**РЕПУБЛИКА СЕВЕРНА МАКЕДОНИЈА**

**МИНИСТЕРСТВО ЗА ЗДРАВСТВО**

Врз основа на член 16 ставови 2 и 3 од Законот за здравствената заштита („Службен весник на Република Македонија” бр. 43/12, 145/12, 87/13, 164/13, 39/14, 43/14, 132/14, 188/14, 10/15, 61/15, 154/15, 192/15, 17/16, 37/16 и 20/19 и „Службен весник на Република Северна Македонија” бр. 101/19, 153/19, 180/19 и 275/19), Владата на Република Северна Македонија, донесе:

# ПРОГРАМА ЗА ЛЕКУВАЊЕ РЕТКИ БОЛЕСТИ ВО РЕПУБЛИКА СЕВЕРНА МАКЕДОНИЈА ЗА 2021 ГОДИНА

## 1. ВОВЕД

Ретките болести претставуваат клинички хетерогена група болести со ниска преваленца во популацијата. Во светот до денес се идентификувани помеѓу 5.000 и 8.000 ретки болести со претежно генетска етиологија (конгенитални аномалии и деформации, моногенетски болести, наследни нарушувања на метаболизмот), но и болести со ретки автоимуни нарушувања, ретки дегенеративни нарушувања, ретки малигни заболувања и ретки инфекции. Ретките болести се карактеризираат со прогресивен неповолен тек, а многу често и со рана смрт. Најголемиот дел од ретките болести (75%) се појавуваат веднаш после раѓањето и во рана детска возраст.

И покрај различноста во етиологијата, ретките болести имаат многу заеднички елементи - неадекватно препознавање, неадекватна и/или непостоечка класификација, недоволна достапност на дијагностички постапки, како и ограничени и скапи терапавтски можности, До сега постои специфичен третман за околу 250 ретки болести со т.н. лекови -сираци (orphan drugs), кои се најчесто скапи и тешко достапни.

Иако опфаќаат многу мал процент од целокупната популација, тие претставуваат значаен процент во однос на морбидитетот, морталитетот и квалитетот на живот и здравјето на граѓаните. Касно и неадекватно препознавање и постапување на дијагноза на ретки болести често води до трајни оштетувања и смрт на заболените, со значајно влијание врз целокупниот статус на семејството.

Постојат голем број Европски иницијативи за обезбедување легислативи и униформност во организацијата на сервисите за обезбедување нега и лекување на пациентите со ретки болести.

Здравствените власти во секоја земја во склоп на сопствениот здравствен систем и своите можности создава специфичен национален план за лекување.

Согласно експертското мислење на Комисијата за ретки болести при Министерството за здравство, во „Регистар на ретки болести и на пациенти кои боледуваат од ретки болести“ се вбројуваат единствено заболувања кои се наведени ОРФАН листата на ретки болести - ревидирана јануари 2020 година ( https: //www.orpha.net/ orphacom/cahiers/ docs/ GB/ List_of_rare_diseases_in_alphabetical_order.pdf). Ретка болест, според Европскиот експертски комитет за ретки болести, е **секоја болест или нарушување кое погодува мал дел од населението, односно со преваленца од не повеќе од 5 на 10 000 лица.** Во оваа група не се вбројуваат хронично изнемоштени или несоодветно третирани заболувања, како и болни со ретка секундарна компликација на честа болест.

## 2. АНАЛИЗА НА МОМЕНТАЛНАТА СОСТОЈБА

Програмата за лекување на ретки болести започнува и за првпат е донесена во 2009 година за лекување на два пациенти со една иста ретка болест, а во последователните години постојано е зголемувана листата на лекови-сираци и на лекувани пациенти со ретки болести.

Заклучно со декември 2020 година во Регистерот на ретки болести има регистрирано вкупно 575 лица, од кои за околу 185 лица се обезбедуваат лекови преку Програмата за ретки болести.

Во 2020 година се воведени два нови лекови-сираци за терапија и тоа ампуларна терапија за болеста на Гоше и нов лек за терапија на пациентите со хередитарен ангиоедем (ХАЕ) како трет лек за третман на оваа болест.

Заклучно со јавната набавка во 2020 година, преку Програмата за лекување на ретки болести обезбедени се вкупно 35 лека за лекување на пациенти со ретка болест.

Сите пациенти ги исполнуваат критериумите и за нив е дадено позитивно мислење од Националната комисија за ретки болести.

## 3. ЦЕЛИ НА ПРОГРАМАТА И МЕРКИ КОИ Е НЕОПХОДНО ДА СЕ ПРЕЗЕМАТ

Основна цел на Програмата за ретки болести е обезбедување на терапија со лекови-сираци за лицата со ретки болести кои се вклучени во Регистарот на ретки болести на Република Северна Македонија, за чиешто лекување постои одобрение од Комисијата за ретки болести при Министерството за здравство. **Преку Програмата за ретки болести ќе се лекуваат оние заболувања кои спаѓаат во ORPHAN листата на ретки болести, но чија преваленца во Република Северна Македонија не надминува 1 на 100 000 жители.**

Со оваа програма се обезбедува стандард на лекување на лицата со ретки болести, сличен на стандардот на лекување на другите болести во здравствениот систем, согласно светските нормативи за лекување и обезбедениот буџет наменет за ретките болести. Во Програмата не е вклучено обезбедување на потребите од ортопедски и други помагала, обезбедување на суплементи (масти и витамини и слично) како и за лицата кои се лекуваат преку Фондот за здравствено осигурување на Република Северна Македонија.

Комисијата за ретки болести предлага отпочнување на терапија на лице со ретка болест врз основа на усвоена стручна процедура на Комисијата за ретки болести и соодветна документација обезбедена од лекарот што го води пациентот.

За поставување на терапија не може да се одлучува ретроактивно откако е одобрена терапија на друго ниво во државата, отпочнато лекување во друга држава, или ако е првично отпочнатата терапија преку донации. Медицинската документација за овие пациенти потребно е да биде доставена на разгледување до

Комисијата за ретки болести преку соодветната Универзитетска клиника каде ќе биде продолжено лекувањето.

За дијагнозите со ретка болест кај кои преваленцата во Република Северна Македонија е надмината а за кои веќе се набавуваат лекови преку програмата за ретки болести, ќе бидат опфатени со програмата, се додека не се обезбеди нивното лекување преку други извори на финансирање.

При одлучување на комисијата по одредено прашање, во предвид треба да се има следното:

- Преку Програмата за ретки болести можат да се лекуваат пациенти со ретки болести дадени во Orphan листата за ретки болести - ревидирана во јануари 2020 година (ORPHAN list of rare diseases, https://www.orpha.net/orphacom/ cahiers/docs/ GB/ List _of_rare _diseases _in _alphabetical order.pdf).

Лекот задолжително треба да биде одобрен од страна на релевантни тела - ЕМЕА–Европа или FDA-САД.

- За болеста мора да постои препорака за лекување со одреден т.н лек-сирак и истиот да не се обезбедува преку Фондот за здравствено осигурување на Република Северна Македонија.
- Треба да постојат однапред дефинирани критериуми за мерливост на ефектите на лекувањето врз основа на кои понатаму, во строго дефинирани временски пероди ќе се евалуираат ефектите од терапијата од страна на независно тело - комисија одредена од страна на Министерството за здравство.
- Експериментална терапија или терапија која е во тек на клинички студии не може да биде одобрена за лекување. Ново-излезени лекови нема да се одобрат се додека не се добие меѓународна потврда дека истите даваат позитивни резултати, дека се препорачани од релевантни институции за употреба и дека се подготвени протоколи за примена.
- Доколку има повеќе лекови за иста болест, ќе се земе во предвид: лекот за кој има поголемо позитивно меѓународно искуство, индивидуалниот пристап кон пациентот, мислењето на лекарот кој го дијагностицирал и/или го лекува пациентот во однос на ефектите од лекувањето со истиот а по потреба на барање на Министерството за здравство и мислење од други експерти од соодветната област.
- Барање за одобрување за лекување на пациент со ретка болест до Националната комисија за ретки болести може да поднесе само лекар кој го дијагностицирал пациентот и/или го лекува пациентот, кој има позитивно мислење од стручниот колегиум од својата матична универзитетска клиника каде ќе биде лекуван пациентот. Барањето за поставување на пациентот на Програмата за ретки болести треба да биде одобрено од стручниот колегиум и потпишано од Директорот на соодветната ЈЗУ Универзитетска клиника.
- Евалуацијата на пациентите за ефектите од терапијата ќе ја врши посебно формирана стручна комисија составена од 3 члена, потврдена од националната комисијата за ретки болести, од кои барем еден мора да е од областа или од блиска област во која е групирана ретката болест и член на националната комисијата за ретки болести, во строго дефинирани временски периоди, најмалку еднаш годишно или пократко во зависност од видот на болеста.
- Сите пациенти со ретки болести кои се регистрирани за лекување се внесуваат во „Регистар на ретки болести и на пациенти кои боледуваат од ретки болести“ и истиот се обновува во годишни интервали врз основа на ефектите од лекувањето.

## 4. ФИНАНСИРАЊЕ НА ПРОГРАМАТА

Вкупните средства за реализација на оваа програма изнесуваат 520.000.000,00 денари од кои 300.000.000,00 денари се обезбедуваат од Буџетот на Република Македонија за 2021 година и 220.000.000.00 денари се обезбедуваат од сопствени приходи на Министерство за здравство. Со програмата се предвидува и исплата на неизмирени обврски за 2020 година.

## 5. ИЗВРШИТЕЛИ НА ПРОГРАМАТА

Лековите за терапија на лицата заболени од ретки болести ќе ги набавува Министерството за здравство по пат на јавна набавка, како и дистрибуирањето до јавните здравствени установи, Универзитетски клиники каде се лекуваат пациентите со ретки болести, извршители на активностите, а врз основа на доставена потреба од лекови кои се набавени од страна на Министерството за здравство.

Јавните здравствени установи, Универзитетските клиники при Клинички центар „Мајка Тереза“- Скопје кои се извршители на активностите, водат евиденција за пациентите и дадената терапија согласно донесената процедура за дистрибуција и издавање на лекови/терапија, донесено од страна на Министерството за здравство по предлог на Комисијата за ретки болести како стручно советодавно тело на министерот за здравство.

Издавањето на оралната терапијата на пациентите од страна на Универзитетските клиники при Клинички центар „Мајка Тереза“- Скопје кои се извршители на активностите се врши за период од најмногу два (2) месеци, а во вонредни услови за период од најмногу четири (4) месеци.

## 6. ДОСТАВУВАЊЕ ИЗВЕШТАИ

Јавните здравствените установи, универзитетските клиники кои се извршители на оваа програма, доставуваат редовни шестмесечни извештаи до Министерството за здравство за бројот на пациентите, количина на потрошени лекови и моменталната залиха.

Оваа програма влегува во сила наредниот ден од денот на објавувањето во „Службен весник на Република Северна Македонија”.

Претседател на Владата на
Република Северна Македонија,
Зоран Заев