МОСКОВСКАЯ ОБЛАСТНАЯ ДУМА

КОМИТЕТ ПО СОЦИАЛЬНОЙ ПОЛИТИКЕ И ЗДРАВООХРАНЕНИЮ

Бульвар Строителей, д. 7, г. Красногорск,
Московская область, 143407
тел. (495) 594-94-94

15.12.2025 № Д-16-892исх

на № _____ от _____

**Депутату Государственной Думы ФС РФ,
руководителю Экспертного совета
по редким (орфанным) заболеваниям
при Комитете ГД РФ по охране здоровья
Румянцеву А.Г.**

Уважаемый Александр Григорьевич!

Направляю Вам решение по итогам расширенного заседания Комитета по социальной политике и здравоохранению Московской областной Думы совместно с Экспертным Советом Комитета Государственной Думы Федерального Собрания Российской Федерации по охране здоровья по редким (орфанным) заболеваниям от 07.10.2025 по вопросу: «Экспертное совещание по вопросам организации медицинской помощи и лекарственного обеспечения пациентов с редкими (орфанными) заболеваниями». (Прилагается.)

**С уважением,
Председатель Комитета**

Подлинник электронного документа, подписанного ЭП, хранится в Межведомственной системе электронного документооборота Правительства Московской области

СВЕДЕНИЯ О СЕРТИФИКАТЕ ЭП

Сертификат: 7DBC5F480003000A0D40
Владелец: Голубев Андрей Алексеевич
Действителен с 17-07-2025 до 17-07-2026

А.А. Голубев

Абдулаева Аминат Гасановна
8(495)594-94-94. 16-133

Правительство Московской области

РЕШЕНИЕ
Комитета по социальной политике и здравоохранению Московской областной Думы с участием членов Экспертного Совета Комитета Государственной Думы Федерального Собрания Российской Федерации по охране здоровья по редким (орфанным) заболеваниям
«Экспертное совещание по вопросам организации медицинской помощи и лекарственного обеспечения пациентов с редкими (орфанными) заболеваниями»

07 октября 2025 года **13.00**

Комитетом по социальной политике и здравоохранению Московской областной Думы (далее – Комитет) проведено расширенное заседание по заданной тематике совместно с Экспертным Советом Комитета Государственной Думы Федерального Собрания Российской Федерации по охране здоровья по редким (орфанным) заболеваниям (далее – Экспертный Совет).

В работе расширенного заседания приняли участие: депутаты Московской областной Думы, представители: Министерства здравоохранения Московской области, Территориального фонда обязательного медицинского страхования Московской области, члены Экспертного Совета, члены Экспертного совета при Московской областной Думе.

По данным Министерства здравоохранения Московской области в 2025 году для обеспечения лиц, страдающих орфанными заболеваниями (в том числе детей), было выделено из бюджета Московской области 2 600 000 тыс. руб.

По состоянию на 02.10.2025 обслужено 6592 рецепта на 1 961 805,55 тыс. руб.

Пациенты, в том числе и дети, страдающие орфанными (редкими) заболеваниями (далее – орфанные заболевания), обеспечиваются лекарственными препаратами в установленном порядке, в соответствии с Федеральным законом от 29.11.2010 № 326-ФЗ «Об обязательном медицинском страховании в Российской Федерации», приказом Минздрава Российской Федерации от 24.11.2021 № 1094н «Об утверждении Порядка назначения лекарственных препаратов, форм рецептурных бланков на лекарственные препараты, Порядка оформления указанных бланков, их учета и хранения, форм бланков рецептов, содержащих назначение наркотических средств или психотропных веществ, Порядка их изготовления, распределения, регистрации, учета и хранения, а также Правил оформления бланков рецептов, в том числе в форме электронных документов», а также с актуальными рекомендациями федеральных лечебных учреждений и поданными ежемесячными заявками медицинских организаций государственной системы здравоохранения Московской области.

Для обеспечения лекарственными препаратами лиц, страдающих орфанными заболеваниями (в том числе детей), в 2026 году из бюджета Московской области предусмотрено выделение денежных средств в объеме 2025 года – 2 600 000 тыс. руб.

Правительство Московской области

В настоящее время в региональном сегменте Федерального регистра лиц, страдающих жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями, приводящими к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности (далее – Федеральный регистр) числится 1625 пациентов, страдающих орфанными заболеваниями, из них 570 дети.

В Федеральном регистре по основному заболеванию (фенилкетонурия) состоит 330 пациентов, из них 223 ребенка.

Министерство здравоохранения Московской области предлагает оставить пациентам с фенилкетонурией региональную льготу – централизованную закупку лечебного питания.

Стоимость питания в зависимости от вида заболевания разная и может достигать 56 000,00 руб.

В соответствии с постановлением Правительства Московской области от 13.08.2024 № 851-ПП «Об установлении величины прожиточного минимума на душу населения и по основным социально-демографическим группам населения в Московской области на 2025 год» с 01.01.2025 величина прожиточного минимума на душу населения составляет 19 302,00 руб. в месяц.

В целях оказания первичной специализированной медико-санитарной помощи в амбулаторных условиях пациентам (детям) с врожденными и (или) наследственными заболеваниями в соответствии с распоряжением Министерством здравоохранения Московской области от 26.09.2025 № 437-Р «Об организации медико-генетической помощи в Московской области» (вместе с «Регламентом направления пациентов с диагнозом врожденного и (или) наследственного заболевания или подозрением на врожденное и (или) наследственное заболевание в медико-генетический центр государственного бюджетного учреждения здравоохранения Московской области «Научно-исследовательский клинический институт детства Министерства здравоохранения Московской области») Медико-генетический центр переведен в ГБУЗ Московской области «НИКИ детства» Министерства здравоохранения Московской области.

В соответствии с распоряжением Министерства здравоохранения Московской области от 26.09.2025 № 437-Р «Об организации медико-генетической помощи в Московской области» в консультативно-диагностическом центре ГБУЗ Московской области «Московский областной научно-исследовательский клинический институт им. М.Ф. Владимирского» организована работа Кабинета орфанных заболеваний, где будут проводиться консультации врачей-специалистов пациентам старше 18 лет с врожденными и (или) наследственными заболеваниями или подозрением на врожденные и (или) наследственные заболевания и назначение им лекарственных препаратов на основании медицинских показаний.

Приняв к сведению информацию, предоставленную Министерством здравоохранения Московской области, а также с учетом информации, изложенной в ходе других выступлений, участники заседания поддержали следующие предложения Экспертного Совета по усовершенствованию медицинской помощи пациентам с орфанными заболеваниями на федеральном и региональном уровнях:

Правительство Московской области

продолжение федерализации орфанных заболеваний и расширение перечня нозологий, установленных пунктом 21 части 2 статьи 14 Федерального закона от 21.11.2011 № 323-ФЗ «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации»;

необходимость разработки на региональном уровне территориальных программ по орфанным заболеваниям;

ведение региональных реестров и регистров по всему перечню редких (орфанных) заболеваний (перечень редких (орфанных) заболеваний включает в себя более 293 редких орфанных заболеваний/групп, более 90 имеют лечение);

расширение программ скрининга (неонатальный, селективный);

обеспечение преемственности медицинской помощи и лекарственного обеспечения при переходе пациента с орфанным заболеванием из детской возрастной группы во взрослую;

обеспечение за счет средств федерального бюджета пациентов с орфанными заболеваниями лекарственными препаратами, незарегистрированными на территории Российской Федерации;

обеспечение средствами реабилитации (в том числе Технические средства (изделия) в рамках федерального перечня реабилитационных мероприятий);

развитие отечественного производства специализированных продуктов лечебного питания;

развитие производственных региональных аптек во всех субъектах Российской Федерации;

обучение врачей (проведение образовательных программ в регионах, формирование региональных программ обучения);

создание региональных Орфанных центров (мультидисциплинарный подход) на функциональной основе;

создание центров компетенций (нервно-мышечных Центров, центров муковисцидоза и т.д.) с выстроенной маршрутизацией и обеспечением преемственности дети/взрослые с мультидисциплинарным направлением на функциональной основе и ряд других предложений.

Особое внимание на расширенном заседании уделено вопросам лекарственного обеспечения лиц, страдающих орфанными заболеваниями:

1. Пациенты «Вне перечней»:

с «Новыми орфанными заболеваниями» – вне государственных программ (источник финансирования лекарственного обеспечения не определен, лекарственное обеспечение по факту наличия инвалидности, по жизненным показаниям).

2. Нерешенные проблемные зоны спинальной мышечной атрофии (СМА):

спинальная мышечная атрофия (СМА) не входит ни в одну программу льготного лекарственного обеспечения;

неравенство доступа к лечению внутри нозологии у детей и взрослых;

нерешенные проблемы перевода из Фонда поддержки детей с тяжелыми жизнеугрожающими и хроническими заболеваниями, в том числе редкими (орфанными) заболеваниями, «Круг добра» (далее – «Круг добра»)

Правительство Московской области

на региональное обеспечение (доступ к лечению и лекарственное обеспечение взрослых пациентов со спинальной мышечной атрофией (СМА) старше 19 лет);

необходимость решения вопроса лечения по факту наличия заболевания, а не инвалидности.

Участники расширенного заседания отметили также проблемы доступности лекарств в формах и дозировках, предназначенных для детей.

Назначение лекарственных препаратов в медицинских стационарах педиатрического профиля осуществляется по показаниям «вне инструкции», что не входит в соответствующие стандарты медицинской помощи или не предусмотрено клиническими рекомендациями, а также требует принятия отдельных решений по повышению эффективности процессов лекарственного обеспечения.

Недостаточное заполнение препаратами в специальных детских лекарственных формах, обеспечивающих соответствие современным концепциям педиатрии и точное дозирование действующих веществ в зависимости от возраста ребенка невозможно с учетом медицинских, организационно-фармацевтических и правовых аспектов. Это требует решения проблем разработки, организации промышленного производства, а также совершенствование правового регулирования применения препаратов для детей.

Для развития медицинской промышленности в части производства детских лекарственных форм и развития производственных аптек в субъектах Российской Федерации необходимо внесение изменений в правовое регулирование следующих Федеральных законов:

№ 61-ФЗ «Об обращении лекарственных средств» от 12.04.2010 (в части обеспечения безопасности: для пациентов при приеме лекарственных средств, а для медицинских и фармацевтических работников – при работе с токсичными веществами; качество процессов изготовления лекарственных препаратов (далее – ЛП) и внутриаптечной фасовке зарегистрированных ЛП; эффективности изготовленных ЛП);

№ 326-ФЗ «Об обязательном медицинском страховании в Российской Федерации» от 29.11.2010 (переход к принципам учета курсового назначения, а не учета упаковки – рациональное применение ЛП; исключение и (или) снижение уровня перерасхода бюджетных средств за счет персонифицированного учета потребления ЛП);

№ 323-ФЗ «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» от 21.11.2011 (в части полноценного исполнения конституционных прав (гарантий) граждан на социальное обеспечение в случае болезни, инвалидности (ст. 39), а также охрану здоровья и медицинскую помощь (ст. 41), развития системы лекарственного обеспечения в сфере персонификации);

№ 178-ФЗ «О государственной социальной помощи» от 17.07.1999 (в части дополнения положениями, которые «стандартизуют» процессы и повысят стабильность, устойчивость системы лекарственного обеспечения в сфере применения методов персонализированной фармакотерапии).

По итогам обсуждения участники расширенного заседания решили:

Правительство Московской области

1. Рекомендовать Экспертному Совету с участием депутатов Комитета Государственной Думы Федерального Собрания Российской Федерации по охране здоровья:

предложить всем субъектам Российской Федерации в 2026 году продолжить ведение и актуализацию регионального сегмента Федерального регистра пациентов, проживающих на территории региона, с изучением потребности в лекарственном обеспечении пациентов, страдающих орфанными заболеваниями а также организовать ведение регистров по всему перечню орфанных заболеваний для понимания эпидемиологии и финансовой нагрузки региона, что позволит каждому региону оценить актуальные финансовые расходы по данному направлению;

подготовить предложения в Министерство здравоохранения Российской Федерации о внесении изменений в Федеральный закон от 21.11.2011 № 323-ФЗ «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации» в части ведения межбюджетных трансфертов для софинансирования высокозатратной терапии орфанных заболеваний, с учетом заболеваний, не включённых в федеральные программы (например, спинальная мышечная атрофия — СМА, нейрофиброматоз 1 типа, миодистрофия Дюшена, булезный эпидермолиз, ДЛКЛ, ГФР и др.) без предъявления к таким пациентам обязательного требования о наличии у них статуса инвалида;

обратиться в Министерство здравоохранения Российской Федерации по вопросу необходимости скорейшего пересмотра Перечня жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности, утвержденного постановлением Правительства Российской Федерации от 26.04.2012 № 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», и включения в него редких (орфанных) заболеваний, для которых на территории Российской Федерации имеется зарегистрированная патогенетическая терапия.

2. Предложить Министерству здравоохранения Российской Федерации:

включить спинальную мышечную атрофию (СМА) в перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности;

рассмотреть возможность финансирования из средств федерального бюджета мероприятий по организации своевременного и беспрерывного лекарственного обеспечения взрослых со СМА, в том числе выходящих из «Круга добра» на 2026 год и на плановый период 2027 и 2028 годов;

рассмотреть возможность организации дополнительной диагностики на спинальную мышечную атрофию (СМА) для пациентов с неуточненным генетическим диагнозом группы нервно-мышечных заболеваний и иными заболеваниями, по клинической картине схожими со спинальной мышечной атрофией (СМА), в том числе за счет бесплатной диагностической программы

Правительство Московской области

на базе Федерального государственного бюджетного научного учреждения «Медико-генетический научный центр имени академика Н.П. Бочкова», а также внедрить программу селективного скрининга на спинальную мышечную атрофию (СМА) и другие нервно-мышечные заболевания;

рассмотреть возможность формирования федеральной программы для предупреждения позднего выявления заболевания миодистрофия Дюшена, посредством включения определения уровня фермента креатининфосфокиназы (КФК) в плановое обследование (скрининг) детей (мальчиков) в возрасте от 1 года до 3-х лет, для выявления пациентов с нервно-мышечными заболеваниями на ранних стадиях и своевременного начала терапии для предотвращения инвалидизации.

Заслушав доклады по обозначенной теме и по итогам обмена мнениями, участники расширенного заседания РЕШИЛИ:

1. Принять информацию участников к сведению.

2. Поручить Комитету:

2.1. Поддержать законодательные инициативы по внесению изменений в вышеперечисленные федеральные законы, направленных на развитие производственных аптек в субъектах Российской Федерации и способствующих созданию предприятий фармацевтического сектора, производящих лекарственные препараты в формах и дозировках, необходимых для детей.

Срок – 4 квартал 2026 года.

2.2. Поддержать законодательные инициативы по внесению изменений в федеральное законодательство, направленных на финансирование лекарственного обеспечения взрослых со спинальной мышечной атрофией (СМА), в том числе в том числе для детей, получающих лекарственную терапию за счет средств Фонда «Круг добра» до 19 лет и у которых прекращается право на лекарственное обеспечение после достижения 19 лет за счет средств «Круга добра», финансирование которых осуществляется за счет средств региональных бюджетов.

Срок – 4 квартал 2026 года.

2.3. Уделять приоритетное внимание вопросам совершенствования законодательства, изучения и распространения опыта, направленного на повышение эффективности организации медицинской помощи, лекарственного обеспечения и реализации прав граждан, страдающих орфанными заболеваниями, в том числе при рассмотрении поступающих от органов государственной власти Российской Федерации и субъектов Российской Федерации обращений и законодательных инициатив по внесению проектов федеральных законов, поступающих в Московскую областную Думу.

Срок – 4 квартал 2026 года.

2.4. Поддерживать мероприятия, проводимые Экспертным советом.

Срок – 4 квартал 2026 года.

3. Предложить Министерству здравоохранения Московской области:

3.1. Продолжить ведение и актуализацию регионального сегмента Федерального регистра лиц, страдающих жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями, приводящих

Правительство Московской области

к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности проживающих на территории региона, с изучением потребности в лекарственном обеспечении данной категории граждан, а также организовать ведение регистров по всему перечню редких (орфанных) заболеваний для понимания эпидемиологии и финансовой нагрузки региона.

Срок – ежеквартально в течение 2026 года.

3.2. Выделить орфанные заболевания, для которых на территории Российской Федерации есть зарегистрированная патогенетическая терапия, не включенные в региональные сегменты федеральных перечней (Перечень редких (орфанных) заболеваний Минздрава России, который включает по состоянию на 19 августа 2025 года 297 нозологий и Перечень жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности в целях недопущения дефицита средств бюджета Московской области на указанные направления.

Срок – в течение 2026 года.

3.3. Предоставлять информацию, указанную в пунктах 3.1. и 3.2. в Экспертный Совет для проведения обобщения и анализа в рамках реализации лекарственного обеспечения пациентов с орфанными заболеваниями на территории всей России.

Срок – ежеквартально 2026 года.

3.4. Обеспечивать механизм преемственности медицинской помощи и лекарственного обеспечения при переходе пациентов из детской возрастной группы во взрослую, в том числе для детей, получающих лекарственную терапию за счет средств Фонда «Круг добра» до 19 лет и направить информацию в Комитет.

Срок – в течение 2026 года.

4. Территориальному фонду обязательного медицинского страхования Московской области обобщить сведения об оказании медицинской помощи пациентам с орфанными заболеваниями в рамках Московской областной программы обязательного медицинского страхования за счет средств бюджета территориального фонда обязательного медицинского страхования по итогам 2025 года. Направить указанную информацию в Комитет для планирования дальнейшей работы.

Срок – 1 квартал 2026 года.

5. Контроль за исполнением настоящего решения возложить на председателя Комитета по социальной политике и здравоохранению Московской областной Думы Голубева А.А.

Председатель Комитета
по социальной политике
и здравоохранению
Московской областной Думы **А.А. Голубев**

Подлинник электронного документа, подписанного ЭП, хранится в Межведомственной системе электронного документооборота Правительства Московской области

СВЕДЕНИЯ О СЕРТИФИКАТЕ ЭП

Сертификат: 7DBC5F480003000A0D40
Владелец: Голубев Андрей Алексеевич
Действителен с 17-07-2025 до 17-07-2026

Правительство Московской области