

І-я Национальная конференция
Украина и ЕВРОПЛАН2: развитие государственной стратегии для редких заболеваний до 2020 г.

ДОПОЛНИТЕЛЬНЫЕ МАТЕРИАЛЫ УЧАСТНИКАМ КОНФЕРЕНЦИИ

РАСШИРЕННЫЕ ВОПРОСЫ ДЛЯ РАСКРЫТИЯ ТЕМ

27 марта 2013 года

Киев, Украина



І-я Национальная конференция
Украина и ЕВРОПЛАН2: развитие государственной стратегии для редких заболеваний до 2020 г.

Тема 1: Создание Национального плана, управление им и контроль выполнения

Сфера ответственности: Организации пациентов, Минздрав, Министерство социальной политики, ВР Украины

Тема 2: Орфанные лекарственные продукты и терапия для редких заболеваний

Сфера ответственности: Фармацевтическая промышленность, Минздрав

Тема 3: Законодательное определение и кодификация редких заболеваний.

Сфера ответственности: ВР Украины, Минздрав, АМН Украины

Тема 4: Научные исследования в области редких заболеваний

Сфера ответственности: АМН Украины, Минздрав, Фармацевтическая промышленность

Тема 5: Социальная защита пациентов с редкими заболеваниями

Сфера ответственности: Министерство социальной политики, Министерство образования, Министерство молодежи и спорта, Организации пациентов, ВР Украины

Тема 6: Центры Экспертизы и европейские Справочные Сети для редких заболеваний

Сфера ответственности: АМН Украины, Минздрав, Организации пациентов



І-я Национальная конференция
Украина и ЕВРОПЛАН2: развитие государственной стратегии для редких заболеваний до 2020 г.

Тема 1: Создание Национального плана, управление им и контроль выполнения

	ТЕМЫ для ОБСУЖДЕНИЙ
	<p>Обзор Европлана, существующих европейских программ по РЗ, последующих их редакций, проекты (страны, общественные обсуждения, объединение в одном документе стандартизованного подхода, гармонизации с национальными проектами)</p> <p>Каков уровень понимания РЗ в Украине (эпидемиология, оценка проблемы и т.д.)? Какой существует уровень осведомленности общественности, понимания проблемы медицинскими работниками, какова тактика принятия решений и т.д.?</p> <p>Оценка существующих ресурсов и действий по РЗ (или тех аспектов, из которых пациенты с РЗ могут извлечь выгоду) в системе здравоохранения и социальной системе.</p> <p>Что из соответствующих документов ЕС принято во внимание при создании (будет принято при создании) национального плана (НАЦПЛАНА)?</p> <p>Оценка принятых и рассматриваемых украинским законодательством документов за прошедшие годы</p>
<p>Пути создания Национального плана/Стратегии</p>	<p>Оцените, есть ли в Украине структура в форме национального плана или стратегии, созданная для системы здравоохранения и социальных потребностей пациентов с РЗ, отражающая определенные действия (позицию) государства?</p> <ul style="list-style-type: none"> ○ Готовится ли Украина к установленному сроку в ЕС - 2013 год, как к сроку, определенному для выработки национальных планов? Какие главные препятствия к развитию (созданию) НАЦПЛАНА? ○ Какие шаги предпринимаются компетентными органами для развития (создания) НАЦПЛАНА? ○ Какой (реалистичный) Список действий могла бы дать Конференция, чтобы стимулировать развитие (создание) НАЦПЛАНА или стратегии в области РЗ в Украине?



І-я Национальная конференция
Украина и ЕВРОПЛАН2: развитие государственной стратегии для редких заболеваний до 2020 г.

Тема 2: Орфанные лекарственные продукты и терапия для редких заболеваний

	ТЕМЫ для ОБСУЖДЕНИЙ
<p>Поддержка орфанных препаратов, доступ к лечению</p> <p>Правила ЕС №141/2000 орфанных лекарственных продуктов Пациенты, страдающие от редких условий, должны быть наделены правом на такое же качество лечения, как и другие пациенты; необходимо стимулировать исследование, развитие и выпуск на рынок соответствующих лекарств фармацевтической промышленностью; Пациенты с РЗ заслуживают того же самого качества, безопасности и эффективности в лекарственных продуктах как другие пациенты; орфанные лекарственные продукты должны быть подвергнуты нормальному процессу оценки; у спонсоров орфанных лекарственных продуктов должна быть возможность лицензировать соответствующие препараты без преград.</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Какие механизмы должны быть установлены, чтобы облегчить установку клинических испытаний для небольшого числа пациентов?
<p>Доступ к незарегистрированным препаратам</p> <p>Правила ЕС №726/2004 устанавливают процедуры по разрешению и наблюдению за лекарственными продуктами для человеческого и ветеринарного использования Европейской Службой Лекарственных препаратов (ЕМА) ОПРЕДЕЛЕНИЕ доступа к не одобренному лечению «compassionate use»: “... создание лекарственного продукта, принадлежащего категориям, упомянутым в Статье 3 (1) и (2), доступной для группы пациентов с хронической или угрожающей жизни болезнью без удовлетворительного лечения одобренным лекарственным продуктом. Лекарственный продукт должен быть предметом заявления на маркетинговое разрешение в соответствии со Статьей 6 этого Регулирования или должен подвергаться клиническим испытаниям”.</p> <p>Из Общественного обсуждения Комиссии по РЗ Необходима система для предоставления лекарств больным РЗ перед одобрением и/или компенсацией стоимости новых лекарств. В соответствии с существующим фармацевтическим законодательством, ЕМА может издать рекомендации об использовании продукта.</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Как принять программу использования незарегистрированных препаратов? • Как поддержать компании, у которых есть трудности в предоставлении программ доступа к незарегистрированным препаратам? • Как вовлечь пациентов в создание и управление программами использования незарегистрированных препаратов?



І-я Национальная конференция
Украина и ЕВРОПЛАН2: развитие государственной стратегии для редких заболеваний до 2020 г.

Использование Off-label лекарственных продуктов	
<p>Из итогового отчета EUROPLAN I необходимо усовершенствование и упрощению процедур по использованию одобренных лекарственных продуктов Off-label. Такие процедуры обычно тяжелы и зачастую не приводят к рефинансированию лекарств.</p>	<p>Как создать и упростить процедуры по использованию Off-label препаратов и их компенсации потребителям\производителям?</p> <p>Как решить, какие исследования эффективности и безопасности необходимы, чтобы зарегистрировать рассматриваемое использование Off-label препарата?</p>

Тема 3: Законодательное определение и кодификация редких заболеваний.

Определение РЗ	ТЕМЫ для ОБСУЖДЕНИЙ
	<p>Принято ли определение РЗ в Украине, как предложено Рекомендацией Совета ЕС на основании документа - Регулирование лекарственных средств для редких заболеваний №141/2000/ЕС? Каков статус этого определения в Украине?</p> <p>Если при создании НАЦПЛАНА рассматривается какое-либо определенное заболевание, которое не является редким по определению, но редкое в Украине, дается ли пояснение, почему оно должно быть включено в НАЦПЛАН для редких заболеваний и почему государство решает финансировать это заболевание.</p>
Кодификация РЗ и отслеживаемость в национальной системе здравоохранения	
<p>Рекомендация Совета ЕС Необходимо гарантировать, что редкие заболевания имеют надлежащую кодификацию и прослеживаются во всех системах медицинской информации. Рекомендации EUROPLAN Использование общего реестра ЕС для редких заболеваний (Orphanet) способствует работе системы здравоохранения, предусматривает сотрудничество для текущих обновлений.</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Какие наиболее используемые системы классификации в Украине (ICD9, ICD10, SNOMED, ICDO для редких раковых образований, МДМ ...) и для какой цели они используются: например, наблюдение, компенсация, предоставление социальной поддержки, и т.д.? • В ЕС запланирован пересмотр Международной Классификации Болезней МКБ (ICD) для перехода к МКБ11 (ICD11), вступление в силу предполагается в 2015 году и обеспечит инструмент для отслеживания РЗ в



І-я Национальная конференция

Украина и ЕВРОПЛАН2: развитие государственной стратегии для редких заболеваний до 2020 г.

Необходимо в кратчайшие сроки обеспечение сотрудничества в процессе пересмотра МКБ10 (ICD10) и внедрение МКБ11 (ICD11).
Из итогового отчета EUROPLAN I
 принятие МКБ11 (ICD11) рекомендовано для внедрения системы классификации в клиническую практику: Кодекс Orpha, предпочтительнее, поскольку МКБ10 (ICD10) считают не удовлетворительной в части освещения РЗ. Раннее введение также помогло бы продвинуть более высокий уровень понимания и знание о РЗ работниками здравоохранения (в дополнение к более очевидным целям - учет редких заболеваний).

системах медицинской информации. До вступления в силу МКБ11 (ICD11) классификация Orphanet (Кодекс Orpha) обеспечивает кодекс, который в значительной степени соответствует будущей МКБ11 (ICD11). Запущена ли в Украине сеть Orphanet – если нет, нужна ли она? Почему - да и почему нет?

- Какая стратегия могла быть положена в основу для гарантии того, что существующие и вновь выявленные РЗ классифицированы надлежащим образом и прослеживаемы при обмене медицинской информацией в системе здравоохранения и системе социальной помощи?
- Какая процедура, основанная на системе ICD, могла бы быть применена, чтобы облегчить признание заболевания как 'редкое заболевание' в украинской системе здравоохранения, в системе социальной помощи и таким образом позволить людям с РЗ обеспечить доступ к услугам здравоохранения и к социальному обеспечению?

Реестры и базы данных

Рекомендация Совета по РЗ

Необходимо рассмотреть поддержку на всех уровнях, включая общественный, определение информационной сети о заболеваниях и, в эпидемиологических целях, реестры и базы данных.

Рекомендации EUROPLAN

Необходимо предусмотреть, чтобы международные, национальные и региональные Реестры для определенных редких заболеваний или групп редких заболеваний были развиты и поддержаны для исследований и целей здравоохранения, включая поддержку академическими исследователями. Участие существующих национальных Реестров в европейских/Международных реестрах.

Из итогового отчета EUROPLAN I

Чтобы гарантировать устойчивость реестров возникает проблема их доступности. На первом этапе следует оптимизировать ресурсы, уменьшая

- Собраны ли официальные списки РЗ в Украине? Если да. То для какой цели?
- Есть ли официальная государственная регистрация РЗ? И/или определенные базы данных РЗ?
- Какие правовые рамки или механизмы контролируют взаимодействие среди децентрализованных реестров и центральных реестров или баз данных?
- Реестры и программы получают государственную поддержку?
- Оцените участие и причастность пациентов в реестрах, включая образование реестров; определение содержания и целей реестров; решение этических и юридических вопросов; поручение доступа и использования данных; создание программ сотрудничества с медицинскими работниками и представителями фармпромышленности; подготовку определенной информации для пациентов, которые будут зарегистрированы; мотивацию



I-я Национальная конференция

Украина и ЕВРОПЛАН2: развитие государственной стратегии для редких заболеваний до 2020 г.

фрагментацию и перекрывание. Оптимизация ресурсов может включать принятие механизмов для извлечения уже существующей информации, скрытой под глобальной информацией о всех болезнях.

Признано участниками всех Конференций обязательным поддерживать функционирование Реестров РЗ, притом, что в некоторых странах это уже существующая практика (Германия, Швеция, Италия). Например, в двух болгарских проектах причастность всех заинтересованных лиц оказалась ключевой для успеха и для долгосрочности Реестров РЗ. Это обстоятельство особенно рекомендовано, поскольку предполагает разнообразие источников финансирования (государство, академические структуры, фармпромышленность, пациентские организации...).

Ключевые Принципы Совместной декларации EURORDIS-NORD-CORD для Реестров Пациентов с РЗ

1. Пациентские Реестры Больных РЗ должны быть признаны глобальным приоритетом в области РЗ.
2. Реестры должны охватить самую широкую географическую область.
3. Реестры должны быть сосредоточены для определенного заболевания или группы заболеваний.
4. Должна сохраняться способность к взаимодействию и гармонизации между Реестрами.
5. Минимальный набор общих элементов данных должен последовательно использоваться во всех Реестрах.
6. Данные Реестров должны быть связаны с соответствующими данными биобанка.
7. Реестры должны включать данные, о которых непосредственно сообщают пациенты наряду с данными, о которых сообщают работники здравоохранения.
8. Общественно-частные организации должны поощряться для гарантии устойчивости их Реестров.
9. Пациенты должны быть одинаково связаны с другими заинтересованными лицами в управлении Реестрами.
10. Реестры должны служить ключевыми инструментами для создания и полномочных действий пациентских организаций.

медицинских работников ввести данные о РЗ. Оцените, как эта причастность отражена в **управлении** реестрами.

- Как гарантировать через соответствующие механизмы финансирования **долгосрочную устойчивость** реестров и баз данных?
- **Европейская Платформа для Регистрации Редких Заболеваний (EPIRARE)**, поддерживаемая Европейской комиссией и нацеленная оказать общие услуги и инструменты для существующих (будущих) Реестров в ЕС. Какой вклад Украина могла бы обеспечить в **EPIRARE**? Как **EPIRARE** может помочь оптимизировать национальные ресурсы регистрацию редких заболеваний?
- Какие инициативы и стимулы необходимы, чтобы клиницисты активно участвовали в сборе данных?
- Как стимулировать **гармонизацию процедур и технических инструментов**, в особенности развитие **минимальных наборов данных**, и для реестров и для биобанков?
- Как участвовать в **международных инициативах**, таких как **IRDiRC** (Международный Консорциум Исследования для Исследований редких заболеваний) в пользу гармонизации и способности к взаимодействию Реестров РЗ и как следствие - продвижения создания и функционирования Реестров с большим географическим покрытием?



І-я Национальная конференция
Украина и ЕВРОПЛАН2: развитие государственной стратегии для редких заболеваний до 2020 г.

<p>Доступность информации для РЗ</p>	
<p>Рекомендации EUROPLAN Использование международных глобальных информационных веб-сайтов и баз данных для редких заболеваний. Доступность к базам знаний и к советам специалистов для медицинских работников.</p> <p>Из итогового отчета Конференций EUROPLAN Уникальная роль ORPHANET была выдвинута на первый план с целью увеличение знаний и понимания РЗ, необходимых для пациентов и их семей. Решение о государственной поддержке кампании оказалось действенным для увеличения осведомленности общественности о РЗ в целом. Национальные инициативы, развивающие понимание о РЗ, требуются во многих странах. Кроме международного Дня редких заболеваний предложения включают организацию и участие в событиях, семинарах и конференциях, лучшее освещение в СМИ, статьи в специализированных изданиях и медицинских журналах, распространение информации через профессиональные общества и ассоциации пациентов, информативные брошюры и листовки для распространения на местах.</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Каковы существуют источники информации о РЗ в Украине? <ul style="list-style-type: none"> • есть ли веб-сайт, горячие линии, известны ли они общественности; • представлены ли в Украине инициативы центров экспертизы и/или пациентских организаций или программы, чтобы стимулировать распространение информации и образовательного материала для пациентов или определенной общественной группы (учителя, социальные работники, и т.д.); • есть ли инициативы направленные на улучшение понимания РЗ, такие как международный День редких заболеваний, др.?
<p>Обучение работников здравоохранения</p>	
<p>Из итогового отчета EUROPLAN</p> <ul style="list-style-type: none"> • Конкретные предложения включают инновационное обучение, используя аккредитованные университеты, обучение онлайн. Программы должны быть одобрены квалифицированными центрами и другими учреждениями, вовлеченными в РЗ. • Должны быть созданы системы оценки качества и эффективности обучения, разработаны индикаторы их выполнения. • Необходимо систематическое обучение профессионалов. • Общеизвестно, что базовое обучение, охватывающее все области РЗ, необходимо гарантировать для терапевтов и педиатров, т.к. это формирует 	<ul style="list-style-type: none"> • Как работники здравоохранения обучаются в Украине? • Следует обсудить усовершенствование учебных модулей, включающих определенные протоколы для педиатров для распознавания соответствующих признаков РЗ • Какие возможности обучения специалиста по редким заболеваниям для врачей в областях, относящихся к диагнозу РЗ (например, генетика, онкология, иммунология, неврология, педиатрия), включая последипломное образование?



І-я Национальная конференция
Украина и ЕВРОПЛАН2: развитие государственной стратегии для редких заболеваний до 2020 г.

<p>понимание возможных редких диагнозов и обучает повседневному общению с пациентами РЗ.</p> <ul style="list-style-type: none"> • Аспирантура обязана приносить всестороннее знание о РЗ специалистам, с дополнительным компонентом управления - акцентироваться от знания болезни к знанию пациентом о своем заболевании. • Обучение необходимо для среднего медицинского персонала. Центры Экспертизы должны быть избирательными местами, где такое обучение может обеспечиваться. Разделение мероприятий и ресурсов, учитывая обмен между Центрами Экспертизы, помогло бы максимизировать эти усилия. • Учебные возможности должны быть распространены на специалистов, таких как «помощник для людей с серьезными ограниченными возможностями», других профессиональных профилей, роль которых способствует улучшению качества жизни людей с РЗ. • Информация и учебные ресурсы должны быть сделаны общедоступными в определенном справочнике, утвержденном и/или управляемом компетентным органом (например, при референс-поддержке сети ORPHANET). • Соответствующая компетентность в РЗ должна быть достигнута, гарантируя пожизненное обучение врачей и других работников здравоохранения, включая специалистов среднего медицинского персонала. • Сотрудничество с пациентскими организациями - желательно. 	<ul style="list-style-type: none"> • Какие меры и стимулы для медицинского обучения молодых специалистов и ученых в области РЗ?
--	---

Тема 4: Научные исследования в области редких заболеваний

Научные исследования, инфраструктура и программы для РЗ	ТЕМЫ для ОБСУЖДЕНИЙ
<p>Рекомендации EUROPLAN Научно-исследовательские работы по редким заболеваниям должны быть выделены и прослеживаться в пределах более общих национальных программ исследований.</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Есть ли в Украине реестр учреждений (групп), работающих на национальном уровне в исследовании РЗ? <ul style="list-style-type: none"> ○ централизованная база данных научно-исследовательских работ по РЗ; ○ идентификация приоритета и потребностей в области исследования



І-я Национальная конференция
Украина и ЕВРОПЛАН2: развитие государственной стратегии для редких заболеваний до 2020 г.

	<p>РЗ;</p> <ul style="list-style-type: none"> ○ централизация источников финансирования для научно-исследовательских работ по РЗ; ○ непрерывные схемы финансирования научно-исследовательских работ по РЗ
<p>ЕС и международное сотрудничество в исследованиях в области РЗ</p>	
	<ul style="list-style-type: none"> • Как способствовать и поддержать участие украинских исследователей и лабораторий, пациентов и организаций пациентов в проектах стран Европейского союза? • Каким образом организовать (поддержать) участие украинских специалистов в Международном консорциуме для Исследований редких заболеваний (IRDIRC)?

Тема 5: Социальная защита пациентов с редкими заболеваниями

<p>Социальные ресурсы для пациентов с редкими заболеваниями, Специализированное социальное обеспечение при редких заболеваниях, Политика объединения людей, живущих с РЗ</p>	<p>ТЕМЫ для ОБСУЖДЕНИЙ</p>
<p>Услуги, требуемые больными РЗ, часто недоступны и не приспособлены вследствие того, что они не охвачены соответствующими структурами (психотерапия, трудотерапия, специальные потребности, питание...). Система социальной защиты обычно разрабатывается для распространенных заболеваний и не достаточно гибка, чтобы учесть беспрецедентные медицинские потребности для РЗ.</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Какие национальные схемы социального обеспечения поддерживают пациентов (их семьи) с ограниченными возможностями? • Как существующие социальные ресурсы доступны информационно на национальном уровне? Есть официальный справочник социальных ресурсов для инвалидов? • Какие существуют национальные схемы, способствующие интеграции людей, живущих с РЗ (школа, обучение, работа, и т.д.) <ul style="list-style-type: none"> ○ образовательная поддержка пациентов, родственников, сиделок; ○ отдельная поддержка в школе на различном уровне обучения, и для



І-я Национальная конференция
Украина и ЕВРОПЛАН2: развитие государственной стратегии для редких заболеваний до 2020 г.

	<p>учеников с РЗ и для учителей;</p> <ul style="list-style-type: none"> ○ способствование получения высшего образования; • Какие существуют механизмы поддержки инвалидов, чтобы они могли поступить и остаться обучаться в школе (ВУЗе), участвуя в общественной жизни.
--	--

Тема 6: Центры Экспертизы и европейские Справочные Сети для редких заболеваний

Определение и оценка ЦЭ (Центры Экспертизы)	ТЕМЫ для ОБСУЖДЕНИЙ
<p>Рекомендация Совета по РЗ Идентифицируйте соответствующие центры экспертизы по Украине к концу 2013, и рассмотрите поддержку их создания.</p> <p>Критерии для обозначения ЦЭ для РЗ в ЕС Способность выработать и придерживаться качественных руководящих принципов практики для диагноза и обслуживания. Способность предложить качественные индикаторы обслуживания в смежных (перекрываемых) областях. Высокий уровень экспертизы и опыта. Вклад в современное исследование. Способность участвовать в сборе данных для клинического исследования и целей здравоохранения. Способность участвовать в клинических испытаниях. Демонстрация мультидисциплинарного подхода. Организация сотрудничества для гарантии непрерывности обслуживания на всех стадиях заболевания. Связи и сотрудничество с другими ЦЭ на национальном, европейском и международном уровне. Связи и сотрудничество с пациентскими организациями. Обеспечение мер для сокращения времени постановки диагноза.</p>	<ul style="list-style-type: none"> • В какой стадии развития процесс определения ЦЭ в Украине? • Какие критерии находятся в основе определения ЦЭ в Украине? • Какое сотрудничество установлено с пациентами или их организациями?



І-я Национальная конференция
Украина и ЕВРОПЛАН2: развитие государственной стратегии для редких заболеваний до 2020 г.

Доступ к информации	
	<ul style="list-style-type: none"> • Что делают ЦЭ для предоставления доступной информации, необходимой для пациентов и их семей, врачей, социальных работников? • Какова роль организаций пациентов в предоставлении доступной информации, подготовленной в соответствии с нуждами различных пользователей?
Диагностика и генетическое тестирование. Скрининг	
	<ul style="list-style-type: none"> • Как собрать реестр медицинских лабораторий, обеспечивающих диагностику РЗ? • Существует ли процесс аккредитации для таких лабораторий, основанный на качественных критериях? • Как гарантировать поддержку и организацию сети таких лабораторий? Как лучше связать их с ЦЭ структурированным способом? Как гарантировать сотрудничество с лабораториями вне Украины, если недоступна диагностика на национальном уровне? • Какие существуют механизмы для пересылки биологических образцов, а также другого диагностического материала? Как организовать обмен ДНК-образцов на Европейском и национальном уровне? • Какие программы скрининга существуют в Украине? • Какая правовая основа поддерживает методы проверки новорожденного? Если методы проверки новорожденного сделаны без уведомления, сопровождаются ли они необходимой, прозрачной и ясной информацией родителям? • Как развить сотрудничество на уровне ЕС, особенно в части эффективности лечения, надежность проверки тестов, не ослабляя национальную компетентность?



І-я Национальная конференция
Украина и ЕВРОПЛАН2: развитие государственной стратегии для редких заболеваний до 2020 г.

