

ПРОБЛЕМА ПАЦИЕНТОВ С  
РЕДКИМИ ЗАБОЛЕВАНИЯМИ  
В УКРАИНЕ

*Виталий Матюшенко,*

*Президент Фонда “Дети СМА”*



**Дети со спинальной мышечной атрофией**

[www.csma.org.ua](http://www.csma.org.ua)  
Благотворительный Фонд

# Понятие редкости заболевания

- частота менее 1 из 2000  
Одобрено Правилами (ЕС) 141/2000
- В Украине нет и самого определения "редких заболеваний". Не существует лечения для 6000-8000 РЗ, 75% которых затрагивают пациентов детского возраста
- СМА – редкое генетическое заболевание, поражающее каждого из 6000 новорожденных. Каждый 40 носитель гена, вызывающего СМА, которая затрагивает, невзирая на пол, национальность и возраст

I Всеукраинский Конгресс Организаций Пациентов

# Государственная позиция в вопросе редких заболеваний

- *НАЦИОНАЛЬНАЯ ПРОГРАММА  
ПО РЕДКИМ ЗАБОЛЕВАНИЯМ*

принятие Программы даст...



Дети со спинальной мышечной атрофией

www.csma.org.ua  
Благотворительный Фонд

## I Всеукраинский Конгресс Организаций Пациентов

- гарантию того, что редкие болезни соответственно классифицированы
- будет увеличен объем научных исследований в области редких болезней
- будут созданы Центры Экспертизы, установлена их связь и участие в национальной и Европейской Сети
- будет организована диагностика на европейском уровне
- будет дана всесторонняя оценка препаратов для редких заболеваний (орфанных препаратов)
- будут вовлечены пациенты (их представители) на всех стадиях процесса принятия решений
- гарантию устойчивости инфраструктур, развитых для редких заболеваний



# Почему необходимы

## исследования редких болезней?

- неоспоримые моральные, научные, экономические причины
- терапевтические выгоды для более общих болезней
- экономия миллионов бюджетных средств в конечном счете
- Последнее влечет за собой...

# Потребность финансирования

- Длительные проекты
- Инфраструктура
- Биобанки
- *Реестры*



I Всеукраинский Конгресс Организаций Пациентов

# Выводы

Через установление среди приоритетных вопросов в системе государственного медицинского обеспечения, социальной защиты вопроса Редких Заболеваний

- объединить потенциал Государства, научных учреждений, организаций пациентов, международный опыт для углубления разработки путей внедрения современных методов лечения, диагностики и профилактики
- содействовать на государственном уровне процессу разработки и утверждению мероприятий, направленных на создание «Национальной Программы редких заболеваний»



# Благодарю за внимание

Деятельность Фонда "Дети СМА»  
осуществляется при поддержке



Дети со спинальной мышечной атрофией

www.csma.org.ua  
Благотворительный Фонд