

Приложение № 3 к решению
Попечительского совета
ОФ «Қазақстан халқына»

от «13» 10 2025г. № 90



УТВЕРЖДЕНЫ
решением Попечительского совета
ОФ «Қазақстан халқына»

от «13» 10 2025г. № 90

**Критерии рассмотрения благотворительных проектов по финансированию
лекарственного обеспечения препаратами генной терапии граждан
Республики Казахстан с орфанными (редкими) заболеваниями**

Настоящие критерии определяют условия для рассмотрения проектного подхода в сфере лекарственного обеспечения пациентов с орфанными (редкими) заболеваниями препаратами генной терапии общественным фондом «Қазақстан халқына». Критерии направлены на обеспечение результативности, прозрачности и устойчивости благотворительных инициатив Фонда, а также на предотвращение системных рисков при их реализации.

1. Организационные требования к проекту:

1.1. Инициирование проектов осуществляется со стороны Министерства здравоохранения Республики Казахстан.

1.2. Благополучатели – несовершеннолетние, имеющие соответствующий диагноз, медицинские заключения для применения препаратов генной терапии.

1.3. Предмет проекта – лекарственный препарат генной терапии для пациентов с орфанными (редкими) заболеваниями.

1.4. Четкое разграничение ответственности между государственными органами, медицинскими организациями, поставщиками, экспертным сообществом и пациентскими объединениями.

В данном случае Министерство выступит в лице системного интегратора, ответственным за результат применения передовой терапии, поскольку порядок допуска к применению, мониторинга эффективности и безопасности применения лекарственных средств передовой терапии определяется уполномоченным органом.

Вместе с тем Министерство осуществляет утверждение соответствующих нормативных документов, необходимых для реализации проекта, в том числе назначение лаборатории, ответственной за проверку генетических анализов, определяет медицинскую организацию, ответственную за лечение, закрепляет специалистов с подтверждением квалификации и опыта применения конкретного лекарства.

Медицинская организация, определенная Министерством будет отвечать за создание мультидисциплинарных групп, обучение персонала, наличие учебных материалов для всех специалистов, задействованных в механизме применения препаратов, наличие соответствующей аптеки, алгоритмов утилизации, вести

мониторинг состояния пациента, а также несет ответственность за соблюдение всех надлежащих требований и стандартов.

Медицинская организация должна обладать необходимым оборудованием, осуществлять сопровождение и обучение родителей, сопровождение региональных специалистов, периодические обследования и консультации, предоставлять возможность проведения посттерапевтического наблюдения и реабилитации, график и контроль прохождения реабилитации.

Реабилитация должна проходить при наличии соответствующего оборудования с записью видеосъемки занятий, предоставлять отчеты.

Родители несут обязательства по выполнению рекомендаций, осуществляют видеосъемку в режиме реального времени занятий с ребенком, своевременно посещают специалистов, сдают анализы.

1.5. Определение механизма взаимодействия с участниками реализации проекта.

2. Нормативно-правовые условия:

2.1. Проект должен соответствовать требованиям статьи 243 Кодекса Республики Казахстан «О здоровье народа и системе здравоохранения» в части применения лекарственных средств передовой терапии и соответствующим нормативным актам по применению лекарственных средств, приказы Министерства здравоохранения РК.

2.2. Соответствие данным требованиям является обязательным условием для дальнейшего рассмотрения проектов в соответствии с Правилами оказания благотворительной помощи общественным фондом «Қазақстан халқына».

3. Базовые критерии проекта:

3.1. Включение в проекты только препаратов с доказанной клинической эффективностью, подтвержденной международными исследованиями, мультидисциплинарный подход.

3.2. Установление понятных, измеримых и справедливых критериев отбора граждан для получения помощи.

3.3. Квотирование числа пациентов на уровне заявки для обеспечения плановости и минимизации рисков неэффективного использования средств.

3.4. Обязательное участие независимых экспертов в мониторинге реализации проектов.

3.5. Прозрачная система управления, включающая механизмы подотчетности и регулярной отчетности по каждому проекту и по результатам применения препарата.

3.6. Сроки реализации проекта должны быть конкретными с приложением календарного графика.

4. Принципы реализации проекта:

4.1. Результативность - достижение измеримых эффектов для здоровья и качества жизни пациентов.

4.2. Прозрачность - открытые процедуры отбора, независимая экспертиза и публичная отчетность.

4.3. Безопасность - генная терапия должна быть безопасна для жизни и здоровья человека и окружающей среды.

5. Условия финансирования:

5.1. Полная оплата препарата производится только при улучшении состояния пациента при клинической эффективности. При отсутствии улучшения терапии, производитель возвращает часть суммы или оплата производится по модели «платеж по результату» — только в случае клинической эффективности.

5.2. После применения препарата Министерством-инициатором проекта будет сформирован отчет о результатах применения препарата согласно внутренней политике Фонда.

6. Ожидаемые результаты:

6.1. Качественные - своевременное выявление пациентов, снижение уровня смертности и тяжёлых осложнений, улучшение моторного и физического развития пациентов,

6.2. Системные - повышение эффективности системы здравоохранения за счёт внедрения инновационной терапии, формирование устойчивой системы долгосрочного мониторинга, восстановительного лечения и межведомственного взаимодействия.

6.3. Дальнейшее видение проекта - модель по созданию программы по генной терапии редких заболеваний, включая локализацию компетенций и развитие отечественной базы (*биотехнологические центры, генетическая диагностика, регистры*).