервно-психического развития, опистотонусом, судорогами, гидроцефалией, атрофией зрительных нервов, слепотой, глухотой, децеребрационной ригидностью.

9. Метакрохроматическая лейкодистрофия - заболевание, обусловленное дефицитом фермента арилсульфатаза А (галактозил-3-сульфатцерамидсульфатаза), дебютирующее с 9 месяцев до 2 лет жизни и клинически проявляющееся нервно-мышечной возбудимостью, нарушениями нервно-психического развития, атаксией, некоординированными движениями, мышечной гипотонией, спастической параплегией ног, депигментацией пятна зрительного нерва.

10. Метакрохроматическая лейкодистрофия, поздняя форма - заболевание, обусловленное дефицитом фермента арилсульфатаза А (галактозил-3-сульфатцерамидсульфатаза), дебютирующее с 5 до 10 лет жизни и клинически проявляющееся аномалиями поведения, нарушениями зрения, медленной регрессией нервно-психического развития, психическими отклонениями, сходными с шизофренией.

11. Болезнь Фабри (церамид-тригексозидоз, гликофинголипидоз, диффузная ангиокератома) - заболевание, обусловленное дефицитом фермента альфа-галактозидазы А (α-GAL А, кодирующегося геном GLA), в результате чего происходит патологическое накопление гликолипида — глоботриаосилцерамида в кровеносных сосудах, тканях и органах. Дебют — в 5 до 15 лет жизни, клинические проявления: темно-красные телеангиэктазии, ангиокератомы, боли в конечностях, аневризмы, тромбозы в сетчатке глаз, поражение почек с развитием хронической почечной недостаточности, сердечная недостаточность, головная боль, судороги, гемиплегия, афазия.

6. Лизосомные болезни накопления (муколипидозы и ганглиозидозы)

1. GM1-гангиозидоз, тип I (детский) - заболевание, обусловленное дефицитом фермента кислая бета-галактозидаза, дебютирующее вскоре после рождения и клинически проявляющееся задержкой физического, позднее — нервно-психического развития, судорогами, гепато- и сплено-мегалией, мышечной гипотонией, грубыми чертами лица, макроглоссией, кифосколиозом, дещеребрационной ригидностью, вишнево-красном пятном на глазном дне.

2. GM1-гангиозидоз, тип II (ювенильный) - заболевание, обусловленное дефицитом фермента кислая бета-галактозидаза, дебютирующее с первого года жизни и клинически проявляющееся атаксией, задержкой

физического развития, потерей координации движений, спастической ди — и тетраплегией, судорогами, страбизмом, нистагмом, слепотой.

3. GM1-гангиозидоз, тип III (взрослый) - заболевание, обусловленное дефицитом фермента кислая бета-галактозидаза, дебютирующее с первого года жизни и клинически проявляющееся прогрессирующей спастической ди — и тетраплегией, атаксией, интеллектуальными нарушениями.

4. Болезнь Тея-Сакса, GM2-ганглиозидоз - заболевание, обусловленное дефицитом фермента N-ацетил-гексозаминидаза А, дебютирующее с 3-6 месяцев жизни и клинически проявляющееся кукольным лицом, задержкой физического и нервно-психического развития, судорогами, вишнево-красным пятном на глазном дне, слепотой, глухотой.

5. Болезнь Сандхоффа, GM2-ганглиозидоз, тип II - заболевание, обусловленное дефицитом фермента N-ацетил-гексозаминидаза А и В, дебютирующее в раннем возрасте и клинически аналогичное болезни Тея-Сакса.

6. I-клеточная болезнь, болезнь клеток с включениями (инклюзионно-клеточная болезнь), псевдо-Гурлер синдром, GM2-ганглиозидоз - заболевание, обусловленное множественной недостаточностью лизосомных гидролаз, дебютирующее с периода новорожденности и клинически проявляющееся задержкой роста, грубыми чертами лица, макроглоссией, кифозом, грыжами, тугоподвижностью суставов, отставанием в нервно-психическом развитии, систолическим шумом в сердце.

7. Лизосомные ферментопатии (гликопротеинозы)

1. Сиалидоз, тип I - заболевание, обусловленное дефицитом фермента нейраминидаза, дебютирующее с 8 до 12 лет жизни и клинически проявляющееся миоклонусом, болями в конечностях, полиневропатиями, вишнево-красным пятном на глазном дне.

2. Сиалидоз, тип II - заболевание, обусловленное дефицитом фермента нейраминидаза, дебютирующее с периода новорожденности до 4 года жизни и клинически проявляющееся так же, как и сиалидоз I типа.

3. Фукозидоз, тип I - заболевание, обусловленное дефицитом фермента альфа-фукозидаза печени и лейкоцитов плазмы, дебютирующее с 5 до 8 месяцев жизни и

клинически проявляющееся мышечной гипотонией, сменяющейся мышечным гипертонусом, задержкой развития вплоть до деменции, грубыми чертами лица, кифозом, гепато – и спленомегалией, частыми респираторными инфекциями.

4. Фукозидоз, тип II - заболевание, обусловленное дефицитом фермента альфа-фукозидаза печени и лейкоцитов плазмы, дебютирующее от 1 до 2 лет жизни и клинически проявляющееся нарушениями походки, атаксией, задержкой нервно-психического развития, мышечной гипо – или гипертонией, телеангиэктазиями на кожных покровах, гепато – и спленомегалией, кифосколиозом, повторными респираторными инфекциями.

5. Маннозидоз - заболевание, обусловленное дефицитом фермента альфа-маннозилаза, дебютирующее от 1 года до 3 лет и клинически проявляющееся частыми простудными заболеваниями, отитами, задержкой развития, нарушениями речи, аномалиями поведения, атаксией, глухотой, грубыми чертами лица, дизостозами, помутнением хрусталика, роговицы, миопией, гепато – и спленомегалией.

8. Ферментопатии обмена соединительной ткани

1. Гиперлизинемия - заболевание, обусловленное дефицитом фермента лизин-кетоглютаратредуктаза, дебютирующее со 2 года жизни и позже и клинически проявляющееся задержкой нервно-психического развития, костными аномалиями.

2. Синдром Элерса-Данлоса - заболевание, обусловленное дефицитом фермента лизилгидроксилаза, дебютирующее сразу после рождения и клинически проявляющееся задержкой физического и нервно-психического развития, чрезмерной растяжимостью кожных покровов, суставов, кифосколиозом, плохим заживлением раневых поверхностей, варикозным расширением вен, пролапсом митрального клапана, прогерией (преждевременным старением организма), марфаноподобным синдромом.

9. Другие аномалии обмена, связанные с ферментопатиями

1. Синдром Леша— Найхана - заболевание, обусловленное дефицитом фермента гипоксантин-гуанин-фосфорибозилтрансфераза, дебютирующее с первых месяцев жизни

и клинически проявляющееся рвотой, мышечной гипотонией, задержкой психомоторного развития, позднее – гиперрефлексией, мышечным гипертонусом, опистотонусом, склонностью к самоповреждениям, нефропатией, анемией.

2. Острая перемежающаяся порфирия - заболевание, обусловленное дефицитом фермента синтетаза уropорфириногена (порфобилиноген-деаминаза), дебютирующее в подростковом возрасте и клинически проявляющееся острыми болями в животе, диспепсическими расстройствами, задержками мочеиспускания, судорогами, психическими состояниями, парестезиями, артериальной гипертензией.

10. Лейкоцитарные ферментопатии

1. Тяжелая комбинированная иммунологическая недостаточность - заболевание, обусловленное дефицитом фермента аденозиндеаминаза лимфоцитов, дебютирующее с 3 по 6 месяцы жизни и клинически проявляющееся задержкой развития, гнойничковыми заболеваниями кожных покровов, гнойными отитами, септическими процессами, грибковым сепсисом, рахитоподобными изменениями костей.

2. Тяжелая комбинированная иммунологическая недостаточность - заболевание, обусловленное дефицитом фермента пури-нуклеотид-фосфорилаза лимфоцитов, дебютирующее с 3 по 6 месяцы жизни и клинически проявляющееся синдромом иммунодефицита, Т-клеточной недостаточностью, рецидивирующими микробно-воспалительными заболеваниями легких, кожных покровов, хроническими вирусными инфекциями.

3. Хроническая гранулематозная болезнь - заболевание, обусловленное дефицитом фермента оксидаза НАД - и НАДФ - фагоцитов, дебютирующее в раннем возрасте и клинически проявляющееся рецидивирующими гнойными и септическими процессами, образованием множественных гранулем в легких, печени и других органах, остеомиелитами, гепато - и спленомегалией, перикардитами.

4. Дефицит миелопероксидазы - заболевание, обусловленное недостатком фермента миелопероксидаза, дебютирующее в раннем возрасте и клинически проявляющееся рецидивирующими микробно-воспалительными заболеваниями легких, грибковыми инфекциями.

Таблица 1.

Наиболее частые ферментопатии, обуславливающие развитие метаболической энцефалопатии (нейродистресс-синдрома) в периоде новорожденности

| № | Биохимические проявления | Отсутствующий фермент |
|--|--|--|
| I. Ферментопатии токсического типа (с кетозом и кетоацидозом) | | |
| А. Органические ацидемии/аминоацидопатии | | |
| 1 | Лейциноз (болезнь кленового сиропа) | Декарбоксилаза кетокислот с разветвленной углеродной цепью |
| 2 | Метилмалоновая ацидемия | Метил-малонил-КоА-мутаза, а также ферменты, участвующие в метаболизме витамина B12 |
| 3 | Пропионовая ацидемия | Изовалерил-КоА-дегидрогеназа |
| Б. Гипераммониемия | | |
| 1 | Цитруллинемия | Синтетаза аргининянтарной кислоты |
| 2 | Аргининянтарная ацидурия | Лиаза аргининянтарной кислоты |
| 3 | Гипераргининемия | Аргиназа |
| 4 | Гиперлизинемия | Лизин-НАД-оксидоредуктаза |
| В. Галактоземия | | |
| 1 | Галактоземия, тип I | Галактозо-1-фосфатуридил-трансфераза |
| Г. Нарушения энергетического метаболизма | | |
| 1 | Лактат-ацидоз | Пируваткарбоксилаза, пируватдегидрогеназа, ферменты дыхательной цепи |
| 2 | Недостаточность сульфитоксидазы | Сульфитоксидаза |
| 3 | Дефицит карнитина | Ферменты транспорта карнитина, пальмитоил-карнитин-трансфераза |
| 4 | Патология дыхательной цепи митохондрий | Ферменты митохондриальных комплексов |
| II. Ферментопатии, проявляющиеся гипогликемией | | |
| 1 | Гликогеновая болезнь, тип I | Глюкозо-6-фосфатаза |
| 2 | Гликогеновая болезнь, тип III | Амило-1,6-гликозидаза |
| 3 | Непереносимость фруктозы | Фруктозо-1,6-бифосфатаальдолаза |
| 4 | Галактоземия | Галактозо-1-фосфатуридил-трансфераза |
| 5 | Тирозинемия, тип I | Фурамил-ацето-ацетаза |

В таблице 1 перечислены частые ферментопатии с указанием отсутствующих или находящихся в дефиците энзимов, недостаток которых приводит к развитию метаболической энцефалопатии (нейродистресс-синдрома) в периоде новорожденности.

В следующей статье данной подборки будет рассмотрена наиболее многочисленная подгруппа ферментопатий - болезни накопления, а также дана классификация наследственных заболеваний по характеру метаболических расстройств.

Литература

- [1] Ягудина Р.И., Королева Н.И. Редкие заболевания и орфанные лекарственные средства. – М. ООО «Издательство «Медицинское информационное агентство», 2015.
- [2] Материалы журнала Orphanet Journal of Rare Diseases, 2011-2013.
- [3] Большая медицинская энциклопедия. – М., 2012.
- [4] Пальцев М.А., Пауков В.С. Патология: Учебник. Гл. 28. – М., 2010.
- [5] Козлова С.И., Демикова Н.С., Семей-

нова Е., Блинникова О.Е. Наследственные синдромы и медико-генетическое консультирование. – 2-е изд., перераб. и доп. – М.: Практика, 1996. – 416 с.

[6] Бочков Н.П., Пузырев В.П., Смирнина С.А. Клиническая генетика: Учебник / Под ред. Н.П. Бочкова. – 4-е изд., доп. и перераб. – М., 2011.

НАУЧНО-ПРАКТИЧЕСКИЙ СЕМИНАР «СОВРЕМЕННЫЕ ПОДХОДЫ К ОЦЕНКЕ ИСПОЛЬЗОВАНИЯ ЛЕКАРСТВЕННЫХ СРЕДСТВ И ФАРМАКОЭКОНОМИКЕ»

На базе КГБУЗ "Краевая клиническая больница" в г. Барнаул 16 июня 2015 г. состоялся научно-практический семинар «Современные подходы к оценке использования лекарственных средств и фармакоэкономике». В мероприятии участвовало 132 слушателя, среди которых были сотрудники главного управления Алтайского края по здравоохранению и фармацевтической деятельности, провизоры, заведующие аптеками, главные врачи, заместители главного врача по экономическим вопросам, заведующие отделениями, клинические фармакологи, экономисты. С докладами выступили эксперты общественной региональной организации Московское Фармацевтическое Общество (МФО).

В начале семинара с приветственным словом выступил модератор образовательного мероприятия — начальник отдела лекарственного обеспечения и фармацевтической деятельности Кравец Елена Борисовна. Затем председателем МФО профессором Ягудиной Розой Исмаиловной был представлен доклад на тему «Современная организация лекарственного обеспечения населения в РФ», в рамках которого были раскрыты основные этапы развития и ключевые аспекты текущего состояния лекарственного обеспечения в отечественном здравоохранении. В следующем докладе эксперт МФО Проценко Марина Валерьевна зачитала доклад «Взаимозаменяемость лекарственных средств. Особая группа лекарственных препаратов — биоаналоги», который осветил проблемы фармакокинетической и клинической эквивалентности лекарственных средств, в частности в группе биотехнологических лекарственных препаратов. В рамках последующего доклада эксперт МФО Серпик Вячеслав Геннадьевич изложил основы методологии фармакоэкономического анализа, а также выделил ключевые особенности, на которые следует обращать внимание при анализе результатов фармакоэкономических исследований. Затем Серпик Вячеслав Геннадьевич представил доклад на тему «Фармакоэкономика

на уровне ЛПУ», где показал возможные подходы к применению фармакоэкономики в процессе принятия решений на уровне отдельного ЛПУ, а также привел примеры соответствующих исследований. В следующем докладе Проценко Марина Валерьевна раскрыла особенности фармакоэкономического анализа технологий здравоохранения, применяемых при онкологических заболеваниях. Кроме того, в докладе «Фармакоэкономика в онкологии» были представлены результаты проведенной экспертами МФО фармакоэкономической оценки лекарственных препаратов, используемых в лечении ряда онкологических заболеваний. Программу семинара завершил доклад эксперта МФО Бабий Владимира Вячеславовича на тему «Фармакоэкономика в онкогематологии», в котором содержалась информация о результатах фармакоэкономического анализа лекарственных препаратов, применяемых во второй линии терапии хронического лимфолейкоза.

В соответствии с утвержденной программой семинара с целью закрепления зачитанного материала слушателям были предложены для решения видеозадачи, при этом наиболее активных слушателей наградили печатными изданиями, которые посвящены методологии оценки технологий здравоохранения, фармакоэкономического анализа и результатам проведенных фармакоэкономических исследований в отдельных нозологиях.

После окончания научно-практического семинара слушателей и участников поздравили с наступающим днем медицинского работника, а также в торжественной обстановке вручили сертификаты.

