



## **Об утверждении правил формирования перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения**

Приказ Министра здравоохранения Республики Казахстан от 16 октября 2020 года № ҚР ДСМ-135/2020. Зарегистрирован в Министерстве юстиции Республики Казахстан 19 октября 2020 года № 21454.

В соответствии с пунктом 4 статьи 177 Кодекса Республики Казахстан от 7 июля 2020 года "О здоровье народа и системе здравоохранения" ПРИКАЗЫВАЮ:

1. Утвердить правила формирования перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения согласно приложению к настоящему приказу.
2. Департаменту организации медицинской помощи Министерства здравоохранения Республики Казахстан в установленном законодательством порядке Республики Казахстан обеспечить:
  - 1) государственную регистрацию настоящего приказа в Министерстве юстиции Республики Казахстан;
  - 2) размещение настоящего приказа на интернет-ресурсе Министерства здравоохранения Республики Казахстан после его официального опубликования;
  - 3) в течение десяти рабочих дней после государственной регистрации настоящего приказа в Министерстве юстиции Республики Казахстан предоставление в Юридический департамент Министерства здравоохранения Республики Казахстан сведений об исполнении мероприятий, предусмотренных подпунктами 1) и 2) настоящего пункта.
3. Контроль за исполнением настоящего приказа возложить на курирующего вице-министра здравоохранения Республики Казахстан.
4. Настоящий приказ вводится в действие по истечении десяти календарных дней после дня его первого официального опубликования.

*Министр здравоохранения  
Республики Казахстан*

*А. Цой*

Приложение к приказу  
Министра здравоохранения  
Республики Казахстан  
от 16 октября 2020 года  
№ ҚР ДСМ-135/2020

## **Правила формирования перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения**

### **Глава 1. Общие положения**

1. Настоящие Правила формирования перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения (далее – Правила) разработаны в соответствии с пунктом 4 статьи 177 Кодекса Республики Казахстан от 7 июля 2020 года "О здоровье народа и системе здравоохранения" (далее – Кодекс) и определяют порядок формирования перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения

2. В настоящих Правилах используются следующие понятия:

1) научная организация в области здравоохранения – национальный центр, научный центр или научно-исследовательский институт, осуществляющие научную, научно-техническую и инновационную деятельность в области здравоохранения, а также медицинскую, фармацевтическую и (или) образовательную деятельность;

2) уполномоченный орган в области здравоохранения (далее – уполномоченный орган) – центральный исполнительный орган, осуществляющий руководство и межотраслевую координацию в области охраны здоровья граждан Республики Казахстан, медицинской и фармацевтической науки, медицинского и фармацевтического образования, санитарно-эпидемиологического благополучия населения, обращения лекарственных средств и медицинских изделий, качества оказания медицинских услуг (помощи);

3) орфанные (редкие) заболевания – редкие тяжелые болезни, угрожающие жизни человека или приводящие к инвалидности, частота которых не превышает официально определенного уровня;

## **Глава 2. Порядок формирования перечня орфанных заболеваний**

3. Для включения заболевания в перечень орфанных заболеваний субъектами здравоохранения, представителями ассоциаций и общественных объединений, физическими и юридическими лицами подаются предложения в уполномоченный орган.

4. Предложения с момента поступления в течение 3 рабочих дней направляются уполномоченным органом в научные организации в области здравоохранения по профилю заболевания.

5. В научной организации по профилю заболевания предложения о включении заболевания в перечень орфанных заболеваний рассматриваются комиссией.

Комиссия создается приказом руководителя научной организации в области здравоохранения, в состав которой входят председатель, члены комиссии (не менее трех профильных специалистов, в том числе внештатные специалисты в области здравоохранения) и секретарь.

Председатель избирается из числа членов комиссии путем голосования.

6. Комиссия по предлагаемым заболеваниям проводит анализ, включающий следующую информацию:

- 1) общее описание болезни или состояния;
- 2) код в соответствии с Международной классификацией болезней (далее - МКБ);
- 3) описание этиологии и симптоматики;
- 4) распространенность орфанного заболевания, рассчитанная на основании статистических данных Республики Казахстан и (или) международных статистических данных;
- 5) обоснование тяжести или инвалидизирующего характера заболевания, основанное на объективной и количественной медицинской или эпидемиологической информации;
- 6) обоснование угрожающего жизни характера болезни или состояния, основанное на показателях смертности и продолжительности жизни.

7. Заключение комиссии оформляется протоколом, который содержит наименование медицинской организации, дату проведения заседания, список присутствующих членов, перечень обсуждаемых вопросов, решение и его обоснование.

Заключение комиссии направляется в уполномоченный орган для рассмотрения на заседании Объединенной комиссии по качеству медицинских услуг, формируемой в соответствии со статьей 15 Кодекса (далее – ОКК).

8. Уполномоченным органом решение о включении заболевания в перечень орфанных заболеваний принимается при наличии положительной рекомендаций ОКК и соответствии подпункту 1) и одним из подпунктов 2), 3), 4), 5) следующих критериев:

- 1) распространенность в Республике Казахстан;
- 2) необходимость в систематическом лечении, для проведения которого имеются разработанные и зарегистрированные на территории Республики Казахстан лекарственные средства (курабельные пациенты);
- 3) необходимость в систематическом лечении с применением лекарственных средств, которые разработаны и имеются в мире, но не зарегистрированы к применению на территории Республики Казахстан;
- 4) наличие заболеваний, для лечения которых в мире отсутствуют разработанные лекарственные средства;
- 5) необходимость оказания паллиативной медицинской помощи в связи с отсутствием радикальной терапии (инкурабельные пациенты).

Распространенность в Республике Казахстан не более 50 случаев на 100 тысяч населения в Республике Казахстан.

9. Пересмотр перечня орфанных заболеваний проводится один раз в три года и (или) при появлении новых достоверных случаев.

### **Глава 3. Порядок формирования перечня лекарственных средств для лечения орфанных заболеваний**

10. Для включения лекарственных препаратов в перечень орфанных лекарственных средств субъектами обращения лекарственных средств, представителями организаций производителей лекарственных средств, субъектами здравоохранения, представителями ассоциаций и общественных объединений, физическими и юридическими лицами подаются предложения в уполномоченный орган.

11. Предложения с момента поступления в течение 3 рабочих дней направляются уполномоченным органом в Республиканскую государственную организацию, осуществляющую организацию сбора, обработки, хранения и анализа медицинских статистических данных о деятельности организаций здравоохранения, состояния здоровья населения и лекарственном обеспечении (далее – Рабочий орган).

12. Рабочий орган проводит анализ предлагаемых лекарственных препаратов с подготовкой заключения, включающего следующую информацию:

- 1) общее описание лекарственного препарата;
- 2) сведения о регистрации лекарственного препарата на территории Республики Казахстан со статусом орфанного препарата (технологии) или описание причин отсутствия регистрации в Республике Казахстан;
- 3) общее описание орфанного заболевания, включенного в Перечень орфанных заболеваний, утвержденный в соответствии с пунктом 3 статьи 177 Кодекса или более узкого показания в рамках данного орфанного заболевания, при котором предлагается применение лекарственного препарата;
- 4) детали регуляторного орфанного статуса за рубежом;
- 5) обзор основных клинических исследований;
- 6) сравнение с орфанными технологиями, зарегистрированными в Республике Казахстан с подтверждением значимой клинической или экономической выгоды.

13. Результаты анализа в виде заключения Рабочего органа направляются в уполномоченный орган для рассмотрения на заседании Форумной комиссии (далее – ФК), определенной в порядке, установленном пунктом 2 статьи 264 Кодекса.

14. Лекарственный препарат включается в Перечень орфанных лекарственных средств при наличии положительной рекомендации ФК и соответствии следующим критериям:

1) лекарственный препарат предназначен для диагностики, профилактики или лечения одного или нескольких орфанных заболеваний согласно утвержденного перечня орфанных заболеваний (на момент подачи предложения);

2) лекарственный препарат зарегистрирован к применению на территории Республики Казахстан со статусом орфанного препарата (технологии) или не зарегистрирован к применению на территории Республики Казахстан;

3) лекарственный препарат предназначен для пациентов с заболеванием, для которого не существует удовлетворительных методов диагностики, профилактики, лечения или при наличии такого метода, данный лекарственный препарат будет приносить значительно большую пользу пациентам, страдающим таким заболеванием.

15. Пересмотр Перечня орфанных лекарственных средств проводится один раз в три года и (или) при появлении новых орфанных лекарственных средств.