

© КОЛЛЕКТИВ АВТОРОВ, 2023

Комаров И.А.<sup>1</sup>, Красильникова Е.Ю.<sup>1</sup>, Александрова О.Ю.<sup>1</sup>, Зинченко Р.А.<sup>1,2</sup>, Куцев С.И.<sup>2</sup>

## Финансирование лекарственного обеспечения пациентов с редкими заболеваниями: изменения на региональном уровне

<sup>1</sup>ФГБНУ «Национальный научно-исследовательский институт общественного здоровья имени Н.А. Семашко» Министерства науки и высшего образования Российской Федерации, 105064, Москва, Россия;<sup>2</sup>ФГБНУ «Медико-генетический научный центр им. академика Н.П. Бочкова», 115522, Москва, Россия

**Введение.** Финансирование лекарственного обеспечения (ЛО) пациентов с редкими заболеваниями остаётся одной из главных тем в здравоохранении с момента возникновения в законодательстве Российской Федерации самого понятия «редкое (орфанное) заболевание» в 2011 г.

**Цель исследования** — определить, как изменилось финансирование ЛО пациентов с редкими болезнями из «Перечня жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности», на региональном уровне в связи с передачей ряда заболеваний из данного списка на федеральное финансирование.

**Материал и методы.** В настоящей статье представлены данные о финансировании ЛО пациентов с редкими заболеваниями из данного Перечня из средств бюджетов субъектов РФ до принятия решения (2018 г.) о перераспределении полномочий между РФ и органами государственной власти субъектов РФ и последовательной передаче на федеральный уровень ЛО пациентов с гемолитико-уремическим синдромом, мукополисахаридозом I, II, VI типов, юношеским артритом с системным началом, апластической анемией неуточнённой, наследственным дефицитом факторов II (фибриногена), VII (лабильного), X (Стюарта–Прауэра) и после данного решения (2020 г.).

**Результаты.** В 2020 г. только в 2 субъектах РФ расходы на ЛО пациентов с редкими болезнями из «Перечня жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности», на региональном уровне превысили 500 млн руб. в сравнении с 6 регионами в 2018 г. Кроме того, порог в 200 млн руб. был превышен во всех регионах, вошедших в список 20 субъектов РФ с наибольшими расходами на ЛО пациентов с данными редкими болезнями на региональном уровне в 2018 г., в то время как в 2020 г. только 15 регионов потратили в данном направлении больше отмеченного порога.

**Ограничения исследования.** Количество субъектов РФ с наибольшими расходами на ЛО пациентов с редкими заболеваниями из средств регионального бюджета было ограничено 20 регионами в 2018 и 2020 гг.

**Заключение.** Последовательная федерализация ЛО пациентов с отдельными редкими заболеваниями в 2019–2020 гг. привела к снижению финансирования ЛО редких болезней со стороны субъектов РФ.

**Ключевые слова:** редкие болезни; орфанные лекарственные препараты; лекарственное обеспечение; здравоохранение; финансирование; федерализация; бюджет; регионы РФ

**Соблюдение этических стандартов.** Исследование не требует представления заключения комитета по биомедицинской этике или иных документов.

**Для цитирования:** Комаров И.А., Красильникова Е.Ю., Александрова О.Ю., Зинченко Р.А., Куцев С.И. Финансирование лекарственного обеспечения пациентов с редкими заболеваниями: изменения на региональном уровне. *Здравоохранение Российской Федерации*. 2023; 67(2): 106–110. <https://doi.org/10.47470/0044-197X-2023-67-2-106-110> <https://elibrary.ru/xqlujm>

**Для корреспонденции:** Комаров Илья Александрович, канд. фарм. наук, ст. науч. сотр., ФГБНУ «Национальный научно-исследовательский институт общественного здоровья имени Н.А. Семашко» Министерства науки и высшего образования Российской Федерации, 105064, Москва. E-mail: [iliya\\_komarov@mail.ru](mailto:iliya_komarov@mail.ru)

**Участие авторов:** Комаров И.А. — концепция и дизайн исследования, сбор, обработка материала, написание текста, редактирование; Красильникова Е.Ю. — концепция и дизайн исследования, сбор, обработка материала, написание текста, редактирование; Александрова О.Ю. — концепция и дизайн исследования, сбор, обработка материала; Зинченко Р.А. — концепция и дизайн исследования, сбор, обработка материала; Куцев С.И. — концепция и дизайн исследования, сбор, обработка материала. Все авторы — утверждение окончательного варианта статьи, ответственность за целостность всех частей статьи.

**Финансирование.** Исследование выполнено в рамках государственного задания Минобрнауки России.

**Конфликт интересов.** Авторы декларируют отсутствие явных и потенциальных конфликтов интересов в связи с публикацией данной статьи.

Поступила 11.02.2022

Принята в печать 23.03.2022

Опубликована 28.04.2023

© AUTHORS, 2023

Ilya A. Komarov<sup>1</sup>, Elena Yu. Krasilnikova<sup>1</sup>, Oksana Yu. Aleksandrova<sup>1</sup>, Rena A. Zinchenko<sup>1,2</sup>, Sergey I. Kutsev<sup>2</sup>

## Drug maintenance financing of patients with rare diseases: changes on the regional level

<sup>1</sup>N.A. Semashko National Research Institute of Public Health, Moscow, 105064, Russian Federation;

<sup>2</sup>Research Centre for Medical Genetics, Moscow, 115522, Russian Federation

**Introduction.** Financing of drug maintenance for patients with rare diseases has been remained one of the main topics in Russian Federation (RF) healthcare.

**The aim** of this article is to present data regarding financing of drug maintenance for patients with life-threatening and chronic progressive rare diseases leading to a reduced life expectancy and disability.

**Materials and methods.** There are considered changes in regional financing structure before (2018) and after (2020) the decision on the redistribution of drug maintenance financing from regional to the federal level for patients with hemolytic uremic syndrome, mucopolysaccharidosis type I, II, VI, juvenile arthritis with systemic onset, unspecified aplastic anemia, hereditary deficiency of factors II (fibrinogen), VII (labile), X (Stuart–Prower).

**Results.** Over 2020, only in 2 regions of the Russian Federation, the cost of drug provision for patients with rare diseases from the “List of life-threatening and chronic progressive rare (orphan) diseases leading to a reduction in life expectancy of citizens or their disability” at the regional level exceeded 500 million rubles in comparison with 6 regions in 2018. In addition, the threshold of 200 million rubles was exceeded in all regions included in the list of 20 regions of the Russian Federation with the highest expenses for drug provision of patients with mentioned rare diseases at the regional level in 2018, while in 2020, only 15 regions spent more than the indicated threshold.

**Limitations.** The number of Russian regions with large expenditures from regional funds on drug provision for patients with rare diseases were 20 regions in 2018 and 2020.

**Conclusion.** Consistent federalization of drug provision for patients with certain rare diseases in 2019–2020 led to a decrease in funding for the provision of drugs for rare diseases from regional budgets.

**Keywords:** rare diseases; orphan drugs; drug maintenance; healthcare; financing; federalization; budget; regions of the Russian Federation

**Compliance with ethical standards.** The study does not require submission of the opinion of the biomedical ethics committee or other documents.

**For citation:** Komarov I.A., Krasilnikova E.Yu., Aleksandrova O.Yu., Zinchenko R.A., Kutsev S.I. Drug maintenance financing of patients with rare diseases: changes on the regional level. *Zdravookhranenie Rossiiskoi Federatsii (Health Care of the Russian Federation, Russian journal)*. 2023; 67(2): 106–110. <https://doi.org/10.47470/0044-197X-2023-67-2-106-110> <https://elibrary.ru/xqlujm> (in Russian)

**For correspondence:** Ilya A. Komarov, MSc, PhD, senior researcher, N.A. Semashko National Research Institute of Public Health, Moscow, 105064, Russian Federation. E-mail: [iliya\\_komarov@mail.ru](mailto:iliya_komarov@mail.ru)

### Information about the authors:

Komarov I.A., <https://orcid.org/0000-0002-1518-184X>

Krasilnikova E.Yu., <https://orcid.org/0000-0002-9813-7085>

Aleksandrova O.Yu., <https://orcid.org/0000-0002-0761-1838>

Zinchenko R.A., <https://orcid.org/0000-0003-3586-3458>

Kutsev S.I., <https://orcid.org/0000-0002-3133-8018>

**Contribution of the authors:** Komarov I.A. — research concept and design, collection, processing of material, writing text, editing; Krasilnikova E.Yu. — research concept and design, collection, processing of material, writing text, editing; Aleksandrova O.Yu. — research concept and design, collection, processing of material; Zinchenko R.A. — research concept and design, collection, processing of material; Kutsev S.I. — research concept and design, collection, processing of material. All authors are responsible for the integrity of all parts of the manuscript and approval of the manuscript final version.

**Acknowledgment.** The study was carried out within the framework of the state assignment of the Ministry of Education and Science of Russia.

**Conflict of interest.** The authors declare no conflict of interest.

Received: February 11, 2022

Accepted: March 23, 2022

Published: April 28, 2023

## Введение

Финансирование лекарственного обеспечения (ЛО) пациентов с редкими заболеваниями остаётся одной из главных тем в здравоохранении с момента возникновения в законодательстве Российской Федерации (РФ) самого понятия «редкое (орфанное) заболевание» в 2011 г. [1, 2]. Данный аспект является актуальным не только для России, но и для других стран ввиду высокой стоимости орфанных лекарственных препаратов, которые применяются для лечения редких заболеваний [3–7].

В настоящей статье представлены данные о финансировании ЛО пациентов с редкими заболеваниями из «Перечня жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности», из средств бюджетов субъектов РФ до принятия решения (2018 г.) о перераспределении полномочий между РФ и органами государственной власти субъектов РФ и последовательной передаче на федеральный уровень ЛО пациентов с гемолитико-уремическим синдромом, мукополисахаридозом I, II, VI типа, юношеским артритом с системным началом, апластической анемией неуточнённой, наследственным дефицитом факторов II (фибриногена), VII (лабильного), X (Стюарта–Прауэра) и после данного решения (2020 г.). Данное перераспределение полномочий позволяет субъектам РФ направить бюджетные средства, которые ранее расходовались на лечение перечисленных редких заболеваний, на ЛО других редких болезней, которое осталось в рамках полномочий субъектов РФ. С другой стороны, законодательно такая обязанность не закреплена [8, 9]. В настоящей статье представлены результаты того, как на практике изменились подходы к финансированию ЛО пациентов с редкими болезнями на региональном уровне, на примере 20 различных субъектов РФ с наибольшим объёмом финансирования на ЛО редких заболеваний за указанные 2 отчётных периода: в 2018 и 2020 гг.

**Цель** исследования — определить, как изменилась структура субъектов РФ с наибольшими расходами на ЛО пациентов с редкими болезнями из «Перечня жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности», на региональном уровне в связи с передачей ряда заболеваний из данного списка на федеральное финансирование.

## Материал и методы

В январе 2020 г. для изучения и анализа реальной ситуации и динамики основных показателей доступности медицинской помощи и ЛО пациентов с редкими заболеваниями в регионах РФ по инициативе Экспертного совета Комитета Государственной Думы по охране здоровья по редким (орфанным) заболеваниям председателем Комитета Государственной Думы по охране здоровья Д.А. Морозовым был организован запрос (от 13.01.2020 № 3.4-13/10) в адрес глав субъектов РФ с просьбой направить в Государственную Думу РФ информацию по проблеме в формате предлагаемых стандартизированных таблиц. В качестве материалов исследования использованы данные, предоставленные регионами РФ в ответ на специально разработанные стандартизированные таблицы, отправленные в субъекты РФ Экспертным советом Комитета Государственной думы. В сравнительном аспекте рассмотрены показатели из всех субъектов

РФ, предоставивших запрашиваемую информацию, для представления результатов выбраны 20 регионов с максимальными значениями расходов бюджета в 2018 и 2020 гг. При проведении исследования были применены методы сравнительного анализа, группировки, систематизации данных с целью анализа собранной информации и представления соответствующих результатов и выводов.

## Результаты

Как было отмечено ранее, в последние годы ряд заболеваний из Перечня жизнеугрожающих и хронических прогрессирующих редких (орфанных) заболеваний, приводящих к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности, был включён в перечень «высокозатратных нозологий» [10]. Так, с 2019 г. Постановлением Правительства РФ от 20.11.2018 № 1390 «О внесении изменений в некоторые акты Правительства Российской Федерации по вопросам совершенствования лекарственного обеспечения»<sup>1</sup> из первого перечня 5 заболеваний (гемолитико-уремический синдром, юношеский артрит с системным началом и мукополисахаридозы I, II и VI типов) были добавлены в перечень «высокозатратных нозологий». В свою очередь, с 01.01.2020 в перечень «высокозатратных нозологий» были включены также апластическая анемия неуточнённая и наследственные дефициты факторов II (фибриногена), VII (лабильного), X (Стюарта–Прауэра)<sup>2</sup>.

Очевидно, что с запуском процесса федерализации ЛО для пациентов с данными редкими заболеваниями с 2019 г. и 2020 г. соответственно рост финансирования на эти цели происходит за счёт средств федерального бюджета, а доля расходов региональных бюджетов по отношению к совокупным расходам федерального и регионального бюджетов значительно уменьшается. Чтобы зафиксировать возможные изменения структуры финансирования по результатам двух «федерализаций», проанализировали расходы регионального бюджета на ЛО пациентов с редкими заболеваниями в ближайшие годы до начала федерализации (2018 г.) и после её полного внедрения (2020 г.).

Прежде всего в настоящей работе определили регионы с наибольшими расходами на ЛО пациентов с редкими заболеваниями из средств регионального бюджета в 2018 г. в денежном эквиваленте (**табл. 1**).

Из 20 регионов-лидеров по региональному финансированию ЛО пациентов с редкими заболеваниями (в денежном эквиваленте) в 18 субъектах РФ доля расходов регионального бюджета на эти цели в 2018 г. превышала долю средств, поступивших из федерального бюджета. Исключениями из данного наблюдения стали Республика Дагестан и Ростовская область, где данный показатель был ниже 50%. Также отметили, что максимальная доля расходов регионального бюджета от совокупных расходов на редкие заболевания в регионе наблюдается в Сахалинской области и Республике Саха (Якутия): 88 и 84% соответственно.

При этом, свыше одного миллиарда рублей было потрачено в двух регионах: Москве и Санкт-Петербурге.

<sup>1</sup> Постановление Правительства РФ от 20.11.2018 № 1390 «О внесении изменений в некоторые акты Правительства Российской Федерации по вопросам совершенствования лекарственного обеспечения».

<sup>2</sup> Федеральный закон от 27.12.2019 № 452-ФЗ «О внесении изменений в Федеральный закон “Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации”».

**Таблица 1.** Субъекты РФ с наибольшими расходами на лекарственное обеспечение (ЛЮ) пациентов с редкими заболеваниями из средств регионального бюджета в 2018 г. в денежном эквиваленте (по данным субъектов РФ)

**Table 1.** Russian regions in terms of higher expenditures for drug provision for patients with rare diseases from the regional budget in 2018 in monetary terms (data source — Russian regions)

	Субъект РФ Russian region	Региональный бюджет на ЛЮ пациентов с редкими заболеваниями, руб. Regional budget on drug maintenance for patients with rare diseases, RUB	Доля расходов регионального бюджета от совокупных расходов на редкие заболевания в регионе, % Regional budget spending share on rare diseases from total regional budget, %
1	Москва   Moscow	2 776 036 890	62
2	Санкт-Петербург   Saint-Petersburg	1 087 365 081	66
3	Краснодарский край   Krasnodar region	951 497 500	67
4	Новосибирская область   Novosibirsk area	719 857 070	60
5	Свердловская область   Ekaterinburg area	711 949 146	58
6	Пермский край   Perm region	552 514 926	70
7	Республика Башкортостан   Bashkortostan Republic	458 537 454	55
8	Республика Саха (Якутия)   Sakha (Yakutia) Republic	429 900 000	84
9	Иркутская область   Irkutsk region	390 728 010	71
10	Ростовская область   Rostov region	368 921 135	44
11	Нижегородская область   Nizhniy Novgorod region	363 822 171	60
12	Сахалинская область   Sakhalin region	345 287 500	88
13	Ставропольский край   Stavropol region	338 859 201	54
14	Хабаровский край   Khabarovsk region	330 303 478	55
15	Ленинградская область   Saint-Petersburg region	307 536 070	57
16	Республика Дагестан   Dagestan Republic	306 486 445	42
17	Чеченская Республика   Chechen Republic	301 352 800	57
18	Оренбургская область   Orenburg area	253 652 530	59
19	Республика Бурятия   Buryatia Republic	248 860 760	73
20	Ханты-Мансийский автономный округ — Югра Khanty-Mansiysk autonomic district — Ugra	243 484 560	62

**Таблица 2.** Субъекты РФ с наибольшими расходами на лекарственное обеспечение (ЛЮ) пациентов с редкими заболеваниями из средств регионального бюджета в 2020 г. (по данным субъектов РФ)

**Table 2.** TOP-20 Russian regions in terms of lower expenditures for drug provision of patients with rare diseases from the regional budget in 2018 in monetary terms (data source — Russian regions)

	Субъект РФ Russian region	Региональный бюджет на ЛЮ пациентов с редкими заболеваниями, руб. Regional budget on drug maintenance for patients with rare diseases, RUB	Доля расходов регионального бюджета от совокупных расходов на редкие заболевания в регионе, % Regional budget spending share on rare diseases from total regional budget, %
1	Санкт-Петербург Saint-Petersburg	1 141 885 979	43
2	Свердловская область   Sverdlovsk region	523 303 701	32
3	Республика Саха (Якутия)   Sakha (Yakutia) Republic	377 520 000	69
4	Новосибирская область   Novosibirsk region	343 851 717	24
5	Ставропольский край   Stavropol region	343 378 980	41
6	Краснодарский край   Krasnodar region	337 403 543	28
7	Иркутская область   Irkutsk region	327 687 600	48
8	Сахалинская область   Sakhalin region	321 454 700	71
9	Пермский край   Perm region	316 898 298	36
10	Ленинградская область   Leningrad region	295 922 330	43
11	Республика Дагестан   Dagestan Republic	291 816 681	26
12	Ханты-Мансийский автономный округ — Югра Khanty-Mansiysk autonomic district — Ugra	263 057 391	39
13	Чеченская Республика   Chechnya Republic	254 000 000	53
14	Омская область   Omsk region	213 035 820	41
15	Ростовская область   Rostov region	211 305 274	27
16	Республика Татарстан   Tatarstan Republic	193 270 580	22
17	Оренбургская область   Orenburg region	184 407 670	33
18	Хабаровский край   Khabarovsk region	158 023 248	27
19	Вологодская область   Vologda region	155 000 000	45
20	Тюменская область   Tumen region	147 347 000	36

В то же время соответствующие расходы в Краснодарском крае, Новосибирской области, Свердловской области и Пермском крае превысили отметку 500 млн руб. В свою очередь, порог 200 млн руб. был превышен во всех субъектах РФ с наибольшими расходами на ЛО пациентов с изучаемыми редкими заболеваниями из средств регионального бюджета в 2018 г. в денежном эквиваленте.

Далее изучили, как поменялась структура перечня регионов с наибольшими расходами на ЛО пациентов с редкими заболеваниями из средств регионального бюджета в 2020 г. в денежном эквиваленте (табл. 2).

В списке 20 регионов-лидеров по финансированию ЛО пациентов с редкими заболеваниями из средств регионального бюджета в 2020 г. не вошли Москва и Республика Башкортостан, т.к. данные субъекты РФ не предоставили информацию по планируемому на 2020 г. региональному бюджету на эти цели. По сравнению с 2018 г. Нижегородская область переместилась с 11-го на 36-е место (с долей регионального бюджета — 12,33%), а Республика Бурятия — с 19-го на 38-е место (с долей регионального бюджета — 35,25%). Из-за совокупного снижения расходов субъектов РФ на ЛО пациентов с редкими заболеваниями в 2020 г. в список регионов с наибольшими расходами на ЛО пациентов с изучаемыми редкими заболеваниями из средств регионального бюджета в денежном эквиваленте вошли Вологодская, Омская, Тюменская области и Республика Татарстан, несмотря на то что указанные субъекты РФ по сравнению с 2018 г. даже уменьшили региональное финансирование на эти цели.

При этом в сравнении с показателями 2018 г. важно отметить также, что в 2020 г. только 2 субъекта РФ превысили значение 500 млн руб. в сравнении с 6 регионами за прошлый отчетный период. Кроме того, как было отмечено выше, порог в 200 млн руб. был превышен во всех субъектах РФ, вошедших в список регионов с наибольшими расходами на ЛО пациентов с изучаемыми редкими заболеваниями из средств регионального бюджета в денежном эквиваленте в 2018 г., в то время как в 2020 г. только 15 регионов потратили в данном направлении больше отмеченного значения.

### Обсуждение

Установили, что последовательная федерализация ЛО пациентов с отдельными редкими заболеваниями в 2019–2020 гг. привела к снижению финансирования ЛО редких болезней со стороны субъектов РФ. Несмотря на то, что перераспределение полномочий между РФ и органами государственной власти субъектов РФ и последовательная передача на федеральный уровень ЛО пациентов с отдельными редкими заболеваниями позволяли субъектам РФ направить бюджетные средства, которые ранее расходовались на лечение данных редких заболеваний, на ЛО других редких болезней, которое осталось в рамках полномочий субъектов РФ, этого не произошло из-за того, что законодательно такая обязанность не закреплена.

**Ограничение исследования.** Количество представленных субъектов РФ с наибольшими расходами на ЛО пациентов с редкими заболеваниями из средств регионального бюджета было ограничено 20 регионами в 2018 г. и 2020 г.

### Заключение

Таким образом, для улучшения финансирования лекарственного обеспечения при редких заболеваниях за счёт средств субъектов РФ необходимо изменять текущие подходы к организации данного процесса на уровне реги-

онов. Другим способом решения проблемы является анализ заболеваний, оставшихся в ведении субъектов РФ, с целью выявления тех, передача финансирования которых на федеральный уровень будет целесообразной.

### ЛИТЕРАТУРА

(п.п. 3–7, см. References)

1. Соколов А.А., Александрова О.Ю. Нормативно-правовое регулирование медицинской помощи пациентам с редкими заболеваниями. Стандарты медицинской помощи и клинические рекомендации. *Проблемы стандартизации в здравоохранении*. 2019; (7–8): 3–16. <https://doi.org/10.26347/1607-2502201907-08003-016> EDN: <https://elibrary.ru/gakska>
2. Комаров И.А., Красильникова Е.Ю., Селезнев Г.И. Финансирование в субъектах РФ лекарственного обеспечения пациентов с жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями, приводящими к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности. Актуальность стандартизации финансирования с участием бюджетов федерального и регионального уровней. *Проблемы стандартизации в здравоохранении*. 2019; (7–8): 86–98. <https://doi.org/10.26347/1607-2502201907-08086-098> EDN: <https://elibrary.ru/zsjjrq>
8. Соколов А.А. Проблема редких болезней — результат и стимул прогресса в области биологии и медицины. *Менеджер здравоохранения*. 2012; (1): 8–14. <https://www.elibrary.ru/owyhvv>
9. Воробьев П.А. Редкие заболевания у взрослых. *Проблемы стандартизации в здравоохранении*. 2016; (3–4): 3–9. <https://www.elibrary.ru/vvwkjl>
10. Соколов А.А., Александрова О.Ю., Кадыров Ф.Н. Высокотехнологичная медицинская помощь больным редкими заболеваниями — проблемы организации и финансирования. *Менеджер здравоохранения*. 2016; (6): 60–9. <https://elibrary.ru/wmotmp>

### REFERENCES

1. Sokolov A.A., Aleksandrova O.Yu. Legal regulation of medical care to patients with rare diseases. Standards of medical care and clinical guidelines. *Problemy standartizatsii v zdravookhraneni*. 2019; (7–8): 3–16. <https://doi.org/10.26347/1607-2502201907-08003-016> EDN: <https://elibrary.ru/gakska> (in Russian)
2. Komarov I.A., Krasil'nikova E.Yu., Seleznev G.I. The financing of drug coverage for patients with life-threatening and chronic progressive rare (orphan) diseases resulting in reduced life expectancy or disability of citizens in the regions of the Russian Federation. The importance of standardization of the financing with the involvement of federal and regional budgets. *Problemy standartizatsii v zdravookhraneni*. 2019; (7–8): 86–98. <https://doi.org/10.26347/1607-2502201907-08086-098> EDN: <https://elibrary.ru/zsjjrq> (in Russian)
3. Stolk P., Willems M.J., Leufkens H.G. Rare essentials: drugs for rare diseases as essential medicines. *Bull. World Health Organ*. 2006; 84(9): 745–51. <https://doi.org/10.2471/blt.06.031518>
4. Taruscio D., Vittozzi L., Stefanov R. National plans and strategies on rare diseases in Europe. *Adv. Exp. Med. Biol*. 2010; 686: 475–91. [https://doi.org/10.1007/978-90-481-9485-8\\_26](https://doi.org/10.1007/978-90-481-9485-8_26)
5. Miller K.L., Lanthier M. Investigating the landscape of US orphan product approvals. *Orphanet. J. Rare Dis*. 2018; 13(1): 183. <https://doi.org/10.1186/s13023-018-0930-3>
6. Balwani M., Wang B., Anderson K.E., Bloomer J.R., Bissell D.M., Bonkovsky H.L., et al. Acute hepatic porphyrias: Recommendations for evaluation and long-term management. *Hepatology*. 2017; 66(4): 1314–22. <https://doi.org/10.1002/hep.29313>
7. Rigor J., Pinto S.A., Martins-Mendes D. Porphyrias: A clinically based approach. *Eur. J. Intern. Med*. 2019; 67: 24–9. <https://doi.org/10.1016/j.ejim.2019.06.014>
8. Sokolov A.A. «Problem of rare diseases» is a result and incentive progress in the field of biology and medicine. *Menedzher zdravookhraneniya*. 2012; (1): 8–14. <https://www.elibrary.ru/owyhvv> (in Russian)
9. Vorob'ev P.A. Rare diseases in the adult. *Problemy standartizatsii v zdravookhraneni*. 2016; (3–4): 3–9. <https://www.elibrary.ru/vvwkjl> (in Russian)
10. Sokolov A.A., Aleksandrova O.Yu., Kadyrov F.N. High-tech medical care for patients with rare diseases – problems of organization and financing. *Menedzher zdravookhraneniya*. 2016; (6): 60–9. <https://elibrary.ru/wmotmp> (in Russian)