

УДК 615.12:658.628

**МЕТОДОЛОГИЯ МОДЕЛИРОВАНИЯ ОБЪЕМА РЫНКА  
ЛЕКАРСТВЕННЫХ ПРЕПАРАТОВ НА ПРИМЕРЕ ГЕМОФИЛИИ А***Н.Б. Молчанова*

Первый МГМУ им. И.М. Сеченова, г. Москва

**METHODOLOGY OF THE DRUGS MARKET VOLUME MODELING  
ON THE EXAMPLE OF HEMOPHILIA A***N.B. Molchanova*

I.M. Sechenov First Moscow State Medical University, Moscow

E-mail: nbmolchanova@gmail.com

Гемофилия А является тяжелым генетическим заболеванием, приводящим без оказания должной терапии к инвалидизации пациентов, в том числе в раннем возрасте. Единственным терапевтическим подходом является пожизненная заместительная терапия препаратами факторов свертывания крови VIII (FVIII). Проведение моделирования объема рынка препаратов свертывания крови позволит оценить уровень обеспеченности пациентов необходимой терапией.

Целью исследования явилось проведение моделирования «идеального» рынка препаратов и сравнить его с реальным.

В ходе моделирования объема рынка были использованы данные о числе пациентов с гемофилией А на основании данных федерального регистра, а также российских и международных показателях заболеваемости, данные реальной практики о среднестатистическом потреблении препаратов факторов свертывания крови и данные о назначении препаратов согласно стандартам и протоколам оказания помощи.

Средние годовые объемы потребления препаратов FVIII согласно стандартам оказания помощи составили 406325244 МЕ для детской популяции и 964578678 МЕ для взрослой популяции, т.е. общий объем «идеального» рынка равняется 1370903922 МЕ на всех пациентов. Полученный объем рынка в 1,8 раза выше, чем реальный объем рынка препаратов FVIII, который, со-

гласно данным маркетингового агентства IMS, в 2013 году составил порядка 765000000 МЕ.

Hemophilia A is a serious genetic disease, which may lead to disability of a patient even in early ages without a required therapy. The only one therapeutic approach is a replacement therapy with drugs of blood-coagulation factor VIII (FVIII). The modeling of coagulation drugs market volume will allow evaluation of the level of patients' provision with a necessary therapy. Modeling of a "perfect" market of drugs and its comparison with the real one was the purpose of the study. During the modeling of market volume we have used the data about the number of hemophilia A patients on the basis of the federal registry, Russian and international morbidity indices, and the data of a real practice about average consumption of drugs of blood-coagulation factors and data about the drugs prescription according to the standards and protocols of assistance rendering.

According to the standards of care delivery, average annual volume of FVIII drugs consumption amounted to 406 325 244 IU for children and 964 578 678 IU for adults, i.e. an average volume of a "perfect" market is equal to 1 370 903 922 IU for all patients. The market volume is 1.8 times bigger than a real volume of FVIII drugs which, according to the data of IMS marketing agency, amounted to 765 000 000 IU in 2013.

Проведенное нами моделирование показало, что, несмотря на сравнительно высокое текущее покрытие пациентов, существует потенциал практически двукратного роста.

**Ключевые слова:** лекарственное обеспечение, гемофилия, потенциал роста рынка, факторы свертывания крови.

Гемофилия А является тяжелым наследственным хроническим заболеванием, проявляющимся только у мужчин и приводящим к снижению качества жизни пациентов и их инвалидизации. [11, 16]. Клиническая картина гемофилии А обусловлена снижением или отсутствием синтеза фактора свертывания крови VIII (FVIII), участвующего в образовании сгустка крови, необходимого для остановки кровотечения, что приводит к продолжительным кровотечениям в суставы, мягкие ткани и внутренние органы, возникающим при травмах или спонтанно [11, 16]. На данный момент единственным терапевтическим подходом к ведению пациентов с гемофилией А является пожизненная заместительная гемостатическая терапия дорогостоящими препаратами FVIII в профилактическом режиме или режиме по требованию. Серьезным побочным эффектом заместительной терапии гемофилии является образование ингибиторов к факторам свертывания крови, приводящих к неэффективности терапии и необходимости проведения индукции иммунной толерантности (ИИТ) высокими дозами факторов и назначения шунтирующих препаратов для остановки или профилактики кровотечений [1, 5, 8, 11, 14, 16].

Обеспечение пациентов препаратами факторов свертывания крови с 2008 года осуществляется за счет средств федерального бюджета в рамках так называемой программы «7 Нозологий» – программы централизованной закупки лекарственных средств (ЛС), предназначенных для лечения больных гемофилией, муковисцидозом, гипофизарным нанизмом, болезнью Гоше, миелодисплазией, рассеянным склерозом, а также после трансплантации орга-

The modeling conducted has shown that despite a relatively high patients' coverage there is a potential for almost double growth.

**Keywords:** pharmaceutical support, hemophilia, market growth potential, blood-coagulation factors.

нов и (или) тканей [12]. Также доступность качественной медицинской помощи для пациентов обеспечивается за счет наличия ряда отечественных протоколов и стандартов ведения больных [5-11].

Основываясь на социальной и экономической значимости гемофилии А, а также на развитой системе лекарственного обеспечения пациентов с данным заболеванием, была поставлена цель проанализировать реальный и моделируемый объемы рынка препаратов факторов свертывания крови, а также выявить потенциал роста данного рынка.

Общий объем рынка потребления лекарственных препаратов, применяемых для терапии определенных состояний пациентов, в том числе гемофилии, основывается на общем числе пациентов и среднем потреблении на душу населения. Число пациентов в свою очередь зависит от уровня показателя заболеваемости населения страны, а также может быть получено из официальных источников, таких, как регистры пациентов, в то время как среднестатистическое потребление может быть определено нормативными документами, такими, как стандарты и протоколы ведения больных, а так же реальной клинической практикой.

Согласно открытым данным, опубликованным Министерством здравоохранения РФ в 2014 году, общее число пациентов, страдающих наследственными коагулопатиями и состоящих на учете в регистре больных, составляет 8 284 пациента, при этом 70% из них или 5 801 пациент приходится на гемофилию А [2].

В связи с тем, что официальные российские и международные показатели заболеваемости и выявляемости гемофилии

различаются, нами также дополнительно было оценено возможное число пациентов расчетным способом на основании опубликованных эпидемиологических данных.

Источником российских данных о распространённости гемофилии стал Протокол ведения больных гемофилией, согласно которому по данным 2005 года распространённость гемофилии А составляет 1 на 10 000 жителей мужского пола [11]. Согласно данным Федеральной службы государственной статистики от 2014 г., число мужчин в РФ составляет 66 300 000 человек, из чего можно сделать вывод, что число пациентов с гемофилией А должно составлять порядка 6 630 человек, что несколько выше, чем данные официальной отчетности 2014 г.

С точки зрения международных данных за ориентир распространённости гемофилии был принят показатель, равный 12,8 на 100 000 человек мужского населения [19]. Основываясь на представленных данных, а также объеме популяции мужчин в РФ, можно сделать вывод, что реальное число пациентов с гемофилией может составлять порядка 8 486, что на 31% выше числа, представленного в регистре. Таким образом, пациенты с легкой формой гемофилии, у которых кровотечения развиваются редко, а постоянная заместительная терапия не требуется, на данный момент не выявлены в полной мере и не внесены в регистр.

Также для учета числа пациентов с ингибиторной формой гемофилии были использованы данные Всероссийского реги-

стра пациентов с ингибиторной формой гемофилии, ведущегося с мая 2005 г. в Гематологическом научном центре РАМН [1]. По данным, опубликованным в 2010 г., общее число пациентов с ингибиторной формой гемофилии в РФ составляло 168 человек [1], что соответствует порядку 3% от общего числа пациентов.

В ходе анализа был смоделирован «идеальный» объем потребления препаратов для РФ, основанный на данных о рекомендуемых объемах назначения препаратов FVIII согласно российским стандартам медицинской помощи.

В первую очередь смоделирована структура популяции пациентов на основании данных федерального регистра. Так, 26% пациентов с тяжелой формой гемофилии представлено пациентами младше 18 лет, т.е. эта популяция составляет порядка 1 508 пациентов, в то время как на взрослых приходится 74%, что составляет 4 293 пациента [1].

Оценено 3 модели пациентов согласно стандартам медицинской помощи, которые отражали терапию по требованию, профилактику и ИИТ [5, 6, 7, 8, 9, 10]. Данные модели были разделены на взрослых пациентов и пациентов детского и подросткового возраста (старше и младше 18 лет соответственно) согласно стандартам, при этом было сделано допущение, что у обеих групп пациентов ИИТ проводится в 3% случаев, а профилактическая терапия проводится только у 30% взрослых.

Организационная схема проведенного анализа представлена на рисунке 1.



**Рисунок 1 – Организационная схема моделирования потенциала роста рынка препаратов FVIII согласно курсовым дозам российских стандартов медицинской помощи**

На основании смоделированных объемов популяции пациентов детского и взрослого возраста, а также выделенных данных о ежегодных курсовых дозах потребления препаратов, были рассчитаны средние годовые объемы потребления препаратов FVIII, равные 406 325 244 МЕ для детской популяции и 964 578 678 МЕ для взрослой популяции. Таким образом, общий объем «идеального» рынка равняется 1 370 903 922 МЕ на всех пациентов. При этом, если бы в РФ действительно потреблялось рассчитанное количество FVIII, потребление на душу населения со-

ставляло бы 9,54 МЕ в год на человека, что выше в 1,1 раза, чем текущий показатель Швеции, являющейся наиболее полно обеспечивающей пациентов с гемофилией страной согласно исследованию О'Махони с соавторами. Также полученный объем рынка в 1,8 раза выше, чем реальный объем рынка препаратов FVIII, который, согласно данным маркетингового агентства IMS в 2013 году составил порядка 765 000 000 МЕ. Таким образом, можно сделать вывод, что в РФ существует потенциал роста рынка препаратов FVIII практически в 2 раза.

### Библиографический список

1. Зозуля Н. И. Диагностика и лечение ингибиторной формы гемофилии: дис. ... д-ра мед. н. – М., 2010. – 228 с.
2. Открытое письмо Департамента лекарственного обеспечения и регулирования обращения медицинских изделий Минздрава России от 03 апреля 2014 г. №2034503/25-2. «О количестве пациентов с гемофилией, включенных в регистр».
3. Постановление Правительства РФ от 26.04.2012 N 404 (ред. от 04.09.2012). «Об утверждении Правил ведения Федерального регистра лиц, больных гемофилией, муковисцидозом, гипофизарным нанизмом, болезнью Гоше, злокачественными новообразованиями лимфоидной, кроветворной и родственных им тканей, рассеянным склерозом, лиц после трансплантации органов и (или) тканей».
4. Приказ Минздрава России от 15.02.2013 N 69н. «О мерах по реализации постановления Правительства Российской Федерации от 26 апреля 2012 г. N 404. «Об утверждении Правил ведения Федерального регистра лиц, больных гемофилией, муковисцидозом, гипофизарным нанизмом, болезнью Гоше, злокачественными новообразованиями лимфоидной, кроветворной и родственных им тканей, рассеянным склерозом, лиц после трансплантации органов и (или) тканей».
5. Приказ Минздрава России от 20.12.2012 N 1235н. "Об утверждении стандарта первичной медико-санитарной помощи детям при гемофилии А, гемофилии В, профилактике кровотечений и кровоизлияний при наличии ингибиторов к факторам свертывания крови VIII или IX".
6. Приказ Минздрава России от 20.12.2012 N 1237н. "Об утверждении стандарта первичной медико-санитарной помощи детям при гемофилии А, гемофилии В, болезни Виллебранда, редких геморрагических коагулопатиях и тромбоцитопатиях, протромботических состояниях, плановая первичная диагностика".
7. Приказ Минздрава России от 20.12.2012 N 1238н "Об утверждении стандарта первичной медико-санитарной помощи детям при гемофилии А, гемофилии В (профилактике кровотечений или кровоизлияний при неосложненном течении и после успешной индукции иммунной толерантности)".
8. Приказ Минздрава России от 24.12.2012 N 1495н. "Об утверждении стандарта первичной медико-санитарной помощи детям при гемофилии А, элиминации ингибитора (антител) к фактору свертывания крови VIII - индукция иммунной толерантности".
9. Приказ Минздравсоцразвития России от 06.07.2006 N 517. "Об утверждении стандарта медицинской помощи больным с наследственным дефицитом фактора VIII, наследственным дефицитом фактора IX".

10. Приказ Минздравсоцразвития России от 14.11.2007 N 705. "Об утверждении стандарта медицинской помощи больным с наследственным дефицитом фактора свертывания крови VIII, дефицитом фактора свертывания крови IX, болезнью Виллебранда".
11. Протокол ведения больных. Гемофилия (утв. Минздравсоцразвития России 30.12.2005) // Проблемы стандартизации в здравоохранении . — 2006 . — N 3 . — С. 18-74 .
12. Федеральный закон от 17 июля 2007 г. N 132-ФЗ. «О внесении изменений в федеральный закон «О федеральном бюджете на 2007 год»».
13. Московский городской стандарт лечения взрослых (старше 18 лет), больных гемофилией А и В (утв. Департаментом здравоохранения и ГНЦ РАМН 20.09.2004).
14. Brackmann H. H., Wallny T. Immune tolerance: high-dose regimen. In: Rodriguez-Merchan E. C., ed. Inhibitors in patients with haemophilia. Oxford, England: Blackwell Science, Ltd, 2002: P. 45–48.
15. The incidence of factor VIII and factor IX inhibitors in the hemophilia population of the UK and their effect on subsequent mortality, 1977–99 / Darby S.C., Keeling D.M., Spooner R.J. et al. // J. Thromb Haemost. – 2004. – 2. – P. 1047–1054.
16. Djulbegovic B, Goldsmith GH Jr. Guidelines for management of hemophilia A and B // Blood. 1995. Jan. 15. Vol. 85(2). P. 598-599.
17. Kessler C. M. New perspectives in haemophilia treatment // Hematol Am. Soc. Hematol. Educ. Programm, 2005. – P. 429–435.
18. Haemophilia care in Europe – a survey of 35 countries / O’Mahony B, Noone D., Giangrande P.L. et al. // Haemophilia. – 2013. – P. 1–9.
19. A study of variations in the reported haemophilia A prevalence around the world. / Stonebraker J.S., Bolton-Maggs P.H., Michael Soucie J. et al. // Haemophilia : the official journal of the World Federation of Hemophilia. – 2012. – Vol. 18 (3). – P. 91–94.

\* \* \*

*Молчанова Наталья Борисовна – соискатель кафедры организации лекарственного обеспечения и фармакоэкономики Первого МГМУ им. И.М. Сеченова. Область научных интересов: организация лекарственного обеспечения, организация здравоохранения, программы льготного лекарственного обеспечения. E-mail: nbmolchanova@gmail.com.*