

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 "О здоровье народа и системе здравоохранения" **ПРИКАЗЫВАЮ:**

Сноска. Преамбула – в редакции приказа Министра здравоохранения РК от 21.10.2025 № 108 (вводится в действие по истечении десяти календарных дней после дня его первого официального опубликования).

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

Сноска. Правила – в редакции приказа Министра здравоохранения РК от 21.10.2025 № 108 (вводится в действие по истечении десяти календарных дней после дня его первого официального опубликования).

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 "О здоровье народа и системе здравоохранения" (далее – Кодекс) и определяют порядок формирования перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения (далее – орфанные лекарственные средства).

2. В настоящих Правилах используются следующие понятия:

1) 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);

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

3) рабочий орган – организация здравоохранения, осуществляющая организационно-методическое руководство, координацию, мониторинг и экспертную поддержку в области диагностики, лечения, профилактики и регистрации орфанных (редких) заболеваний на территории Республики Казахстан.

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 Рабочий орган.

4. Предложения о включении заболевания в перечень орфанных заболеваний рассматриваются комиссией Рабочего органа.

Комиссия создается приказом руководителя Рабочего органа, 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.

5. Комиссия с момента поступления предложений проводит анализ по предлагаемым заболеваниям в срок не более 30 (тридцати) рабочих дней, включающий следующую информацию:

- 1) общее описание болезни или состояния;
- 2) код в соответствии с Международной классификацией болезней;
- 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.

6. 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 (далее – ОКК), формируемой в соответствии со статьей 15 Кодекса.

7. Уполномоченным органом решение о включении заболевания в перечень орфанных заболеваний принимается при наличии положительной рекомендации ОКК, 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 10 случаев на 100 тысяч населения в Республике Казахстан.

8. Пересмотр перечня орфанных заболеваний проводится один раз в год и (или) при появлении новых достоверных случаев.

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

9. 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.

10. Предложения с момента поступления в течение 3 рабочих дней направляются уполномоченным органом в подведомственную организацию уполномоченного органа, в компетенцию которой входят вопросы оценки технологий здравоохранения (далее – Центр).

11. Центр с момента поступления предложений проводит анализ предлагаемых лекарственных препаратов с подготовкой заключения, в срок не более 30 (тридцати) рабочих дней, 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.

12. Результаты анализа в виде заключения Центра направляются в уполномоченный орган для рассмотрения на заседании Формулярной комиссии (далее – ФК) в соответствии с Правилами осуществления деятельности формулярной системы, утвержденными приказом Министра здравоохранения Республики Казахстан от 6 апреля 2021 года № ҚР ДСМ - 28 (зарегистрирован в Реестре государственной регистрации нормативных правовых актов под № 22513).

13. 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.

14. Пересмотр перечня орфанных лекарственных средств проводится один раз в год и (или) при появлении новых орфанных лекарственных средств.