

**АНАЛИЗ НА РАЗХОДИТЕ ЗА ЛЕЧЕНИЕ НА БЕТА-ТАЛАСЕМИЯ ЗА ПЕРИОДА 2011-2014 Г.****А. Златарева<sup>1</sup> и Г. Петрова<sup>2</sup>**<sup>1</sup>МЦ Хелт БГ ЕООД<sup>2</sup>Фармацевтичен факултет, Медицински университет – София**AN ANALYSIS OF EXPENDITURES FOR TREATMENT OF BETA THALASSEMIA IN THE PERIOD 2011-2014****A. Zlatareva<sup>1</sup> and G. Petrova<sup>2</sup>**<sup>1</sup>Medical Center Health BG EOOD<sup>2</sup>Faculty of Pharmacy, Medical University – Sofia

**Резюме:** Целта на това проучване е да се анализира финансирането на фармакотерапията на пациентите с бета-таласемия в България за периода 2011-2013 г. Проведен е финансов, макроикономически анализ на разходите за лечение на бета-таласемия в България за периода 2011-2014. Изчислени са разходите средно на болен, разходите по региони, по INN и по АТС група. Сравнени са средните разходи за цялата група болни със средните разходи по региони и са изчислени отклоненията от средностатистическата стойност. През 2011 г., поради промени в законодателството, НЗОК поема финансирането на редките болести, които са 15 диагнози, през 2012 г. са 16 и през 2013 (до август) – 23, включително лечението на бета-таласемията, като броят на обхванатите пациенти през годините се изменя, както следва: през 2011 г. са 219 болни, през 2012 г. са 223-ма, а през 2013 г. са 247 души. Разходите за лечение на пациентите се променят във възходяща посока, като през 2011 г. те са 5 132 600 лв., през 2012 г. са 7 664 782 лв., а през 2013 г. са 8 323 230 лв. Средната стойност на разходите за болен с тази диагноза, заплатени от Обществения фонд, по региони е със значителни отклонения, като най-голяма стойност е отбелязана в Русе и във Варна. В България, финансирането на фармакотерапията на редки заболявания следва общите принципи на финансиране при всички заболявания и това създава риск от недофинансиране на болните с редки болести и на останалите граждани, тъй като и двете групи разчитат на средства на НЗОК. Статистически значимите различия в лечението на болните с редки заболявания по региони се нуждаят от много сериозен анализ на медицинските основания за това различие.

**Ключови думи:** редки болести, лекарства сираци, бета-таласемия, разходи за лечение

**Summary:** *Aim:* The aim of this study is to analyze financing of pharmacotherapy of patients with beta-thalassemia in Bulgaria for the period 2011-2013 г. *Materials and Methods:* A financial, macroeconomic analysis of the cost of treatment of beta-thalassemia in Bulgaria for the period 2011-2014 was made. The average cost per patient, costs by regions, INN, and ATC group were calculated. The average cost for the entire group of patients with average costs by region were compared and deviations from the average statistical value were calculated. *Results and Discussion:* In 2011, due to changes in legislation, the National Health Insurance Fund (NHIF) covered funding of rare diseases, which comprised 15 diagnoses, in 2012 – 16, and in 2013 (until August) – 23, including the treatment of beta thalassemia. The number of patients covered changes annually as follows: in 2011 – 219 patients, in 2012 – 223, and in 2013 – 247 patients. The cost of treating patients changes in upward direction: in 2011 – 5,132,600 BGN, in 2012 – 7,664,782 BGN, and in 2013 – 8,323,230 BGN. The average cost per patient with this diagnosis, paid by the Community Fund, is with significant deviations between different regions, as the highest value is recorded in Ruse and Varna. *Conclusion:* In Bulgaria, financing of pharmacotherapy of rare diseases follows the general principles of funding for all diseases and this creates the risk of underfunding of both the patients with rare diseases and the rest individuals since both the groups rely on the resources of NHIF. Statistically significant differences in the treatment of patients with rare diseases between different regions need a serious analysis of their medical arguments.

**Key words:** rare diseases, orphan drugs, beta thalassemia, treatment costs

## ВЪВЕДЕНИЕ

Бета-таласемията се дължи на дефект в синтеза на бета-глобиновите вериги, което води до алфа-/бета-дисбаланс, неефективна еритропоеза и хронична анемия [8]. Спектърът на таласемията е широк – от таласемия минор (хипохромична микроцитна анемия без явни клинични прояви) до таласемия майор, като пациентите с тази диагноза се нуждаят още в първите години от живота си от редовни кръвопреливания. Този спектър обхваща и таласемия интермедия.  $\beta$ -таласемия интермедия има клинична картина, както и усложнения, свързани със заболяването, които са различни от тези на  $\beta$ -таласемия майор. Познаването на различните форми има отношение към развиващите се усложнения, характерни за отделните форми, и те включват ефекти върху няколко органа и системи, включително сърдечно-съдова, чернодробна, ендокринна, бъбречна, мозъчна и скелетна система.

Първите доклади за заболяването таласемия датират от 1925 г. [9]. Първите случаи са описани при педиатричната популация сред пациенти с анемия, както и с други костни промени. По-късно, терминът „таласемия“ е предложен от Джордж Уапъл [10], а Дейвид Уотърл доказва дефектната продукция на алфа- и бета-вериги [11, 12, 13, 14, 15].

Основните терапевтични методи са конвенционални, като кръвопреливане и хелатотерапия, спленектомия, поддържащи терапии, както и психологична подкрепа [16]. Неконвенционалните методи включват генна терапия и фетален хемоглобин модуляция и трансплантация на стволови клетки.

Автори на проучвания отбелязват, че качеството на живот при пациенти с таласемия е тема на особен интерес в последно време, като без никакво лечение, пациентите са изложени на риск от развитие на много усложнения и по-ниско качество на живот [17, 18, 19].

Основни терапевтични методи според Българското хематологично дружество са хемотрансфузионно лечение, желязо-хелатиращо лечение,

спленектомия и трансплантация на хематопоеични стволови клетки [1].

Целта на това проучване е да се анализира финансирането на фармакотерапията на пациентите с бета-таласемия в България за периода 2011-2013 г.

## МАТЕРИАЛ И МЕТОДИ

Проведен е финансов, макроикономически анализ на разходите за лечение на бета-таласемия в България за периода 2011-2014. Изчислени са разходите средно на болен, разходите по региони, по INN и по АТС група. Сравнени са средните разходи за цялата група болни със средните разходи по региони и са изчислени отклоненията от средностатистическата стойност.

## РЕЗУЛТАТИ

През 2011 г. НЗОК поема финансирането на разходите за лечение на болните с редки болести, в това число и на бета-таласемията [2, 3, 4, 6, 7]. Разходите в периода 2011-юни 2014 г. се променят, както е показано на табл. 1.

Броят на болните нараства през проследените месеци и през годините на изследвания период, като средната стойност остава почти константна.

Разходите по INN за изследвания период се променят, както е представено на табл. 2.

След прехвърлянето на редките заболявания към НЗОК се очертава непрекъсната тенденция в нарастването на разходите за лечение на това заболяване.

На този фон средните разходи и отклонението от тези средни разходи за лечение на болен с бета-таласемия по региони са значителни – фиг. 1.

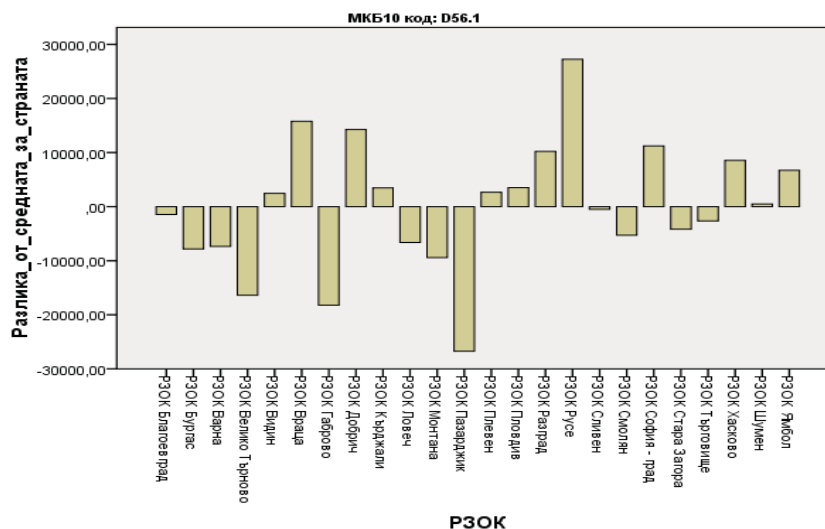
Резултатите показват, че най-голям е броят на болните с бета-таласемия в София-град ( $n = 29$ ), следван от Пловдив ( $n = 25$ ), но най-голямо е отклонението от средните разходи, които НЗОК отделя, в Русе ( $n = 6$ ) и Варна ( $n = 8$ ) за лечението на тези пациенти (фиг. 1). Средно на болен с тази диагноза се реимбурсират 35 068,38 лв. на година.

Таблица 1. Разходи за брой болни и средна стойност на болен с диагноза бета-таласемия за периода 2011-06.2014

	Брой болни	Реимбурсна сума, лв. 2011г.	Средна стойност на болен 2011г.	Брой болни	Реимбурсна сума, лв. 2012г.	Средна стойност на болен 2012г.	Брой болни	Реимбурсна сума, лв. 2013г.	Средна стойност на болен 2013г.	Брой болни	Реимбурсна сума, лв. 2014г.	Средна стойност на болен 2014г.
януари				180	673 005	3 738,91	162	588 197	3 630,85	193	694 002	3 595,87
февруари				178	677 710	3 807,36	164	581 304	3 544,54	201	725 327	3 608,59
март	1	5 030	5 029,92	192	721 791	3 759,33	189	692 921	3 666,25	196	678 922	3 463,89
април	107	369 672	3 454,88	159	581 070	3 654,53	196	746 204	3 807,16	199	705 523	3 545,34
май	149	551 180	3 699,19	161	642 581	3 991,18	192	711 937	3 708,01	184	649 624	3 530,57
юни	173	612 757	3 541,95	145	563 211	3 884,21	187	717 809	3 838,55	194	707 851	3 648,71
юли	177	605 674	3 421,89	182	698 592	3 838,42	196	749 427	3 823,61			
август	194	685 883	3 535,48	184	683 731	3 715,93	184	687 940	3 738,81			
септември	188	636 308	3 384,62	177	664 992	3 757,01	184	695 290	3 778,75			
октомври	128	426 742	3 333,93	177	632 999	3 576,26	197	742 587	3 769,48			
ноември	146	578 617	3 963,13	170	599 555	3 526,80	201	714 169	3 553,08			
декември	173	660 737	3 819,29	139	525 546	3 780,91	202	695 446	3 442,80			
		<b>5 132 600</b>			<b>7 664 782</b>			<b>8 323 230</b>			<b>4 161 250</b>	

Таблица 2. Разходи по INN за лечение на бета-таласемия в периода 2011-06.2014 г.

INN	НЗОК код	Търговско наименование	Лекарствена форма	Количество на лекарственото вещество	Брой в опаковка	2011г.		2012г.		2013г.		2014г.	
						Отпуснато количество (опаковки)	Реимбурсна сума, в лева	Отпуснато количество (опаковки)	Реимбурсна сума, в лева	Отпуснато количество (опаковки)	Реимбурсна сума, в лева	Отпуснато количество (опаковки)	Реимбурсна сума, в лева
Deferasirox	VF032	Exjade	TABL.DISP.	250 mg	X28	5 367	4 499 146	8 628	6 897 317	10 020	7 507 064	5 305	3 783 244
DEFEROXAMINE	VF033	Desferal	POWDER FOR SOLUTION FOR INJECTION	500 mg	X10	3 986	188 745	3 946	197 330	3 529	197 314	1 568	83 782
DEFERIPRONE	VF034	Ferriprox	TABL.FILM.COAT.	500 mg	X100	1 166	444 709	1 524	570 134	1 734	600 396	808	277 613
DEFERIPRONE	VF035	Ferriprox	ORAL SOL.	50000 mg	X1					50	18 457	45	16 611
						<b>5 132 600</b>		<b>7 664 782</b>		<b>8 323 230</b>		<b>4 161 250</b>	



Фиг. 1. Отклонения от средния разход, заплатен от НЗОК по региони за терапия на диагноза бета-таласемия с МКБ код D56.1

## ОБСЪЖДАНЕ И ЗАКЛЮЧЕНИЕ

Бюджетните данни показват, че фармакотерапията на редките болести изисква значителни финансови ресурси, поради което е нужно внимателно предвиждане на необходимите средства, за да могат повече болни да се лекуват с модерна терапия, без това да поставя на изпитание ограничените обществени средства [5].

След прехвърлянето на редките болести за финансиране от НЗОК на практика няма механизъм за гарантиране на достъпа на болните до тези лекарства, нито финансов, нито законодателен.

Съществуващите различия в средната финансова стойност на лечение на болните с редки заболявания между отделните региони биха могли да имат не само финансови, но и медицински основания. Прави впечатление, че в редица по-малки градове разходите за фармакотерапия са много по-високи, отколкото в градовете, в които има медицински университети. Този факт е много различен в сравнение с други подобни проучвания, които показват, че обикновено в университетските градове разходите за фармакотерапия са по-високи и предписването на лекарства е по-разнообразно. При болните с редки заболявания можем да предположим, че липсата на достатъчно експертен потенциал, характерен за тази област не само в България, а поради спецификата си и в останалите страни от ЕС, довежда до лечение, което не е по единен стандарт, и до значително повишение на средната стойност на фармакотерапията.

Статистически значимите различия в лечението на болните с редки заболявания по региони се нуждаят от много сериозен анализ на медицинските основания за това различие. Независимо че са ограничен брой, болните с редки заболявания заемат сериозен финансов ресурс. Ето защо всяка причина за отклонение на разходите за фармакотерапия трябва да се анализира много внимателно от гледна точка на медицинската обосновааност и постигнатите терапевтични резултати, тъй като в някои случаи високите разходи могат да не означават високи терапевтични резултати при тези групи болни.

## Библиография

1. БНДКТХ. Методични указания за диагностициране, лечение и проследяване на пациенти със заболявания на кръвта и кръвотворните органи, [http://bulgarian-hematology.com/documents\\_hematology/METHODICHNI\\_17\\_10\\_2011.pdf](http://bulgarian-hematology.com/documents_hematology/METHODICHNI_17_10_2011.pdf).
2. Годишен отчет за дейността на НЗОК за 2011 г., [http://www.parliament.bg/pub/cw/20120717100537OTCHET\\_ZA\\_DEJNOSTTA\\_NZOK-2011.pdf](http://www.parliament.bg/pub/cw/20120717100537OTCHET_ZA_DEJNOSTTA_NZOK-2011.pdf).
3. Годишен отчет за дейността на НЗОК за 2012 г., [http://www.parliament.bg/pub/cw/20140121034426GO\\_dejnost-2012\\_26062013\\_2.pdf](http://www.parliament.bg/pub/cw/20140121034426GO_dejnost-2012_26062013_2.pdf).
4. Анализ на стабилността на здравноосигурителния модел – рискове и предизвикателства пред НЗОК и отчет за текущо изпълнение на Закона за бюджета на НЗОК към 30.04.2014 и очаквано изпълнение на Бюджета на НЗОК към 31.12.2014 г., [http://www.nhif.bg/c/document\\_library/get\\_file?p\\_l\\_id=11276&folderId=13219&name=DLFE-10559.pdf](http://www.nhif.bg/c/document_library/get_file?p_l_id=11276&folderId=13219&name=DLFE-10559.pdf).
5. МЗ. Наредба за изменение на Наредба № 38 от 2004 г. за определяне на списъка на заболяванията, за чието домашно лечение Националната здравноосигурителна каса заплаща лекарства, медицински изделия и диетични храни за специални медицински цели напълно или частично. – ДВ, бр. 106 от 2004 г.; доп., бр. 111 от 2004 г.; изм. и доп., бр. 6, 63 и 102 от 2005 г., бр. 60 и 100 от 2010 г., бр. 13 и 97 от 2011 г., бр. 15 и 100 от 2012 г.
6. Петрова, Г. Фармакоикономика на редки заболявания, Кръгла маса за оценка на здравните технологии, София, 41 НС, ноември, 2012.
7. Народно събрание. Закон за здравето осигуряване, Обн. ДВ. бр. 70 от 19 юни 1998 г., ДВ. бр. 99 от 16 декември 2011 г. (<http://www.mh.government.bg/Articles.aspx?lang=bg-BG&pageid=380&currentPage=2&categoryid=3143> 14.07.2013).
8. Haddad, A. et al.  $\beta$ -Thalassemia Intermedia: A Bird's-Eye View. – Turk. J. Haematol., **31**, 2014, № 1, 5-16. doi: 10.4274/Tjh.2014.0032
9. Cooley, T. B. et P. Lee. A series of cases of splenomegaly in children and peculiar changes in bones; report of cases. – Am. J. Dis. Child., **34**, 1927, 347-347.
10. Whipple, G. H. et W. L. Bradford. Mediterranean disease – "thalassemia" (erythroblastic anemia of Cooley): associated pigment abnormalities simulating hemochromatosis. – J. Pediatr., **9**, 1936, 279-311.
11. Ingram, V. M. et A. O. Stretton. Genetic basis of the thalassemia diseases. – Nature, **184**, 1959, 1903-1909.
12. Weatherall, D. J. Thalassemia: the long road from the bedside through the laboratory to the community. – Transfus. Med., **21**, 2011, 218-223.

13. Weatherall, D. J., J. B. Clegg et M. A. Naughton. Globin synthesis in thalassemia: an in vitro study. – Nature, **208**, 1965, 1061-1065.
14. Weatherall, D. J. The thalassemia syndromes. –Tex. Rep. Biol. Med., **40**, 1980, 323-333.
15. Rund, D. et E. Rachmilewitz. Beta-thalassemia. – N. Engl. J. Med., **353**, 2005, 1135-1146.
16. Maakaron, J. E., M. D. Cappellini et A. T. Taher. An update on thalassemia intermedia. – J. Med. Liban., **61**, 2013, 175-182.
17. Taher, A. T., K. M. Musallam, A. El-Beshlawy et al. Age-related complications in treatment-naive patients with thalassaemia intermedia. – Br. J. Haematol., **150**, 2010, 486-489.
18. Musallam, K. M., B. Khoury, R. Abi-Habib et al. Health-related quality of life in adults with transfusion-independent thalassaemia intermedia compared to regularly transfused thalassaemia major: new insights. – Eur. J. Haematol., **87**, 2011, 73-79.
19. Musallam, K. M., A. T. Taher, L. Duca et al. Levels of growth differentiation factor-15 are high and correlate with clinical severity in transfusion-independent patients with  $\beta$  thalassemia intermedia. – Blood Cells Mol. Dis., **47**, 2011, 232-234.

✉ Адрес за кореспонденция:  
Д-р Албена Златарева  
МЦ "Хелт БГ"  
Централен офис  
ул. "Константин Петранов" № 25  
1700 София  
☎ 0359 887 988335

**Възстановен  
достъп до  
MEDLINE  
и до пълни  
текстове през  
OVID**



Европейски съюз

Достъпът до MEDLINE и до пълните текстове на около 60 списания в OVID през университетската мрежа е възстановен по проект BG051PO001 – 6.2.18 -0001 „Нови възможности за лекарите в България“ Проектът се осъществява с финансовата подкрепа на Оперативна програма „Развитие на човешките ресурси“, съфинансирана от Европейския социален фонд на Европейския съюз  
Инвестира във вашето бъдеще!



Европейски социален фонд

IP-достъп; разгледайте възможностите на адрес:  
<http://ovidsp.ovid.com/autologin.html>