ТРУДОВОЕ ПРАВО, ПРАВО СОЦИАЛЬНОГО ОБЕСПЕЧЕНИЯ

РЕДКИЕ (ОРФАННЫЕ) ЗАБОЛЕВАНИЯ: ПРАВОВОЕ РЕГУЛИРОВАНИЕ В РОССИИ И ЗА РУБЕЖОМ

ВОЛКОВА Наталья Сергеевна, заместитель заведующего отделом социального законодательства Института законодательства и сравнительного правоведения при Правительстве Российской Федерации, кандидат юридических наук
117218, Россия, г. Москва, ул. Большая Черемушkinsкая, 34
E-mail: volkova@izak.ru

АКСУ Эльвина, бакалавр факультета права Американского университета Гирне, Турция
E-mail: elvina@russiacyprus.com

В статье рассматриваются вопросы правового регулирования редких (орфанных) заболеваний, представляющих собой хронические, нередко жизнеугрожающие заболевания или состояния, распространенность которых составляет от 0,65 до 1 промилле на тысячу жителей. Раскрываются проблемы регулирования редких заболеваний через призму отечественного и зарубежного опыта. В фокусе внимания авторов общие проблемы доступности лекарственной помощи лицам, страдающим орфанными заболеваниями; механизмы финансового обеспечения этой помощи; критерии отнесения заболеваний к редким.

Исследуются исторические предпосылки возникновения правового регулирования редких заболеваний и разработки лекарственных препаратов для таких заболеваний; практика российской нормативно-правовой регуляции вопросов, связанных с орфанными заболеваниями, как на федеральном уровне, так и на уровне субъектов Российской Федерации. Выявляются недостатки нормативно-правового регулирования редких заболеваний. Рассматриваются различные подходы к определению понятия «редкое (орфанное) заболевание», содержащиеся в зарубежном законодательстве.

Цель статьи — выявить современное состояние нормативно-правового регулирования орфанных заболеваний как в России, так и за рубежом. В числе задач: исследование сложившихся в мировой практике подходов к регулированию вопросов, связанных с редкими заболеваниями; изучение российской практики регулирования анализируемой сферы; выявление общих проблем нормативно-правовой регуляции орфанных заболеваний.

Одним из основных методологических приемов исследования в статье является компаративистский подход. В сравнительно-правовом ключе анализируется законодательство зарубежных государств, регулирующее сферу орфанных заболеваний и орфанных лекарственных препаратов.

По результатам исследования сделаны следующие ключевые выводы: 1) в настоящее время в зарубежных странах не выработан единый подход к определению орфанных заболеваний; 2) для финансового обеспечения лекарственными препаратами лиц, страдающих орфанными заболеваниями, в большинстве стран используются механизмы страхования (сострахования) и (или) инструменты возмещения гражданам затрат на покупку соответствующих лекарственных средств; 3) для стимулирования развития фармацевтического рынка орфанных лекарственных препаратов в развитых странах принимаются специальные меры, в том числе: исключительное право на продажу орфанных лекарственных средств в течение определенного времени; предоставление налоговых льгот и субсидирование разработок; упрощение разрешительных процедур, включая ускоренное согласование необходимой документации; помощь в подготовке документации; и др.

Ключевые слова: редкие (орфанные) заболевания, орфанные лекарственные препараты, медицинская помощь, медицинское страхование, лекарственное обеспечение.

RARE (ORPHAN) DISEASES: LEGAL REGULATION ABROAD

N. S. VOLKOVA, deputy head of the Department of social legislation of the Institute of Legislation and Comparative Law under the Government of the Russian Federation, candidate of legal sciences
34, Bolshaya Cheremushkinskaya st., Moscow, Russia, 117218
E-mail: volkova@izak.ru

Elvina AKSU, bachelor at the Faculty of law of the Girne American University, Turkey
E-mail: elvina@russiacyprus.com

The article deals with the legal regulation of rare (orphan) diseases, which are chronic, often life-threatening diseases or conditions, the prevalence of which is from 0.65 to 1 ppm per thousand inhabitants. The problems of regulation of rare diseases through the prism of domestic and foreign experience are revealed. The authors focus on the general problems of access to medical care for persons with orphan diseases; mechanisms of financial support for this assistance; criteria for classifying diseases as rare.

The article examines the historical background of the emergence of legal regulation of rare diseases and the development of drugs for such diseases; the practice of the Russian legal regulation of issues related to orphan diseases, both at the federal level and at the level of the constituent entities of the Russian Federation. The shortcomings of the regulatory legal regulation of rare diseases are revealed. Various approaches to the definition of the concept of "rare (orphan) disease" contained in foreign legislation are considered.

The purpose of the article is to identify the current state of the regulatory legal regulation of orphan diseases in Russia abroad. Among the tasks of present research are: the study of existing in the world practice approaches to the regulation of issues related to rare diseases; the study of the Russian regulatory practice in this sphere; the identification of common problems of regulatory and legal regulation of orphan diseases.

One of the main methods of the study is the comparative approach. In a comparative legal framework, the legislation of foreign states regulating the sphere of orphan diseases and orphan drugs is analysed.

According to the results of the study, the following key conclusions are made: 1) currently, in foreign countries, a single approach to the definition of orphan diseases has not been developed; 2) for the financial provision of medicines for persons suffering from orphan diseases, in most countries, insurance (co-insurance) and (or) tools for reimbursement of costs to citizens for the purchase of appropriate medicines are used; (3) special measures are being taken in developed countries to stimulate the development of the pharmaceutical market for orphan drugs, including: the exclusive right to sell orphan drugs for a certain period of time; the provision of tax incentives and subsidies for development; the simplification of licensing procedures, including the expedited approval of necessary documentation; assistance in the preparation of documentation; etc.

Keywords: rare (orphan) diseases, orphan drugs, medical care, medical insurance, drug supply.

DOI: 10.12737/art.2018.4.20

Введение. В последний день февраля каждого года отмечается Международный день редких болезней (Rare Disease Day). Впервые эту дату стали отмечать 29 февраля 2008 г. по предложению Европейской организации по редким заболеваниям (EURORDIS) в целях повышения информированности людей о редких болезнях; с 2009 г. этот день отмечается в США. Постепенно другие государства присоединялись к проведению различных информационных и научных мероприятий по вопросам редких (орфанных) заболеваний, приуроченных к этой дате, — к 2018 г. таких государств насчитывается более 90¹, в их числе Российская Федерация.

Такой интерес к редким заболеваниям неслучаен. Во всем мире, по данным Всемирной организации здравоохранения, насчитывается порядка 400 млн человек, страдающих редкими болезнями, из которых 30 млн проживают в Европе и более 25 млн в США². В Российской Федерации официальная статистика говорит о 16 тыс. пациентов, внесенных в Федеральный регистр лиц, страдающих жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями, однако экспертная оценка гораздо выше — более 2 млн человек. На сегодняшний день известно более 7 тыс. типов редких (орфанных) заболеваний³. Около 80% таких заболеваний имеют генетическую природу; 50% страдающих орфанными заболеваниями — дети; около

30% пациентов с редкими диагнозами не доживают до пятилетнего возраста.

Поэтому в развитых государствах уделяется самое пристальное внимание проблемам выявления редких болезней, обеспечения пациентов лекарственной терапией и развития фармацевтического рынка для лечения таких заболеваний.

История вопроса. Первым государством, поднявшим под давлением общественности проблему редких заболеваний и лекарств для них на государственный уровень, стали США. Именно в этой стране впервые в юридический лексикон были введены термины «орфанные лекарства» (orphan drugs) (orphan в переводе с англ. — сирота) и «редкие заболевания» (rare diseases): в 1983 г. в США был принят Закон «Об орфанных лекарствах» (Orphan Drug Act, ODA), а в 2002 г. — Закон «О редких заболеваниях» (Rare Diseases Act).

Однако собственно история появления орфанных лекарств связана с «талидомидными скандалами» 1950—1960-х гг.⁴ Выявленные негативные для здоровья последствия применения талидомида привели к тому, что в американском законодательстве — в Законе «О пищевых продуктах, лекарственных препаратах и косметических средствах» 1938 г. (Food, Drug and Cosmetic Act) — появилась поправка (Kefauver-Harris Amendment 1962), предусматривавшая, что лекарственные препараты, выпускаемые на рынок США, должны отвечать требованиям безопасности и эффективности, подтвержденным клиническими

¹ URL: <https://www.eurordis.org/news/show-your-rare-rare-disease-day-2018>.

² URL: http://www.who.int/medicines/areas/priority_medicines/Ch6_19Rare.pdf?ua=1.

³ См.: Rare Disease Facts and Statistics // A Report on Orphan Drugs in the Pipeline. 2013. P. 7. URL: <http://phrma-docs.phrma.org>.

⁴ Подробнее об этом см.: Волкова Н. С., Путило Н. В., Цомартова Ф. В. и др. Орфанные заболевания и особые потребности граждан в лекарственном обеспечении // Право граждан на лекарственное обеспечение: монография / отв. ред. Н. В. Путило. М., 2017. С. 139—141.

исследованиями. Законодательные новеллы также ужесточили правила выдачи разрешений на лекарственные препараты.

Данные изменения привели в итоге к тому, что фармацевтический рынок переориентировался на производство лекарственных препаратов для массового потребления, которые могли окупить издержки клинических исследований и бюрократических процедур; производство лекарств для малораспространенных заболеваний стало редким (сиротским, орфанным), а сами лекарства приобрели статус орфанных.

Такое положение дел, однако, совершенно не устраивало общественность, в том числе влиятельные неправительственные организации. Под их давлением началась разработка законодательства об орфанных лекарственных препаратах, окончившаяся принятием в 1983 г. ODA. В этом Законе был введен в оборот и термин «орфанные заболевания» в связи с разработкой специфических (орфанных, редких, сиротских) лекарственных препаратов.

В числе первых государств, попытавшихся законодательно урегулировать проблему редких заболеваний и орфанных лекарств, стала также Австралия: австралийский Закон «О терапевтической продукции» 1989 г. (Therapeutic Goods Act) в 1997 г. был дополнен специальным разделом — политика в области орфанных лекарственных препаратов.

В Европейском Союзе вслед за США и Австралией начиная с 2000-х гг. вопросы редких болезней и орфанных лекарственных препаратов были включены в орбиту приоритетных. Обеспечение лиц, страдающих орфанными заболеваниями, лекарственными препаратами является одним из важнейших направлений государственной политики Европейского Союза⁵. Именно поэтому был разработан целый ряд нормативных актов, регулирующих вопросы функционирования рынка орфанных лекарств, ключевым из которых является Регламент ЕС № 141/2000 от 16 декабря 1999 г. «Об орфанных лекарственных средствах».

В Российской Федерации проблеме редких заболеваний до недавнего времени уделялось недостаточно внимания. Само понятие «редкие (орфанные) заболевания» было закреплено на законодательном уровне только с принятием Федерального закона от 21 ноября 2011 г. № 323-ФЗ «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации».

В Турецкой Республике до настоящего времени не разработано специальное законодательство об орфанных заболеваниях, хотя по подсчетам специалистов здесь проживают около 5 млн человек с редкими заболеваниями. Такая значительная цифра объясняется распространенными в отдельных регионах Тур-

ции родственными браками, порождающими значительное число генетических отклонений⁶.

Орфанное заболевание: нормативно-правовое определение. Одной из особенностей дефиниции «редкое заболевание» является наличие, как правило, количественного показателя — редкость заболевания детерминируется по признаку частоты его выявления среди населения. В некоторых случаях редкое заболевание определяется опосредованно через дефиницию или установление признаков орфанных лекарственных препаратов, предназначенных для лечения упомянутых заболеваний. Таким образом, единообразный подход к детерминации редких (орфанных) заболеваний отсутствует.

Согласно ст. 44 Федерального закона «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» редкими (орфанными) признаются заболевания, распространенность которых составляет 10 случаев на 100 тыс. населения. Аналогичное соотношение принято за основу при определении «орфанности» заболевания в Туркменистане (ст. 26 Закона Туркменистана от 23 мая 2015 г. № 223-V «Об охране здоровья граждан»). В законодательстве Республики Казахстан, в частности в Кодексе «О здоровье народа и системе здравоохранения», орфанные (редкие) заболевания определены как редкие тяжелые болезни, угрожающие жизни человека или приводящие к инвалидности, частота которых не превышает официально определенного уровня (ст. 1 Кодекса). Официально установленный порог четко в законодательстве не обозначен, однако исходя из Порядка формирования перечня орфанных (редко применяемых) лекарственных средств, утвержденного приказом Министра здравоохранения Республики Казахстан от 10 июня 2009 г. № 304⁷, одним из критериев отнесения лекарственного препарата к орфанным является редкость его применения — использование менее чем у 10 тыс. человек⁸, соответственно, можно предположить похожие пропорции при определении редкости заболевания.

Отметим, что в зарубежных странах подходы к определению редкости того или иного заболевания крайне разнообразны. Так, в США орфанными заболеваниями признаются те, которые затрагивают менее 200 тыс. человек или одного человека из 1500; в Канаде орфанным считается состояние, поражающее одного из 2000 человек; в странах Европейского

⁶ См.: *Pelin Kılıç, Güvenç Koçkaya, Ömer Yemsen et al. Orphan Drug Regulations in Turkey // Journal of Pharmaceutical Health Services Research. 2013. September. URL: https://www.researchgate.net/publication/264568551_Orphan_drug_regulations_in_Turkey.*

⁷ Отменен приказом министра здравоохранения Республики Казахстан от 11 марта 2011 г. № 129.

⁸ См.: Орфанные препараты и редкие заболевания. Методические рекомендации. Астана, 2015. С. 20—22.

⁵ Council of the European Union Recommendation on an Action in the Field of Rare Diseases. 2009/C 151/02.

Союза — не более пяти человек из 10 тыс.; в Японии таковыми признаются заболевания, встречающиеся менее чем у 50 тыс. пациентов; в КНР орфанным считается заболевание, которое встречается у одного пациента на 500 тыс. либо диагностируется как врожденное у одного из 10 тыс.⁹

В Турецкой Республике нет четкого определения показателей, лежащих в основе определения редких болезней. Министерство здравоохранения Турции в целях решения проблемы с обеспечением пациентов орфанными лекарствами исходит из того, что орфанным препаратом может считаться тот, который предназначен для конкретного заболевания, встречающегося не чаще чем в одном случае из 100 тыс. либо признаваемого крайне редким¹⁰. Такой комбинированный критерий применяется, например, и в Южной Корее: к орфанным отнесены те заболевания, которые встречаются менее чем у 20 тыс. человек, или заболевания, лечение которых, в том числе альтернативными способами, не разработано.

В Российской Федерации в настоящее время насчитывается 224 редких (орфанных) заболевания, включенных в перечень, размещенный на сайте Министерства здравоохранения РФ¹¹. Впрочем, данный перечень является информационным, не имеет статуса юридического акта, формируется на основании статистических данных. Появление какого-либо заболевания в нем не имеет прямых юридических последствий в отличие от тех орфанных заболеваний, которые отнесены к числу жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни гражданина или инвалидности. Эти болезни (их 24) внесены в особый перечень, утвержденный постановлением Правительства РФ от 26 апреля 2012 г. № 403 «О порядке ведения Федерального регистра лиц, страдающих жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями, приводящими к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности, и его регионального сегмента». Лекарственное обеспечение и специализированное питание для пациентов с болезнями из этого перечня гарантировано государством.

Механизмы обеспечения доступности лекарственных препаратов для лиц, страдающих орфанными заболеваниями. Один из ключевых вопросов в сфере орфанных заболеваний — финансовое обеспечение лекарственной помощи для лиц, страдающих орфанными заболеваниями, которое

является крайне затратным для большинства государств мира. Одновременно этот вопрос довольно ярко демонстрирует общую политику государства в части обеспечения доступности такой лекарственной помощи.

В основном за рубежом используются механизмы страхования (сострахования) или (и) инструменты возмещения гражданам затрат на покупку соответствующих лекарственных средств. Во многих странах имеются национальные планы возмещения, специальные национальные программы, предполагающие покрытие затрат от стоимости препаратов в разных объемах, например от 65 до 100% в зависимости от диагноза и иных критериев, устанавливаемых законодательством (Франция, Финляндия); 100% (Дания, Испания, Нидерланды, Чехия, Польша и др.).

Так, в Дании 100%-ное покрытие расходов на орфанные лекарства осуществляется при лечении в больнице. В Нидерландах орфанные лекарственные препараты доступны и бесплатны для граждан по рецептам. Расходы больниц на закупку таких препаратов возмещаются по Правилам, касающимся высокозатратных лекарств для больниц. В Японии объем возмещения составляет 100%, из которых 30% возмещаются страховыми компаниями, а 70% — из национального/местных бюджетов¹².

В Турецкой республике часть орфанных лекарств из специального перечня Министерства здравоохранения выдается пациентам бесплатно в больнице; некоторые лекарства оплачиваются больным самостоятельно, а потом определенная их стоимость возвращается государством. Но в большинстве случаев приобретение орфанных лекарственных препаратов является заботой самого пациента.

Особенно злободневным данный вопрос является в тех государствах, где ответственность за функционирование системы здравоохранения разделена между федерацией и ее субъектами. Так, например, в Канаде и федеральное правительство, и правительства провинций (территорий) обладают компетенцией в сфере здравоохранения. При этом на федеральное правительство возложено обеспечение эффективности, безопасности и производства качественных орфанных препаратов, в то время как финансовое обеспечение возмещения затрат на покупку лекарственных препаратов лицами, страдающими орфанными заболеваниями, отнесено к ведению провинций. Поэтому каждая провинция имеет собственный план покрытия затрат, зависящий от ее экономического благосостояния. Исходя из этого, отмечается крайне неоднородное территориальное распределение финансо-

⁹ См.: Song P., Gao J., Inagaki Yo et al. Rare Diseases, Orphan Drugs, and their Regulation in Asia: Current Status and Future Perspectives. URL: www.ncbi.nlm.nih.gov.

¹⁰ См.: Pelin Kılıç, Güvenç Koçkaya, Ömer Yemsen. Op. cit.

¹¹ URL: <https://www.rosminzdrav.ru/documents/8048-perechen-redkih-orfannyh-zabolevaniy>.

¹² См.: Gammie T., Lu C. Y., Ud-Din Babar Z. Access to Orphan Drugs: A Comprehensive Review of Legislations, Regulations and Policies in 35 Countries // PLoS ONE. October. 2015. URL: <https://doi.org/10.1371/journal.pone.0140002>.

вой доступности к лекарственной помощи для лиц, страдающих орфанными заболеваниями¹³.

В последнее время в Канаде наблюдается определенный сдвиг в решении рассматриваемой проблемы, обусловленный тем, что многие влиятельные общественные организации продвигают так называемое «правило спасения» (rule of rescue) в здравоохранении, означающее приоритетность спасения жизни: при отсутствии альтернативного доступного лечения пациенты с жизнеугрожающими заболеваниями должны получать терапию вне зависимости от ее стоимости. В связи с этим в провинциях идет пересмотр соответствующих планов покрытия. Также прорабатывается вопрос о передаче части финансирования на федеральный уровень. Впрочем, стоит заметить, что в этой стране до сих пор не принята единая стратегия лекарственного обеспечения лиц, страдающих орфанными заболеваниями (Orphan Drug Regulatory Framework), которая окончательно решила бы вопрос о финансовом обеспечении лекарственной терапией лиц, страдающих редкими заболеваниями.

В Российской Федерации проблема финансового обеспечения лекарственной терапии для лиц, страдающих орфанными заболеваниями, стоит не менее остро. Согласно ст. 16 (п. 10 ч. 1) Федерального закона «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» организация лекарственного обеспечения таких лиц отнесена к полномочиям субъектов РФ в сфере охраны здоровья, и для многих из них реализация этого полномочия является крайне затратной. Так, в Костромской области лечение только трех пациентов с диагнозами пароксизмальная ночная гемоглобинурия и гемолитико-уремический синдром требует закупки дорогостоящего лекарственного препарата в общей сумме на 84 млн руб. ежегодно¹⁴.

Дефицит региональных бюджетных средств приводит к невозможности адекватного лекарственного обеспечения указанной категории лиц. В связи с этим нередко жизнь и здоровье граждан, нуждающихся в особом лечении, поставлены в зависимость от экономических возможностей конкретного субъекта РФ. Имеется даже практика отказа органов государственной власти субъектов РФ от обеспечения граждан, страдающих редкими заболеваниями, лекарственными средствами по причине ограниченно-

сти финансовых ресурсов. На недопустимость подобной практики указывал Минздрав России¹⁵.

Именно поэтому в экспертных кругах активно обсуждается вопрос о необходимости перенесения этого полномочия полностью или частично на федеральный уровень. Об актуальности данной проблемы свидетельствует множество законодательных инициатив, направленных на осуществление подобного переноса полномочий¹⁶. Впрочем, механическое перераспределение полномочий в названной сфере не может полностью решить проблему лекарственного обеспечения лиц, страдающих редкими (орфанными) заболеваниями; эта проблема требует комплексного подхода с проработкой четких механизмов финансового обеспечения лекарственных потребностей указанной категории лиц. Отсутствие обоснованных финансово-экономических расчетов, источников и порядка исполнения новых видов расходных обязательств стали основанием для отклонения Правительством РФ таких законопроектных инициатив.

Однако очевидно, что без привлечения бюджетных средств федерального уровня полноценное обеспечение лиц, страдающих орфанными заболеваниями, лекарственными средствами вряд ли возможно. На это указывал и Конституционный Суд РФ¹⁷.

Федеральным законом от 26 апреля 2016 г. № 112-ФЗ были внесены изменения в Федеральный закон «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации», согласно которым организация обеспечения лиц, больных гемофилией, муковисцидозом, гипофизарным нанизмом, болезнью Гоше, злокачественными новообразованиями лимфоидной, кроветворной и родственных им тканей, рассеянным склерозом, лиц после трансплантации органов и (или) тканей лекарственными препаратами отнесена к полномочиям федерального органа исполнительной власти, осуществляющего функции по выработке и реализации государственной политики и нормативно-правовому регулированию в сфере здравоохранения (п. 21 ч. 2 ст. 14). Не исключено, что данный перечень нозологий в ближайшее время будет расширен, поскольку согласно ч. 10 ст. 44 Федерального закона «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» Правительство РФ наделено правомочием по

¹⁵ Письмо Минздрава России от 8 июля 2013 г. № 21-6/10/2-4878.

¹⁶ См., например, проекты федеральных законов № 428905-6 «О внесении изменений в Федеральный закон Российской Федерации “Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации”»; № 893840-6 «О внесении изменений в Федеральный закон Российской Федерации “Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации”»; № 118705-7 «О внесении изменений в Федеральный закон Российской Федерации “Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации”».

¹⁷ См. определение КС РФ от 2 июля 2013 г. № 1054-О.

¹³ См.: Luth W., Ali-Khan S., Bubela T. Canada's Orphan Drug Framework: Lessons from the United States, Europe and Japan URL: <http://paceomics.org/wp-content/uploads/2015/10/Canadas-Orphan-Drug-Framework.pdf>.

¹⁴ См. постановление Костромской Областной Думы от 19 мая 2016 г. № 248 «Об обращении депутатов Костромской Областной Думы к Председателю Правительства Российской Федерации Д. А. Медведеву о включении высокочрезвычайных орфанных заболеваний и лекарственных препаратов для их лечения в федеральную программу высокочрезвычайных нозологий».

принятию решения о дополнении указанного выше перечня заболеваний заболеваниями, лечение которых обеспечивается за счет средств федерального бюджета. Такие предложения в отношении мукополисахаридоза, пароксизмальной ночной гемоглобинурии и других орфанных заболеваний уже вносились субъектами РФ¹⁸.

Фармацевтический рынок орфанных лекарственных препаратов: особенности развития. Еще одна острая проблема, которая и дала толчок к обсуждению темы орфанных заболеваний — развитие фармацевтического рынка орфанных лекарственных препаратов. Основная сложность состоит в том, что производство и продажа препаратов для лечения и профилактики (нередко просто поддержания жизни) орфанных заболеваний не несут серьезной материальной выгоды для производителей, так как такие лекарственные препараты предназначены для узкого круга потребителей, а исследования и клинические испытания таких препаратов сложны и дорогостоящи. Сопутствующими факторами также являются: отсутствие государственного регулирования цен (фиксированные цены имеются в Австралии, Испании и некоторых других странах); дефицит действенных стимулирующих механизмов, призванных активизировать интерес фармацевтических компаний к разработке и производству орфанных лекарственных препаратов; отсутствие специальной организационной структуры, аккумулирующей решение вопросов, связанных с развитием рынка орфанных лекарственных препаратов.

Именно поэтому в большинстве развитых стран на государственном уровне принимаются специальные меры, направленные на стимулирование разработок и производства медицинских препаратов для лечения редких болезней. Основные стимулирующие меры сводятся к следующим: 1) исключительное право на продажу орфанных лекарственных средств в течение определенного времени (например, в США — 7 лет, в странах ЕС — 10 лет, в Южной Корее — 6 лет); 2) предоставление налоговых льгот и субсидирование разработок (США, ЕС, Япония); 3) упрощение разрешительных процедур, включая ускоренное согласование необходимой документации, а также помощь в подготовке документации (ЕС, Япония и др.).

Наиболее существенной является государственная поддержка производителей орфанных лекарственных средств в Японии. Японское законодательство предусматривает: 1) исключительное право продажи орфанных препаратов в течение 10 лет, медицинских изделий — 7 лет; 2) государственные субсидии для снижения финансового бремени, связанного с разра-

боткой продукции; 3) консультационные услуги по прохождению клинических испытаний; 4) налоговые льготы в размере до 12% от понесенных расходов на исследовательские программы; 5) ускоренную разрешительную процедуру.

В отдельных государствах созданы специальные организационные структуры либо в рамках органов власти, либо поддерживаемые государством (фонды, агентства и пр.), осуществляющие деятельность в сфере обеспечения лекарственными препаратами лиц, страдающих орфанными заболеваниями¹⁹.

Ключевым фактором, влияющим на доступность орфанных лекарственных препаратов для пациентов, является их цена. Например, в США, несмотря на предпринимаемые попытки регулирования государством цен на орфанные препараты посредством переговорных процедур, их производители независимы в своей ценовой политике, и единственным в настоящее время рычагом регулирования остается поддержка конкуренции на фармацевтическом рынке²⁰.

В Европейском Союзе ценовая доступность орфанных препаратов определяется государствами — участниками Союза самостоятельно. Так, в ряде стран (Бельгия, Франция, Италия) используется сравнительный подход, в Швеции существует система публичных закупок. В Великобритании, которая находится в процессе выхода из ЕС, осуществляется политика ценового сдерживания посредством контроля за прибылью фармацевтических компаний.

Как показывают исследования, стоимость орфанных лекарственных препаратов в странах Европейского Союза ниже, чем стоимость аналогичных препаратов в США. Однако в целом цена на такие препараты является достаточно высокой и доступность для пациентов (для самостоятельного приобретения) остается на низком уровне.

В Турецкой Республике собственный рынок фармацевтической продукции для орфанных заболеваний практически отсутствует — необходимые лекарственные препараты закупаются за рубежом. При этом достаточно жесткие условия допуска на внутренний рынок замедляют процесс регистрации и вне-

¹⁸ См. постановление Законодательного Собрания Санкт-Петербурга от 13 апреля 2016 г. № 191 «Об обращении Законодательного Собрания Санкт-Петербурга к Председателю Правительства РФ Д. А. Медведеву».

¹⁹ В США это Отдел развития орфанной продукции (The Office of Orphan Products Development) в рамках федерального Департамента продуктов питания и лекарств (FDA); в ЕС — Комитет по орфанным лекарственным средствам в составе Европейского Агентства лекарственных средств (European Agency for the Evaluation of Medicinal Products); в Японии — Министерство здравоохранения, труда и благосостояния (Ministry of Health, Labour and Welfare), Агентство по делам фармации и медицинских изделий (Pharmaceuticals and Medical Devices Agency), Национальный институт биомедицинских инноваций (National Institute of Biomedical Innovation).

²⁰ См.: Song P., Gao J., Inagaki Yo. et al. Op. cit.

дрения орфанных лекарственных препаратов. Доля орфанных препаратов на рынке тем не менее растет и в настоящее время составляет около 3%²¹. Осознавая данную проблему, государство установило облегченные правила закупок орфанных лекарств. Однако серьезные проблемы на турецком фармацевтическом рынке сохраняются: существует так называемый личный ввоз медицинских продуктов с последующим индивидуальным разрешением применения Агентства по лекарственным средствам.

Перечисленные общие проблемы характерны и для Российской Федерации. Низкая коммерческая привлекательность орфанных лекарств для разработчиков; отсутствие конкуренции производителей орфанных лекарственных препаратов; отсутствие ценовой политики государства; проблема импортозамещения; небольшой объем государственных закупок орфанных препаратов, повышающий их цену; отсутствие стимулирующих мер для фармацевтических компаний и организационной структуры, отвечающей за решение вопросов, связанных с развитием рынка орфанных лекарств — в целом не способствуют формированию и развитию такого рынка.

В настоящее время федеральные законы от 12 апреля 2010 г. № 61-ФЗ «Об обращении лекарственных средств» и от 5 апреля 2013 г. № 44-ФЗ «О контрактной системе в сфере закупок товаров, работ, услуг для обеспечения государственных и муниципальных нужд» предусматривают ряд изъятий из общего порядка обращения лекарственных средств и закупок для государственных нужд в части орфанных препаратов. Данные меры призваны стимулировать развитие интереса фармацевтических компаний к таким препаратам.

²¹ См.: Pelin Kılıç, Güvenç Koçkaya, Ömer Yemsen et al. Op. cit.

БИБЛИОГРАФИЧЕСКИЙ СПИСОК

- Gammie T., Lu C. Y., Ud-Din Babar Z. Access to Orphan Drugs: A Comprehensive Review of Legislations, Regulations and Policies in 35 Countries // PLoS ONE. October. 2015. URL: <https://doi.org/10.1371/journal.pone.0140002>.
- Luth W., Ali-Khan S., Bubela T. Canada's Orphan Drug Framework: Lessons from the United States, Europe and Japan URL: <http://paceomics.org/wp-content/uploads/2015/10/Canadas-Orphan-Drug-Framework.pdf>.
- Pelin Kılıç, Güvenç Koçkaya, Ömer Yemsen et al. Orphan Drug Regulations in Turkey // Journal of Pharmaceutical Health Services Research. 2013. September. URL: https://www.researchgate.net/publication/264568551_Orphan_drug_regulations_in_Turkey.
- Rare Disease Facts and Statistics // A Report on Orphan Drugs in the Pipeline. 2013. P. 7. URL: <http://phrma-docs.phrma.org>.
- Song P., Gao J., Inagaki Yo et al. Rare Diseases, Orphan Drugs, and their Regulation in Asia: Current Status and Future Perspectives. URL: www.ncbi.nlm.nih.gov.
- Волкова Н. С., Путило Н. В., Цомартова Ф. В. и др. Орфанные заболевания и особые потребности граждан в лекарственном обеспечении // Право граждан на лекарственное обеспечение: монография / отв. ред. Н. В. Путило. М., 2017.

Однако в целом это не приводит к созданию необходимых условий для формирования и функционирования внутреннего рынка орфанных лекарственных препаратов, а значит, вопрос об обеспечении лекарственных потребностей лиц с орфанными болезнями по-прежнему будет актуальной повесткой дня. Именно поэтому необходима разработка стратегии государственной политики в отношении таких лиц, в том числе в части обеспечения доступности для них необходимых лекарственных препаратов и создания условий для их разработки и производства.

Заключение. Общемировая тенденция увеличения числа заболеваний, относимых к редким, и лиц, страдающих такими заболеваниями, свидетельствует о том, что актуальность данных вопросов будет только нарастать. В большинстве развитых государств эти вопросы включены в орбиту государственных интересов, сформировано законодательство, разрабатываются механизмы обеспечения доступной лекарственной помощи пациентам с редкими заболеваниями (страхование, планы покрытия) и др. Однако в целом данная сфера остается крайне проблемной. Несмотря на разнообразие подходов к решению вопросов обеспечения прав лиц, страдающих орфанными заболеваниями, можно с уверенностью сказать, что оптимальная модель регулирования на сегодняшний день отсутствует. Каждое государство, регламентируя данные вопросы, исходит из сложившейся системы здравоохранения, финансовых ресурсов и уровня развития фармацевтической отрасли. Очевидно, что выработка эффективных решений должна зависеть от результативности взаимодействия государства, профессионального сообщества и общественных институтов, объединенных общей задачей по оптимизации системы здравоохранения в целях учета интересов и потребностей пациентов, страдающих орфанными заболеваниями.