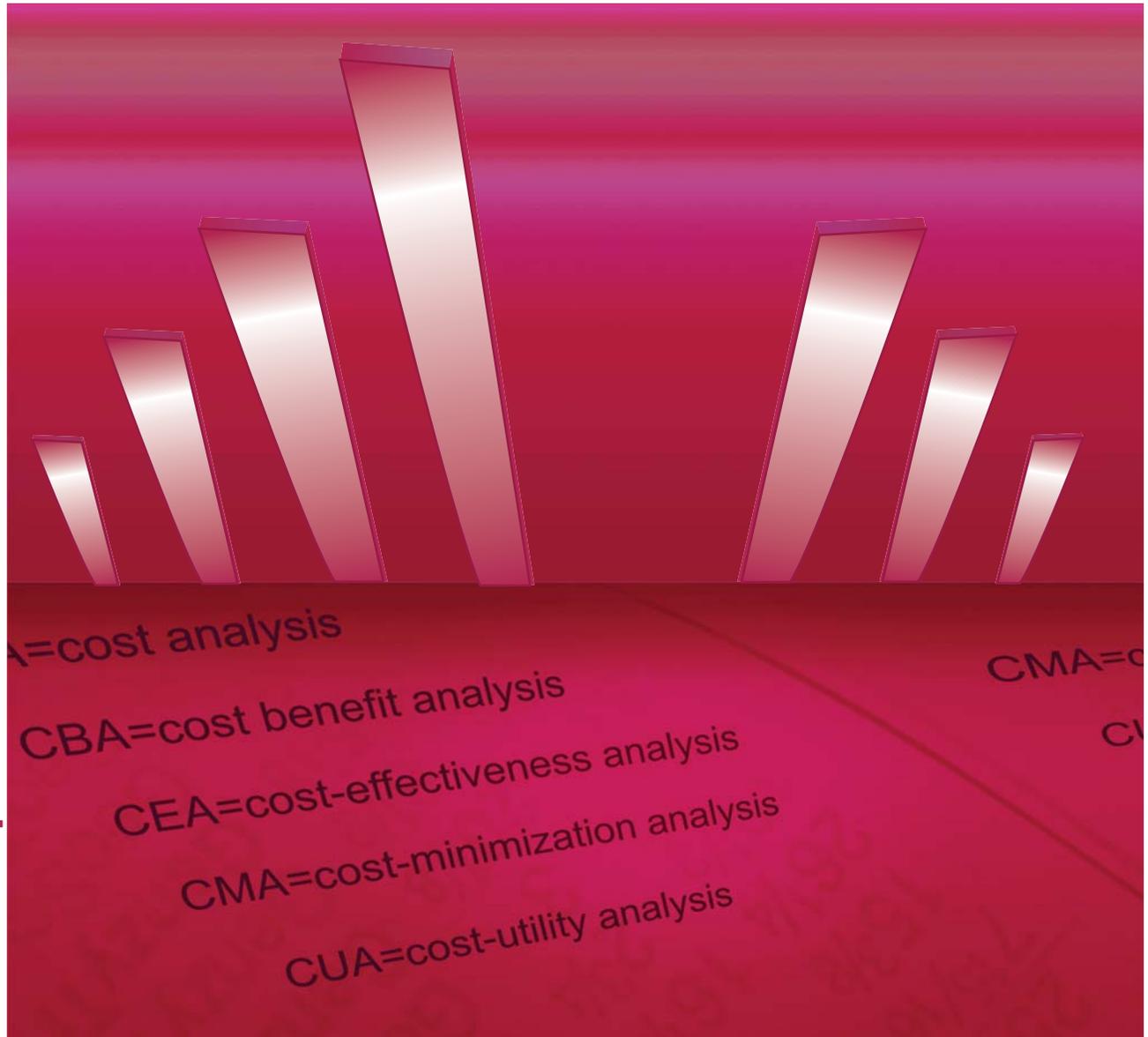


Фармакоэкономика

современная фармакоэкономика и фармакоэпидемиология

www.pharmacoeconomics.ru



- Анализ объемов потребления психотропных лекарственных средств, применяемых для лечения шизофрении, в стационарах различного типа
- Дорожная карта развития систем ценового регулирования и лекарственного обеспечения населения за счет средств системы здравоохранения

№4 Том 7
2014

Возможности применения многокритериального анализа для оптимизации финансирования редких заболеваний

Омельяновский В.В.^{1,2}, Федяева В.К.^{1,2}, Реброва О.Ю.^{1,2,3}

¹ Российская академия народного хозяйства и государственной службы при Президенте РФ

² Научно-исследовательский финансовый институт Министерства финансов РФ

³ Российский национальный исследовательский медицинский университет им. Н.И. Пирогова

Резюме: финансирование лекарственных препаратов для лечения больных с редкими заболеваниями остается серьезной проблемой как для зарубежных государств, так и для нашей страны. Ограниченный бюджет на лечение таких больных определяет существенные сложности для его распределения на лекарственное обеспечение пациентов с различными редкими заболеваниями. Одним из подходов повышения объективности и прозрачности принимаемых решений в области редких заболеваний можно рассматривать внедрение методики многокритериального анализа для выявления приоритетных для финансирования заболеваний. Основным преимуществом анализа на основе множества критериев является комплексность принимаемых решений: данный вид анализа может обеспечивать учет показателей тяжести заболевания и показателей эффективности самого лечения. В 2014 г. РФ было проведено пилотное исследование с участием 85 экспертов в различных областях медицины (клиническая медицина, финансирование здравоохранения, управление здравоохранением, научная деятельность), в результате которого было выявлено, что, с точки зрения экспертов, параметры характеристики лечения являются более важными для оценки приоритетности финансирования редких заболеваний, чем характеристика самого заболевания.

Ключевые слова: редкие заболевания, многокритериальный анализ решений, орфанные препараты, принятие решений.

Редкие заболевания (РЗ) – группа заболеваний, распространенность каждого из которых в популяции не превышает 10 пациентов на 100 000 человек – критерий, принятый в России. В Евросоюзе критерием РЗ является распространенность один случай на 2000 человек, в США – один случай на 1250 человек.

В настоящее время в РФ ведение и финансирование РЗ регулируются статьей 44 Федерального закона «Об основах охраны здоровья граждан» №323-ФЗ. Все пациенты, страдающие РЗ, подлежат внесению в региональный регистр РЗ, а затем – в федеральный регистр РЗ, ведение которого регулируется Постановлением Правительства (ПП) РФ № 403 от 26 апреля 2012 г. [3,5].

Особую остроту в области РЗ имеет лекарственная политика. Лекарственное обеспечение пациентов с РЗ является одной из наиболее дорогостоящих областей медицинской помощи, что связано с ограниченным количеством показаний, по которым могут назначаться лекарственные препараты (ЛП), предназначенные для лечения РЗ, а также ограниченной потребностью в таких ЛП и сложностью технологии их изготовления [6].

Экспертным советом по здравоохранению Комитета Совета Федерации по социальной политике было проведено исследование, посвященное оценке необходимых финансовых затрат на лекарственное обеспечение больных с редкими заболеваниями в РФ [1]. Результаты данного исследования показали, что общее количество больных с 24 РЗ в 76 субъектах РФ в 2013 г. составило 10 436 человек при общем объеме выделенных финансовых средств 4,43 млрд руб. Общие средневзвешенные необходимые затраты на основную патогенетическую или, при ее отсутствии, симптоматическую фармакотерапию 24 РЗ составили в 83 субъектах РФ 15,73 млрд руб. в год на 11 173 зарегистрированных больных, что приблизительно в 3,3 раза выше текущих расходов [1].

Помимо вышеописанной проблемы недостатка финансирования, следует отметить неполноту регистров больных с РЗ, связанную во многом с недостаточной квалификацией врачей на местах, отсутствием возможностей диагностировать РЗ. Данная ситуация затрудняется тем, что некоторые субъекты Федерации до сих пор не начали финансирование пациентов с РЗ, в то время как в некоторых регионах затраты уже в 2013 г. превысили 500 млн руб. [1].

Таким образом, вышеупомянутое исследование подтверждает существование серьезного дефицита финансирования лекарственного обеспечения больных с РЗ. Одним из подходов к решению данной проблемы может являться выявление приоритетных для финансирования нозологий на основании оценки совокупности ряда признаков – тяжести заболевания, эффективности лечения, изменения качества жизни пациента и других показателей, однако в настоящее время в РФ отсутствует инструмент принятия

решений для объективного ранжирования заболеваний на основании данных или подобных критериев.

Одним из способов решения задачи выявления приоритетных для финансирования РЗ может являться создание и применение методики многокритериального анализа (МКА) для РЗ. МКА – это обширная группа неформальных и формальных методов, позволяющих учитывать совокупность нескольких, зачастую противоречивых, аргументов при принятии решений, то есть осуществлять системный анализ предметной области на основании множества критериев [2]. МКА применяется во многих областях научного и практического знания, и в последнее время все чаще и чаще разрабатываются методики МКА для применения в области оценки технологий здравоохранения.

Целью применения МКА является ранжирование альтернативных вариантов решения в соответствии с их уровнем приоритетности (например, от лучшего к худшему) или отнесение их к той или иной категории для объективной и прозрачной оценки различных вариантов решений. Процесс создания методики МКА включает определение набора критериев, их весов и шкал, а также выбор способа объединения значений критериев для получения общей оценки каждого варианта решения, а в ряде случаев и разработку метода отнесения полученной для каждой альтернативы оценки к соответствующему уровню приоритетности [2]. Рассмотрим подробно определение терминов МКА.

Альтернативами в МКА называют рассматриваемые варианты решений, которые зачастую являются альтернативными. Например, альтернативами могут быть различные варианты лечения какого-либо заболевания. Критериями называются аргументы (параметры), которые учитываются при принятии решения. Например, при выборе лечебного вмешательства для конкретного пациента врач обычно учитывает такие критерии, как эффективность и безопасность вмешательства, его стоимость для пациента, время до достижения эффекта, удобство для пациента, доступность вмешательства и др. Каждый критерий характеризуется своим «весом» (числовым значением, отражающим важность данного критерия при рассмотрении данной проблемы). В нашем примере эффективность вмешательства может быть более важной при принятии решения, чем удобство приема или время до достижения эффекта. Каждый критерий измеряется с помощью той или иной шкалы. Шкалы могут быть количественными (например, стоимость лечения) и качественными (например, степени безопасности). Критерии, релевантные решаемой задаче, должны быть в одинаковой степени применимы ко всем вариантам решений (альтернативам) [2].

Таким образом, МКА может быть определен как подход, поддерживающий и облегчающий процесс принятия решений. Другими словами, это формализованный подход, основанный на использовании четких критериев и прозрачных правил принятия решения и обеспечивающий выбор в пользу той или иной альтернативы [2].

В области РЗ применение МКА может обеспечить консолидированное мнение экспертов, профессиональных сообществ и пациентских организаций, по двум крайне актуальным вопросам: 1) затраты на какое заболевание следует возмещать в первую очередь и 2) какие именно лекарственные препараты закупать в первую очередь? В условиях появления новых медицинских технологий и совершенствования диагностики РЗ внедрение и последовательное применение конкретных методик МКА для поддержки принятия решений о финансировании этих заболеваний позволит оперативно осуществлять динамический пересмотр списка РЗ и выделять приоритетные РЗ для оказания мер государственной поддержки, обеспечивая тем самым рациональное использование лимитированных бюджетных средств [2].

В настоящее время уже используются методики МКА, разработанные для использования в области оценки технологий здраво-

охранения. Одной из таких наиболее разработанных методик является универсальная методика EVIDEM [2,6,11]. Данная методика включает четыре блока критериев:

1. Критерии, относящиеся к качеству доказательств:
 - соблюдение требований органа, принимающего решение, к представлению аргументов;
 - полнота и согласованность всех опубликованных доказательств;
 - актуальность и обоснованность доказательств.
2. Критерии, относящиеся к заболеванию:
 - тяжесть заболевания;
 - размер подверженной заболеванию популяции.
3. Критерии, относящиеся к вмешательству (медицинской технологии):
 - текущие клинические рекомендации;
 - ограничения МТ;
 - повышение клинической эффективности МТ;
 - повышение безопасности и переносимости МТ;
 - улучшение исходов у пациентов, увеличение приверженности лечению и удобства приема;
 - преимущества МТ на уровне популяции;
 - тип медицинского обслуживания.
4. Экономические критерии:
 - влияние на бюджет;
 - соотношение «затраты/эффективность» для анализируемого вмешательства;
 - влияние на другие расходы.

Каждый критерий имеет свою шкалу значений, а весовые коэффициенты определяются в процессе рассмотрения каждой конкретной проблемы. Весовые коэффициенты и значения критериев объединяются в итоговом результате посредством определенной математической модели, при этом веса каждого из критериев определяются каждым из экспертов (или группой экспертов) [11]. Несмотря на то, что данная методика является одной из наиболее формализованных, структурированных, обеспечивающих прозрачный доступ к доказательствам среди подобных методик, она все равно во многом опирается на достижение консенсуса лиц, принимающих решения [6].

Методика EVIDEM [11] имеет ряд недостатков, затрудняющих ее использование для ранжирования РЗ, а именно:

1. Учет критериев, относящихся к качеству доказательств. Данная группа критериев не является актуальной для проблемы лекарственного обеспечения больных с РЗ, так как для многих лекарственных препаратов для лечения РЗ не существует на данный момент клинических исследований надлежащего качества, в т.ч. по причине крайне малого количества пациентов с некоторыми нозологиями, а также ввиду крайне высокой стоимости и ограниченного количества выпускаемых лекарственных препаратов;
2. Учет критериев, относящихся к экономическим аспектам. Применение оценки экономической эффективности препаратов для лечения РЗ ставит специфические задачи, учитывая, что такие технологии редко являются экономически эффективными из-за их крайне высокой цены, ограниченных (часто одной нозологией) показаний и ограниченной клинической эффективности.

Таким образом, методика EVIDEM не может применяться в качестве инструмента оценки РЗ с последующим ранжированием нозологий в соответствии с уровнем приоритетности для финансирования.

В настоящее время опубликовано большое количество исследований, посвященных МКА в оценке технологий в здравоохранении, и их публикуется все больше и больше: с 2005 по 2010 г. их количество увеличилось более чем в два раза, а с начала 1990-х гг. – более чем в шесть раз [7], об использовании анализа на основе

множества критериев для оценки РЗ сообщается в [14]. Также публикуются подробные методические рекомендации по созданию МКА [2,8].

Многие агентства по оценке технологий здравоохранения признают необходимость использования более широкого набора критериев при оценке РЗ и/или орфанных препаратов¹. В обзоре [9] проведен анализ деятельности восьми агентств по оценке технологий здравоохранения различных стран мира (европейские страны, США, Канада, Австралия) относительно способов оценки экономической эффективности орфанных препаратов для возмещения за счет государства. Из шести выбранных организаций, информация о деятельности которых является общедоступной, только одно агентство (британское NICE) имеет специальную систему для оценки орфанных препаратов. Большинство агентств (CDR в Канаде, PBAC и LSDF в Австралии, SMC в Шотландии) в настоящее время оценивают орфанные препараты на основании своих стандартных процедур, проявляя, однако, большую гибкость в оценке предельных уровней рентабельности для орфанных препаратов.

W. Hughes-Wilson и соавт. предлагают использовать МКА для обоснования ценообразования на орфанные препараты [12]. Авторы предлагают использовать девять критериев, каждый из которых имеет шкалу из трех значений (см. табл. 1), соответствующих низкой, средней и высокой цене, которые в сочетании при определенных весовых коэффициентах критериев будут определять уровень цены на орфанные препараты. Авторы предполагают, что в каждой стране будут установлены свои весовые коэффициенты и денежные эквиваленты значений критериев в соответствии с национальной системой здравоохранения, социальными ценностями и финансовыми ресурсами.

В Великобритании Консультативная группа по делам национальных специализированных служб (Advisory Group for National Specialized Services - AGNSS) была первым плательщиком в системе здравоохранения в Европе, который применил МКА в оценке технологий здравоохранения для ультраредких заболеваний [13].

Вопросник включал 12 критериев, которые были сгруппированы в четыре блока:

1. Улучшение здоровья:
 - клиническая безопасность и риск нежелательных явлений;
 - тяжесть заболевания пациентов и возможность пациентов получить выгоду от лечения;
 - клиническая эффективность лекарства и его потенциал для улучшения здоровья.
2. Социальная значимость:
 - отвечает ли препарат потребностям пациентов и общества?
 - стимулирует ли препарат исследования и инновации?
3. Разумная стоимость:
 - средняя стоимость лечения одного пациента;
 - общая стоимость препарата и его доступность, в т.ч. издержки;
 - соотношение цены и качества по сравнению с имеющимися альтернативами.
4. Наилучшие практики:
 - наилучшая клиническая практика;
 - экономическая эффективность предоставления препарата;
 - непрерывность обеспечения препаратом;
 - баланс доступности и географического распределения.

Подход, который был использован AGNSS, имеет ряд преимуществ по сравнению с использованием традиционных подходов оценки технологий здравоохранения: являлся всесторонним, кроме того, учитывались более широкие социальные аспекты, чем стоимость с поправкой на год качественной жизни. Также данный подход являлся более гибким по сравнению с традиционными подходами оценки технологий здравоохранения, так как учитывал особенности пациентов с конкретной нозологией и особенности соответствующих медицинских технологий [9,13,14].

С апреля 2013 г. полномочия AGNSS перешли к NICE. Документ, описывающий методы и промежуточные результаты программы по узкоспециализированным (орфанным) медицинским технологиям (то есть предназначенным для менее чем 500 пациентов

Критерий	Уровень цены		
	низкий	средний	высокий
Распространенность заболевания	1:2 000-1:20 000	1:20 000-1:200 000	Менее 1:200 000
Имеющаяся доказательная база	Обзор исследований	Результаты отдельных исследований	Отсутствие
Оценка клинической эффективности	Предварительные результаты	Оценка по суррогатным исходам	Оценка по истинным исходам
Сложность производства лекарственного препарата	Низкая	Умеренная	Высокая
Необходимость дополнительных исследований	Отсутствует или умеренная	Небольшие уточняющие исследования	Крупные исследования безопасности и эффективности с достаточным объемом выборки и длительностью наблюдения
Социальное бремя заболевания	Заболеваемость	Смертность, тяжелая инвалидизация взрослых	Смертность, тяжелая инвалидизация детей
Альтернативные МТ	Альтернативные МТ с аналогичными характеристиками	Альтернативные инновационные МТ	Отсутствие альтернативных МТ
Степень влияния на заболевание	Низкая	Средняя	Высокая
Использование ЛП по другим показаниям	Да	Возможно	Нет

Таблица 1. Критерии для оценки орфанных лекарственных препаратов и соответствующие им шкалы (по [12]).

¹ Орфанный препарат – понятие, используемое для обозначения препарата, предназначенного для лечения заболевания, относящегося к категории редких, обладающего рядом привилегий (в зависимости от страны – отсутствие конкуренции в течение определенного времени, упрощенная процедура регистрации и выхода на рынок и прочее). В настоящее время данное понятие не определено в РФ, однако есть основания полагать, что в скором времени оно будет сформулировано. Поскольку термин «орфанные препараты» широко используется в иностранной литературе, мы будем использовать его в своем обзоре.

в Англии), NICE создал на основе методики AGNSS, однако при этом в нем утверждается, что стандартная экономическая оценка не отвечает специфике оценки медицинских технологий для ультраредких заболеваний. По существу, NICE применяет МКА, учитывая следующие критерии: характер заболевания, влияние новой технологии, стоимость технологии для Национальной службы здоровья и персональной социальной системы, соотношение затрат и эффективности технологии, другие положительные эффекты технологии (помимо прямой выгоды для здоровья) и влияние технологии на получение пациентом специализированной помощи. Управление экономики здравоохранения определило критерии и их относительные веса, которые могут быть использованы в рамках МКА медицинских технологий для редких заболеваний [14].

Исследований, посвященных применению МКА для оценки РЗ, в настоящее время опубликовано мало. Одно из крупных исследований было проведено в 2013 г. в Великобритании [15]. Целью данного исследования являлось также выявление критериев для оценки орфанных препаратов, а также относительной важности этих критериев, то есть их весовых коэффициентов. Кроме того, исследователи поставили перед собой задачу проверить, действительно ли МКА применим для принятия решений о финансировании орфанных препаратов.

Первым этапом реализации проекта был литературный обзор исследований, посвященных 40 различным РЗ, в результате которого были выделены восемь критериев, при этом четыре из них относились к характеристикам заболевания, для которого предназначено лечение, а четыре – к характеристикам самого препарата. Кроме того, было проведено три семинара: один – для руководителей определенной фармацевтической компании, занимающейся производством орфанных препаратов, другой – для экспертов-клиницистов и экспертов в области экономики здравоохранения, третий – для представителей пациентских организаций, существующих в Европейском Союзе. Участники каждого из семинаров путем достижения консенсуса присвоили каждому критерию весовые коэффициенты (см. табл. 2).

Следует отметить, что представители пациентских организаций присвоили большие веса критериям, относящимся к качеству жизни пациентов, в то время как эксперты присвоили большие веса критериям, относящимся к клиническим проявлениям заболевания и эффектам лечения. В результате проведения анализа чувствительности и испытания готовой методики она признана

повышающей четкость и прозрачность принятия решений о финансировании орфанных продуктов.

В 2014 г. вышло Постановление Правительства РФ от 28.08.2014 N 871 [4], которое устанавливает правила формирования перечней лекарственных препаратов для медицинского применения и минимального ассортимента лекарственных препаратов, необходимых для оказания медицинской помощи, на основании различных шкал, таких как шкала оценки уровней доказательности результатов клинических исследований, уровней убедительности доказательств клинических исследований, эффективности и безопасности применения препарата в рамках клинических исследований, дополнительной терапевтической ценности и других. Данные шкалы подразумевают использование принципа МКА: критерии каждой из шкал имеют свои значения, выраженные в числах, при этом некоторые шкалы имеют весовые коэффициенты для каждого из критериев. Следует отметить, что данные шкалы не являются прозрачными (отсутствуют обоснования числовых значений критериев шкал и их весов), не имеют однородной структуры. Авторам представляется необходимым совершенствование предложенных правил методологической точки зрения на основании корректной реализации МКА, описанной в методических рекомендациях [2].

Нами проведено пилотное исследование, посвященное созданию методики МКА для ранжирования РЗ с целью выявления приоритетных заболеваний для финансирования за счет средств региональных бюджетов из перечня 24 нозологий [10]. При комплексной оценке заболевания и ЛП, предназначенной для его лечения, возможны ситуации, когда при крайне тяжелом заболевании отсутствует достаточно эффективная ЛП, а также ситуации, когда при заболевании меньшей тяжести существует ЛП, значительно влияющие на течение данного заболевания. Применение методики МКА с определением относительной важности каждого из критериев направлено на повышение объективности принятия решений и обоснование выбора приоритетных критериев в этом процессе. Результатом применения МКА для решения проблемы регулирования РЗ должно явиться выявление приоритетных заболеваний для оказания мер государственной поддержки, а также рациональное использование бюджетных средств.

На основании литературного поиска опубликованных исследований, а также на основании консультаций с экспертами-клиницистами, а также экспертами в области финансирования здравоохранения был сформирован перечень из 16 критериев,

Критерий	Семинар экспертов	Семинар пациентов
<i>Значимость РЗ и связанные с ним неудовлетворенные потребности пациентов</i>		
1. Доступность эффективных вариантов лечения/лучшая поддерживающая терапия в отсутствие нового метода лечения	19,5	11,0
2. Прогноз выживаемости при данном заболевании в соответствии со стандартами ведения пациентов	14,0	11,5
3. Смертность и инвалидность в результате данного заболевания в соответствии со стандартами ведения пациентов	12,0	15,0
4. Социальное бремя заболевания (влияние на повседневную жизнь пациента и лиц, осуществляющих уход)	8,0	15,0
Всего: влияние РЗ	53,5	52,5
<i>Влияние использования нового лечения</i>		
5. Инновационность лечения	0	5
6. Доказательства клинической эффективности лечения	27,5	17,5
7. Безопасность лечения	8,0	7,5
8. Влияние лечения на повседневную жизнь пациента и лиц, осуществляющих уход	11,0	17,5
Всего: влияние использования нового лечения	46,5	47,5

Таблица 2. Весовые коэффициенты¹ критериев МКА для оценки медицинских технологий для РЗ, по результатам исследования [15].

¹ Сумма весов равна 100. Веса подбирались путем распределения 100 баллов по восьми критериям.



Рисунок 1. Веса критериев по результатам анализа данных опроса 85 экспертов. Синим цветом выделены критерии, относящиеся к характеристикам заболевания, зеленым — критерии, относящиеся к характеристикам лечения.

восемь из которых относились к характеристикам заболевания, а восемь — к характеристикам предназначенного для него метода лечения (медицинской технологии):

Характеристики заболевания:

- Распространенность заболевания;
- Наличие эффективных вариантов лечения данного заболевания;
- Выживаемость при данном заболевании без лечения (сокращение продолжительности жизни);
- Проявления заболевания – физические нарушения;
- Проявления заболевания – когнитивные нарушения;
- Инвалидизация;
- Влияние заболевания на повседневную жизнь пациента (социальную и физическую активность);
- Дополнительное бремя на повседневную жизнь лиц, осуществляющих уход.

Характеристики лечения:

- Стоимость курса лечения;
- Влияние лечения на продолжительность жизни пациента;
- Влияние лечения на качество жизни пациента;
- Доказательства клинической эффективности лечения;
- Безопасность лечения – частота нежелательных явлений;
- Безопасность лечения – тяжесть нежелательных явлений;
- Физическая реабилитация вследствие лечения;
- Социальная реабилитация вследствие лечения.

На следующем этапе нами был проведен опрос экспертов, в ходе которого респонденты оценивали по 10-балльной шкале каждый из критериев на основании его вклада в приоритетность заболевания для последующего финансирования за счет средств государственного бюджета, при этом 1 баллу соответствовал самый низкий вклад критерия в приоритетность, а 10 баллам – самый высокий вклад критерия.

В опросе приняли участие 85 респондентов. Средний возраст респондентов составил 41 год (от 23 до 64 лет). Среди респондентов были 20 государственных и муниципальных служащих (в т.ч. шесть министров региональных министерств здравоохранений), 16 администраторов здравоохранения (главные врачи больниц), 14 научных сотрудников. 44 респондента имели ученую степень.

На основании полученных данных были вычислены средние значения оценок для каждого критерия, а затем они были нормированы на шкалу от 1 до 10. Вычисленные значения были приняты за веса критериев. Результаты опроса представлены на рисунке 1.

Нами было выявлено, что критерии «Влияние лечения на продолжительность жизни пациента» и «Влияние лечения на качество жизни пациента» были признаны респондентами самыми значимыми (оба весовых коэффициента составляют 10), при этом данные критерии относятся к характеристикам лечения. Критерии «Проявления заболевания – когнитивные нарушения» и «Дополнительное бремя на повседневную жизнь лиц, осуществляющих уход» были признаны наименее значимыми (весовые коэффициенты составляют 2,8 и 1 соответственно), при этом данные критерии относятся к характеристикам заболевания. Следует отметить, что третьим по значимости критерием экспертами был признан «Доказательства клинической эффективности лечения» (весовой коэффициент составляет 9,9), который относится к характеристикам лечения, при этом его весовой коэффициент ниже самых высоких весовых коэффициентов на 0,1. Следующий по убыванию значимости для респондентов критерий – «Наличие эффективных вариантов лечения основного заболевания» – относится к характеристикам заболевания, и его весовой коэффициент составляет 8,6, что более чем на единицу ниже весового коэффициента предыдущего критерия.

Таким образом, представляется, что характеристики МТ представляются более значимыми, чем характеристики заболевания, при принятии решения о финансировании заболевания за счет средств государственного бюджета [10].

Авторами планируется доработка перечня критериев в соответствии с рекомендациями по методологии МКА, разработка соответственных шкал критериев, а также апробация методики для анализа РЗ.

МКА является перспективным направлением развития инструментов принятия решений. Особенную актуальность данный метод приобретает для комплексной оценки РЗ и лекарственных препаратов, предназначенных для их лечения, так как данная технология оценки позволит помочь выявить наиболее приоритетные для финансирования за счет средств государственного бюджета

заболевания из числа редких, а также осуществлять динамический пересмотр списка РЗ в случае отнесения новых нозологий к категории редких или появления новых препаратов, предназначенных для лечения РЗ.

Литература

1. Омеляновский В.В., Сура М.В., Герасимова К.В., Авксентьева М.В., Татаринов А.П. Оценка необходимых финансовых затрат на лекарственное обеспечение больных с редкими заболеваниями в РФ. Информационный бюллетень. Экспертный совет по здравоохранению комитета Совета Федерации по социальной политике Федерального Собрания РФ, 2014 г.
2. Омеляновский В.В., Федяева В.К., Реброва О.Ю. Методические рекомендации по применению многокритериального анализа в здравоохранении. Экспертный совет по здравоохранению Комитета Совета Федерации по социальной политике, Научно-исследовательский финансовый институт Министерства финансов РФ, 2014 г.
3. Постановление Правительства РФ от 26.04.2012 N 403 (ред. от 04.09.2012) «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» (вместе с «Правилами 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»).
4. Постановление Правительства РФ от 28.08.2014 N 871 «Об утверждении Правил формирования перечней лекарственных препаратов для медицинского применения и минимального ассортимента лекарственных препаратов, необходимых для оказания медицинской помощи».
5. Федеральный закон от 21.11.2011 N 323-ФЗ (ред. от 28.12.2013) «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации».
6. Федяева и соавт. Многокритериальный анализ как инструмент поддержки принятия решений: обзор методов и возможностей их применения в оценке технологий здравоохранения. Медицинские технологии. Оценка и выбор. 2014; 2: 30-35.
7. Diaby V., Campbell K., Goeree R. Multi-criteria decision analysis (MCDA) in health care: a bibliometric analysis. *Operations Research for Health Care*. 2013; 2 (1): 20-24.
8. Diaby V., Goeree R. How to use multi-criteria decision analysis methods for reimbursement decision-making in healthcare: a step-by-step guide. *Expert review of pharmacoeconomics & outcomes research*. 2014; 14 (1): 81-99.
9. Drugs for Rare Diseases: Evolving Trends in Regulatory and Health Technology Assessment Perspectives. Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health. Issue 24 October 2013. // Link: http://www.cadth.ca/media/pdf/ES0281_RareDiseaseDrugs_es_e.pdf (доступ 5 февраля 2015 г.)
10. Fedyaeva V.K., Omelyanovsky V.V., Rebrova O., Khan N., Petrovskaya E.V. MCDA Approach To Ranking Rare Diseases In Russia: Preliminary Results. *Value in Health* Volume 16, Issue 7 (November 2013) A599.
11. Goetghebeur M.M. et al. Evidence and Value: Impact on Decision Making – the EVIDEM framework and potential applications. *BMC Health Services Research*. 2008; 8 (1): 270.
12. Hughes-Wilson W., Palma A., Schuurman A., Simoens S. Paying for the Orphan Drug System: break or bend? Is it time for a new evaluation system for payers in Europe to take account of new rare disease treatments? *Orphanet J Rare Dis*. 2012; 7 (1): 74.
13. Multi-Criteria Decision Analysis in Health Technology Assessments of Orphan Drugs // Link: <http://www.shire.com/shireplc/>

[dlibrary/documents/DecisionAnalysisinHTAOrphanDrugs.pdf](http://www.shire.com/shireplc/) (доступ 5 февраля 2015 г.)

14. Simoens S. Health technologies for rare diseases: does conventional HTA still apply? *Expert Rev. Pharmacoecon. Outcomes Res*. 2014; 14 (3): 315-317.

15. Sussex J., Rollet P., Garau M. et al. Multi-criteria decision analysis to value orphan medicines. Office of Health Economics. London. 2013.

References:

1. Omel'yanovskii V.V., Sura M.V., Gerasimova K.V., Avksent'eva M.V., Tatarinov A.P. Assessment of the necessary financial costs medicinal maintenance of patients with rare diseases in Russia. Newsletter. Expert Health Council of the Federation Council Committee on Social Policy of the Federal Assembly of the Russian Federation, 2014 [*Otsenka neobkhodimyykh finansovykh zatrat na lekarstvennoe obespechenie bol'nykh s redkimi zabolovaniyami v RF. Informatsionnyi byulleten'. Ekspertnyi sovet po zdravookhraneniyu komiteta Soveta Federatsii po sotsial'noi politike Federal'nogo Sobraniya RF, 2014 g.*].
2. Omel'yanovskii V.V., Fedyaeva V.K., Rebrova O.Yu. Guidelines on the application of multi-criteria analysis in health care. Expert Health Council of the Federation Council Committee on Social Policy, Research Institute of Finance Ministry of Finance, 2014 [*Metodicheskie rekomendatsii po primeneniyu mnogokriterial'nogo analiza v zdravookhraneni. Ekspertnyi sovet po zdravookhraneniyu Komiteta Soveta Federatsii po sotsial'noi politike, Nauchno-issledovatel'skii finansovyi institut Ministerstva finansov RF, 2014 g.*].
3. Government Decree of 26.04.2012 N 403 (ed. By 04.09.2012) «On the order of the Federal Register of persons suffering from life-threatening and chronic progressive rare (orphan) diseases that can shorten life expectancy of citizens or their disability, and regional segment «(with the» Rules of conducting the federal register of persons suffering from life-threatening and chronic progressive rare (orphan) diseases that can shorten life expectancy of citizens or their disability and its regional segment «)» [*Postanovlenie Pravitel'stva RF ot 26.04.2012 N 403 (red. ot 04.09.2012) «O porядke vedeniya Federal'nogo registra lits, stradayushchikh zhizneugrozhayushchimi i khronicheskimi progressiruyushchimi redkimi (orfannymi) zabolovaniyami, privodyashchimi k sokrashcheniyu prodolzhitel'nosti zhizni grazhdan ili ikh invalidnosti, i ego regional'nogo segmenta»*].
4. Government Decree of 28.08.2014 N 871 «On approval of the formation of lists of drugs for medical use and a minimum range of medicines required for medical care» [*Postanovlenie Pravitel'stva RF ot 28.08.2014 N 871 «Ob utverzhdenii Pravil formirovaniya perechnei lekarstvennykh preparatov dlya meditsinskogo primeneniya i minimal'nogo assortimenta lekarstvennykh preparatov, neobkhodimyykh dlya okazaniya meditsinskoi pomoshchi»*].
5. The Federal Law of 21.11.2011 N 323-FZ (ed. By 28.12.2013) «On the basis of the health of citizens in the Russian Federation» [*Federal'nyi zakon ot 21.11.2011 N 323-FZ (red. ot 28.12.2013) «Ob osnovakh okhrany zdorov'ya grazhdan v Rossiiskoi Federatsii»*].
6. Fedyaeva i soavt. *Meditsinskie tekhnologii. Otsenka i vybor*. 2014; 2: 30-35.
7. Diaby V., Campbell K., Goeree R. Multi-criteria decision analysis (MCDA) in health care: a bibliometric analysis. *Operations Research for Health Care*. 2013; 2 (1): 20-24.
8. Diaby V., Goeree R. How to use multi-criteria decision analysis methods for reimbursement decision-making in healthcare: a step-by-step guide. *Expert review of pharmacoeconomics & outcomes research*. 2014; 14 (1): 81-99.

9. Drugs for Rare Diseases: Evolving Trends in Regulatory and Health Technology Assessment Perspectives. Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health. Issue 24 October 2013. // Link: http://www.cadth.ca/media/pdf/ES0281_RareDiseaseDrugs_es_e.pdf (dostup 5 fevralya 2015 g.)

10. Fedyayeva V.K., Omelyanovsky V.V., Rebrova O., Khan N., Petrovskaya E.V. MCDA Approach To Ranking Rare Diseases In Russia: Preliminary Results. Value in Health Volume 16, Issue 7 (November 2013) A599.

11. Goetghebeur M.M. et al. Evidence and Value: Impact on DEcisionMaking – the EVIDEM framework and potential applications. *BMC Health Services Research*. 2008; 8 (1): 270.

12. Hughes-Wilson W., Palma A., Schuurman A., Simoens S. Paying

for the Orphan Drug System: break or bend? Is it time for a new evaluation system for payers in Europe to take account of new rare disease treatments? *Orphanet J Rare Dis*. 2012; 7 (1): 74.

13. Multi-Criteria Decision Analysis in Health Technology Assessments of Orphan Drugs // Link: <http://www.shire.com/shireplc/dlibrary/documents/DecisionAnalysisinHTAOrphanDrugs.pdf> (dostup 5 fevralya 2015 g.)

14. Simoens S. Health technologies for rare diseases: does conventional HTA still apply? *Expert Rev. Pharmacoecon. Outcomes Res*. 2014; 14 (3): 315-317.

15. Sussex J., Rollet P., Garau M. et al. Multi-criteria decision analysis to value orphan medicines. Office of Health Economics. London. 2013.

APPLICATION OF MULTIPLE-CRITERIA ANALYSIS FOR OPTIMIZATION OF FINANCING OF RARE DISEASES

Omelyanovskiy V.V.^{1,2}, Fedyayeva V.K.^{1,2}, Rebrova O.Yu.^{1,2,3}

¹ *Russian Presidential Academy of National Economy and Public Administration, Federal State Educational Institution of Higher Professional Education, Moscow*

² *Research Financial Institution of the Ministry of Finance of the Russian Federation, Federal State Budget Institution, Moscow*

³ *The Russian National Research Medical University named after N.I. Pirogov of the Ministry of Health of the Russian Federation, Moscow*

Abstract: financing of rare disease drugs remains a serious problem for both foreign countries and our country. A limited budget for treatment of such patients determines significant difficulties for its distribution as part of drug supply to rare disease patients. The introduction of multiple-criteria analysis for identifying priority areas for financing diseases can be considered as one of the approaches to increase objectivity and transparency of decisions in the area of rare diseases. The main advantage of multiple-criteria analysis is the comprehensiveness of decisions: this type of analysis can provide consideration of disease severity and treatment efficacy. In 2014, a pilot study was conducted in the Russian Federation which involved 85 experts in various fields of medicine (clinical medicine, health financing, health management, scientific activity), which demonstrated that, from the point of view of experts, the characteristics of treatment are more important for identification of rare disease funding priority than the characteristics of the disease itself.

Key words: rare diseases, multiple-criteria decision analysis, orphan drugs, making decisions.