



Всероссийское
общество
орфанных
заболеваний

ТАЛАССЕМИЯ

rare-diseases.ru

Автор: Сметанина Наталия Сергеевна, д.м.н., профессор. Заместитель директора Института гематологии, иммунологии и клеточных технологий, заместитель главного врача по лечебно-консультативной работе ФГБУ «НМИЦ ДГОИ им. Дмитрия Рогачева» Минздрава России (Москва).

Что такое талассемия?

Название «талассемия» происходит от греческого слова «море», «thalassa», и переводится как «морская анемия», так как болезнь впервые была обнаружена у лиц, живущих у берегов Средиземного моря.

Талассемии – группа наследственных заболеваний, развившихся в результате нарушения соотношения альфа или бета-цепей специального белка глобина. Глобин образует гемоглобин. Гемоглобин жизненно важен в организме, так как он входит в состав эритроцитов (красных кровяных клеток), которые переносят кислород от легких ко всем тканям и органам. Талассемия проявляется гемолитической анемией различной степени выраженности. Из-за разрушения неправильного гемоглобина эритроциты быстро разрушаются. Организм пытается скомпенсировать дефицит гемоглобина в организме и усиливает образование красных клеток крови в костном мозге.

Альфа-талассемия – результат недостаточного образования альфа-глобиновых цепей. Бета-талассемия – результат недостаточного синтеза бета-глобиновых цепей.

Причины талассемии

Талассемия – генетическое заболевание, возникает при повреждении генов гемоглобина и тяжесть заболевания зависит от глубины поломки генов.

У здорового человека за образование альфа-глобиновых генов отвечают четыре альфа-глобиновых гена по два на каждой 16-й хромосоме ($\alpha\alpha/\alpha\alpha$).

Потеря одного альфа-глобинового гена ($-\alpha/\alpha\alpha$ или $\alpha^T\alpha/\alpha\alpha$) выражается бессимптомной формой альфа-талассемии.

Потеря двух альфа-глобиновых генов ($-\alpha/-\alpha$ или $--/\alpha\alpha$) сопровождается легким течением альфа-талассемии – альфа-талассемия с минимальными проявлениями.

Отсутствие функции трех альфа-глобиновых генов ($--/-\alpha$ или $--/\alpha^T\alpha$) проявляется клинически выраженными изменениями (гемоглобин может колебаться в диапазоне от 30 г/ до 100 г/л). Эта форма называется гемоглобинопатия H.

Отсутствие функции всех четырех альфа-глобиновых генов сопряжено с внутриутробной гибелью плода или преждевременным рождением ребенка с анемической водянкой плода. В настоящее время при проведении внутриутробных переливаний эритроцитной массы удается сохранить жизнь таким пациентам.

Бета-глобины кодируются бета-глобиновым геном, который локализуется на 11-й хромосоме (β/β). Для нормального образования молекулы гемоглобина необходима работа двух бета-глобиновых генов (β/β). Нарушение работы гена может быть незначительным, т.е. количество образующейся бета-глобиновой цепи незначительно меньше нормы (β^{++}), существенным (количество образующейся бета-глобиновой цепи существенно меньше нормы (β^+) или полное отсутствие функции гена (синтез бета-глобиновой цепи не возможен (β^0)). Если у человека поврежден только один бета-глобиновый ген, то, как правило, заболевание – бета-талассемия – протекает легко (малая форма или здоровый носитель). Повреждение обоих генов приводит к тяжелому течению бета-талассемии – промежуточной и большой форме заболеванию, последняя известна как анемия Кули.

Возможны сочетания альфа- и бета-талассемии, что относительно выравнивает баланс синтеза альфа- и бета-глобиновых цепей, приводя к более мягкому проявлению заболевания.

Гемоглобин

В составе одной молекулы гемоглобина присутствуют две альфа-глобиновые цепи и две не альфа-глобиновые цепи (бета-, дельта- или гамма-глобиновые цепи) и четыре гемовые группы (рис. 1). Например, в составе фетального гемоглобина F (HbF) – две альфа-глобиновые цепи и две гамма-глобиновые цепи, в составе HbA – две альфа-глобиновые цепи и две бета-глобиновые цепи, в составе HbA2 – две альфа-глобиновые цепи и две дельта-глобиновые цепи.

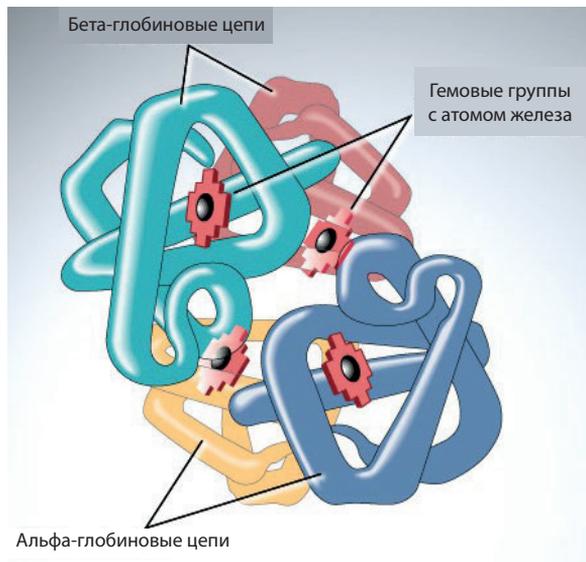


Рисунок 1. Схематичное представление молекулы гемоглобина, показаны глобиновые цепи и гемовые группы, содержащие атом железа.

Клинические проявления талассемии

Легкие, клинически незначимые формы талассемии обычно представлены у гетерозигот, большинство которых являются здоровыми носителями этих заболеваний. В мазках крови этих людей специалисты могут увидеть изменение внешнего вида эритроцитов (красных кровяных клеток) в виде гипохромии (эритроциты более бледные, чем обычно), микроцитоза (уменьшение размера), мишеневидности, наличие клеток различной формы (пойкилоцитоз) и размера (анизоцитоз).

Клинически значимые формы талассемии включают следующие состояния:

- *Для бета-талассемии*

Большая форма бета-талассемии (анемия Кули), которая проявляется тяжелой анемией (глубоким снижением гемоглобина) уже на первом-втором году жизни и необходимостью проведения переливаний донорских эритроцитов каждые 2-4 недели.

Промежуточная форма бета-талассемии, которая развивается в результате наличия генетических повреждений двух бета-глобиновых генов, наличие комбинации талассемического повреждения одного бета-глобинового гена с аномальным гемоглобином (например, HbE) или повреждение двух бета-глобиновых генов с нарушением работы альфа-глобиновых генов, или появление аномального HbE. Как правило, пациенты с промежуточной формой бета-талассемии не нуждаются в регулярных (частых) переливаниях донорских эритроцитов.

- *Для альфа-талассемии*

Гемоглобинопатия H, которая имеет клинические проявления сходные с промежуточной формой бета-талассемии.

Считается, что промежуточная форма бета-талассемии (а также HbE-бета-талассемия, гемоглобинопатия HbE и гемоглобинопатия H) в целом более легкая форма талассемии, чем большая форма бета-талассемии, т.к. они редко нуждаются в

заместительных трансфузиях (переливаниях) донорских эритроцитов, но в некоторых случаях частота переливаний у них может учащаться: с возрастом, при развитии выраженного увеличения размеров селезенки (спленомегалии), при присоединении инфекций и во время беременности.

Международным сообществом (TIF, Thalassemia International Federation, Международная Талассемическая Федерация) разработаны стандарты ведения больных с клинически значимыми формами талассемии, особенно с большой формой бета-талассемии.

Основным методом лечения пациентов с большой формой бета-талассемии вне зависимости от их возраста является трансфузии (переливания) донорских эритроцитов для поддержания гемоглобина в диапазоне 95-125 г/л в сочетании с хелаторной терапией (т.е. лечением, направленным на удаление из организма избытка железа). Это лечение позволило всем больным: и детям, и взрослым, вести нормальный (свойственный их возрасту) образ жизни, продлить жизнь с сохранением ее качества до возраста, свойственному здоровому населению страны.

Какие проявления талассемии?

Анемия – снижение гемоглобина – результат неэффективного образования эритроцитов в костном мозге и сокращения продолжительности жизни эритроцитов, в тяжелых случаях анемия настолько выражена, что необходимо постоянно проводить переливания донорских эритроцитов. Проявляется слабостью, одышкой, желтухой, интоксикацией и повышением температуры тела.

Перегрузка железом – патологическое накопление железа в различных органах и тканях, результат переработки донорских эритроцитов организмом пациента в сочетании с резко повышенным усвоением железа из пищевых продуктов; последнее становится основной причиной накопления излишка железа у пациентов с промежуточной формой бета-талассемии. Накопленное железо

повреждает печень, сердце и эндокринные железы и они не могут нормально работать.

Основной способ лечения пациентов с талассемией – переливания эритроцитарной массы. Одна доза донорских эритроцитов содержит примерно 200 мг железа, которое откладывается в начале в специальных клетках – макрофагах (клетки человека утилизирующие старые клетки крови и донорские эритроциты), а позднее в железах внутренней секреции (гипофиз, поджелудочная железа и др.) и миокарде (сердечной мышце). Применение хелаторов железа (специальных лекарств, выводящих избыток железа из организма человека) при постоянном использовании в достаточной дозе позволяет предотвратить повреждающее действие на органы и ткани больного человека избытка железа.

Повреждение миокарда железом может проявляться как сердечной недостаточностью и различными нарушениями ритма сердца.

Повреждение печени избытком железа происходит в виде появления фиброза (далее цирроза) в печени с последующим снижением непосредственной функции печени по производству жизненно важных веществ в организме и по выведению «шлаков» с желчью из организма.

Из эндокринных заболеваний, связанных с перегрузкой железом, у больных тяжелыми формами талассемий могут быть сахарный диабет, нарушение роста, гипогонадизм (нарушение полового развития), гипотиреоз (недостаточность щитовидной железы), гипопаратиреоз (недостаточность функции паращитовидных желез).

Увеличение размеров селезенки (спленомегалия) различной выраженности. Увеличение размеров селезенки при сбалансированном ведении больных большой формой талассемии в настоящее время встречается редко и выражено незначительно. При неадекватном лечении селезенка быстро увеличивается в размерах за счет участия в кроветворении (начинает помогать костному мозгу образовывать эритроциты, но общий гемоглобин не повышается). Спленомега-

лия приводит к снижению эффективности проводимых переливаний донорских эритроцитов, а также к снижению численности других клеток периферической крови – тромбоцитов и лейкоцитов, такое состояние называется гиперспленизмом. При резком выраженном увеличении селезенки появляется высокий риск разрыва селезенки при малейшей травме живота, что представляет угрозу жизни. При промежуточной форме бета-талассемии спленомегалия – частое явление. Очень важно регулярно следить за размерами селезенки, особенно у пациентов с редкими трансфузиями донорских эритроцитов!

Спленэктомия – хирургическое удаление селезенки – проводят при развитии явлений гиперспленизма или появлении риска разрыва селезенки, однако при этом может повыситься восприимчивость человека к некоторым инфекциям. Удаление селезенки при большой или промежуточной форме бета-талассемии не приводит к повышению гемоглобина.

Экспансия кроветворения – расширение участков кроветворения в костном мозге. В норме кроветворение располагается в губчатых (плоские кости черепа, ребра, тела позвонков, кости таза) костях и трубчатых костях, с возрастом по мере старения организма – только в плоских костях. При возрастании потребностей организма в клетках крови, как например, при талассемии (промежуточной форме и при неадекватном лечении большой формы) высокая необходимость в эритроцитах, кроветворение занимает все возможные места естественной локализации кроветворения, приводя к утолщению и деформации костей. При экстремальном расширении кроветворения – клетки костного мозга выходят за пределы костей, образуя опухолевидные образования – псевдоопухоли. За счет костных деформаций и утолщений, а также за счет псевдоопухоли, могут сдавливаться жизненно важные сосудистые и нервные сплетения, что может проявляться различными неврологическими симптомами (потеря чувствительности, чувство онемения, боли, нарушение функции мышц/органов, которые питаются из этого сплетения, и др.), симптомами сдавления (когда псевдоопухоль сильно

сдавливает нормальные структуры, мешая их функции), остеопороз, патологические переломы, что также может сопровождаться болью и нарушением функции организма.

При проведении недостаточной трансфузионной терапии развиваются типичные талассемические деформации костей скелета увеличение размеров живота за счет спленомегалии, обусловленные расширением кроветворения, замедляются темпы физического роста и развития за счет глубокой анемии. Внешний вид больных талассемией, не получающих лечение, представлен на фото 1 и 2.



Фото 1. Дети, страдающие средиземноморской анемией тяжелой степени (последующие названия – анемия Кули, большая форма бета-талассемии) из публикации Cooley T.B. & Lee P. A series of cases of splenomegaly in children with anemia and peculiar bone changes. Trans Am Pediatr Soc, 1925; 37: 29-30



Фото 2. Внешний вид больного большой формой бета-талассемии 12-ти лет, не получавшего лечение (60-е годы СССР).

При отсутствии лечения тяжелая анемия приводит к ранней смертности в возрасте 3-12 лет при большой форме бета-талассемии.

При неадекватном лечении (не достаточная трансфузионная терапия (концентрация гемоглобина до трансфузии менее 95 г/л), отсутствие или недостаточная хелаторная терапия) продолжительность жизни резко сокращается за счет развития

многочисленных осложнений (анемическое поражение сердца, легочная гипертензия, тромбозы, псевдоопухолевые массы внекостномозгового кроветворения, спленомегалия, трофические язвы, хроническая почечная недостаточность), вероятность дожить до 30 лет с плохим качеством жизни имеет менее 30% больных большой формой бета-талассемии.

Какие исследования необходимо сделать для подтверждения талассемии?

Общий анализ крови, в котором необходимо обратить внимание не только на концентрацию гемоглобина (Hb), но и на число эритроцитов (RBC), эритроцитарные индексы (среднюю концентрацию гемоглобина – MCH, средний объем эритроцитов – MCV, среднюю концентрацию гемоглобина в эритроцитах – MCHC) и количество ретикулоцитов.

Биохимический анализ крови, в котором акцентируется концентрация общего билирубина и его фракций (прямой и непрямой билирубин), активность печеночных ферментов (АЛТ, АСТ), концентрация железа в сыворотке крови, общая или ненасыщенная железосвязывающая способность сыворотки (ОЖСС или НЖСС), коэффициент насыщения трансферрина железом, концентрация ферритина сыворотки, что позволит исключить дефицит железа как причину изменений в общем анализе крови.

Исследование фракций гемоглобина методом капиллярного электрофореза или высокоэффективной жидкостной хроматографии. В случае талассемии будут изменены пропорции нормальных фракций гемоглобина или выявлен аномальный гемоглобин (см. таблицу 1).

Таблица 1. Типичные изменения фракций гемоглобина при различных формах талассемии

Форма талассемии	HbF, %	HbA2, %
Бета-талассемия		
малая форма	<5%	>3,5%
промежуточная форма	10-50% (иногда до 100%)	>3,5%
большая форма	>50%	<3,5%
Альфа-талассемия		
минимальная (и носительство)	0-1%	2-3%
гемоглобинопатия H*	0-1%	до 1%

* могут присутствовать различные количества HbH (0,8-40%)

ДНК-исследование глобиновых генов позволяет выявить как точковые мутации, так и делеции (потери фрагментов гена) различной протяженности. Знание характера мутации позволяет предположить возможную тяжесть заболевания. Часть локусов бета-глобинового гена позволяет сохраниться некоторому остаточному синтезу бета-глобиновых цепей, другая часть – делает синтез этих цепей полностью невозможным. Необходимо исследовать как бета-глобиновый ген, так и альфа-глобиновые гены в связи с крайне высокой частотой встречаемости сочетанных поражений. Сочетание альфа- и бета-талассемии приводит к некоторому выравниванию баланса глобиновых цепей и смягчению клинических проявлений заболевания.

Ультразвуковое исследование (УЗИ) органов брюшной полости необходимо для оценки размеров печени и селезенки, состоятельности желчевыводящих путей.

Что является стандартной терапией талассемии?

Больные малой формой бета-талассемии и здоровые носители талассемии не требуют лечения. Для них очень **важно соблюдение здорового образа жизни**: сбалансированное питание, двигательная активность, отсутствие вредных привычек (курение, алкоголь, употребление токсичных веществ), что позволит организму самостоятельно компенсировать генетический дефект.

Больные тяжелыми клиническими формами талассемии нуждаются не только в здоровом образе жизни, но и в специальном лечении.

Для всех пациентов с любой формой талассемии в любом возрасте принципиально важна **двигательная активность** – занятия физкультурой и спортом (без участия в соревнованиях), что позволит максимально поддержать минерализацию костей скелета, особенно при средне тяжелых и тяжелых клинических формах талассемии.

Трансфузионная терапия (переливания эритроцитной массы)

Пациенты с промежуточной формой бета-талассемии (и другими клинически схожими формами талассемии) в трансфузиях донорских эритроцитов нуждаются редко (например, при снижении гемоглобина менее 50 г/л, при сопутствующих инфекциях, при проведении хирургических операций, на время беременности, при выраженной задержке роста, легочной гипертензии, сердечной недостаточности, склонности к тромбозам, тяжелые костные деформации).

Пациенты с большой формой бета-талассемии для сохранения нормальных темпов роста и развития в детском возрасте, для сохранения качества и продолжительности жизни не отличающегося от здоровых людей – во взрослом возрасте, вынуждены регулярно каждые 3-4 недели в течение всей жизни получать трансфузии (переливания) донорских эритроцитов.

При назначении переливаний донорских эритроцитов врач подробно объяснит

как будет проходить трансфузия, почему ее нужно проводить, проведет пробу на совместимость донорских эритроцитов с вашей кровью, объяснит какие могут быть реакции на переливание и что нужно вам делать в этих случаях. Необходимо внимательно выслушать доктора, если у вас возникнут какие-либо вопросы, не стесняйтесь, задайте их до начала трансфузии, и далее тщательно следуйте советам врача.

Хелаторная терапия

Это лечение, направленное на удаление избытка железа из организма пациента. Используются лекарственные препараты, разрешенные к медицинскому применению на территории Российской Федерации (деферазирокс); в случае непереносимости пациентом этих препаратов, решением Врачебной комиссии с соблюдением всех регламентируемых Российским законодательством норм может быть назначен препарат, незарегистрированный в России, но разрешенный в других странах мира для лечения перегрузки железом у больных талассемией (дефероксамин).

Какие исследования необходимо проводить для контроля лечения?

Общий анализ крови с подсчетом числа тромбоцитов, лейкоцитарной формулы, ретикулоцитов и нормобластов (молодые ядросодержащие клетки красной крови, в норме отсутствуют в периферической крови), который позволит врачу оценить насколько адекватно организовано лечение клинически значимой формы талассемии.

Биохимический анализ крови с оценкой функции печени и почек, запасов железа в организме (ферритин сыворотки) позволяет оценить безопасность проводимой вам (вашему ребенку) терапии.

УЗИ органов брюшной полости и забрюшинного пространства – необходимо для

оценки размеров печени, селезенки и почек, ранее выявление камней в желчном пузыре и псевдоопухолевых масс внекостномозгового кроветворения.

Исследование функции сердца (ЭХО-КГ и ЭКГ, при необходимости суточное мониторирование ЭКГ) для всех пациентов с клинически значимыми формами талассемии с момента постановки диагноза и далее ежегодно.

Исследование гормонального профиля для всех трансфузионно зависимых пациентов старше 8 лет.

Исследование содержания железа в печени, миокарде и гипофизе до начала хелаторной терапии и для контроля освобождения органов от избытка железа.

Скрининг на инфекции, передающиеся с компонентами донорской крови (ВИЧ, гепатиты В и С) случае регулярных трансфузий – ежемесячно, при редких трансфузиях – ежегодно.

Оценка остроты зрения и слуха до начала хелаторной терапии и далее ежегодно.

Оценка минеральной плотности костей скелета ежегодно начиная с подросткового возраста.

Есть ли радикальная терапия талассемии?

В настоящее время радикальной терапией клинически значимых форм талассемии считается трансплантация гемопоэтических стволовых клеток (ТГСК), источником которых может быть костный мозг, периферическая кровь и пуповинная кровь. Общая бессобытийная выживаемость больных талассемией после ТГСК достигает 98% при условии, что до этого больной получал адекватную терапию (трансфузии донорских эритроцитов при гемоглобине 95-100 г/л до Hb не менее 125 г/л в сочетании с хелаторной терапией (на фоне проводимой хелации ферритин сыворотки менее 1500 мкг/л), незначительное увеличение селезенки (не выступает ниже края реберной дуги), отсутствие признаков фиброза в печени.

В противном случае общая бессобытийная выживаемость – существенно ниже, а при тяжелой перегрузке железом печени и миокарда, наличии анемической кардиомиопатии, выраженной спленомегалии – не целесообразна в связи с крайне высоким риском гибели пациента.

В последние годы появилась информация по генной терапии, которая скоро может стать еще одной радикальной опцией лечения.

Что делать если установлен диагноз талассемия?

Ваш лечащий врач должен отправить вас на консультацию к местному гематологу, который затем, должен дать направление в один из Федеральных центров, указанных ниже, для проведения диагностики (подтверждения талассемии) и назначения правильного лечения.

Для получения необходимого лечения также важно оформить инвалидность, поэтому в заключении лечебного учреждения, кроме информации о терапии, должны быть рекомендации о прохождении МСЭ по месту жительства.

В соответствии с Перечнем групп населения и категорий заболеваний, при амбулаторном лечении которых, лекарственные средства и изделия медицинского назначения отпускаются по рецептам врачей бесплатно, утвержденном постановлением Правительства РФ № 890 от 30.07.1994 «О государственной поддержке развития медицинской промышленности и улучшении обеспечения населения и учреждений здравоохранения лекарственными средствами и изделиями медицинского назначения», дети-инвалиды в возрасте до 18 лет обеспечиваются всеми лекарственными средствами по рецептам врачей бесплатно.

Кроме того, талассемия относится к гематологическим заболеваниям (наследственным гемопатиям), и препараты для лечения данных заболеваний и коррекции осложнений их лечения также должны предоставляться пациентам по рецептам врачей бесплатно.

Полезная информация

КОДЫ МКБ-10 (МЕЖДУНАРОДНАЯ КЛАССИФИКАЦИЯ БОЛЕЗНЕЙ 10 ПЕРЕСМОТРА):

альфа-талассемия – D56.0

бета-талассемия – D56.1

дельта-бета-талассемия – D56.2

носительство признака талассемии – D56.3

наследственное персистирование фетального гемоглобина (НПФГ) – D56.4

другие талассемии – D56.8

талассемия неуточненная – D56.9

ФЕДЕРАЛЬНЫЕ ЦЕНТРЫ, ОКАЗЫВАЮЩИЕ СПЕЦИАЛИЗИРОВАННУЮ ПОМОЩЬ ПАЦИЕНТАМ С ТАЛАССЕМИЕЙ:

г. Москва:

1. ФГБУ «Национальный медицинский исследовательский центр детской гематологии, онкологии и иммунологии имени Дмитрия Рогачева» Минздрава России (Москва), г. Москва, ул. Саморы Машела, д. 1, тел.: +7 (495) 287-65-70
2. ФГБУ Национальный медицинский центр гематологии МЗ РФ. г. Москва, Новый Зыковский проезд, д. 4а, тел.: +7 (495) 612-45-51

г. Санкт-Петербург:

1. Федеральное государственное бюджетное образовательное учреждение высшего образования первый Санкт-Петербургский государственный медицинский университет имени академика И.П. Павлова министерства здравоохранения Российской Федерации, клиника НИИДОГиТ им. Р.М. Горбачевой. г. Санкт-Петербург, ул. Рентгена, д.12, тел.: 8 (812) 338-62-61

ГЕНЕТИЧЕСКАЯ ДИАГНОСТИКА:

Федеральное государственное бюджетное научное учреждение «Медико-генетический научный центр», г. Москва, ул. Москворечье, д. 1, тел.: +7 (495) 111-03-03

ОБЩЕСТВЕННЫЕ ОРГАНИЗАЦИИ:

Всероссийское общество редких (орфанных) заболеваний помогает пациентам с редкими заболеваниями. На сайте организации можно более подробно ознакомиться с деятельностью общества, написать письмо, прочитать журнал по редким болезням- www.rare-diseases.ru

РЕКОМЕНДОВАННАЯ ЛИТЕРАТУРА:

1. Гемоглобинопатии и талассемические синдромы. Под редакцией А.Г. Румянцев, Ю.Н. Токарева, Н.С. Сметаниной. М.: Практическая медицина. 2015. – 448 с. (ISBN 978-5-98811-278-5)
2. Guidelines for the Management of transfusion Dependent Thalassemia. 3rd edition. Eds. Cappellini MD, Cohen A, Porter J, Taher A, Viprakasit V. (2014) Thalassemia International Federation. TIF Publication No. 20
3. Guidelines for the Management of non transfusion Dependent Thalassemia (NTDT). 3rd edition. Eds. Taher A, Vichinsky E, Musallan K, Cappellini MD, Viprakasit V. (2013) Thalassemia International Federation. TIF Publication No. 19

КОНТАКТЫ:

Председатель правления:
МЯСНИКОВА Ирина Владимировна

Заместитель председателя
ПОГОСЯН Неля Сергеевна

Исполнительны директор
ВОЛЬШАКОВА Вера Анатольевна

**E-mail: vooz@bk.ru
www.rare-diseases.ru**

Всероссийское общество редких
(орфанных) заболеваний.
125315, г. Москва,
ул. Часовая, д. 24, стр. 2, комн. 27

Всероссийское общество редких (орфанных) заболеваний (ВООЗ) создано в 2012 году по инициативе пациентов, членов их семей и экспертов. К редким или «орфанным» заболеваниям в России относят болезни с распространенностью менее 10 человек на 100 000 населения.

ОСНОВНАЯ ЦЕЛЬ ОГРАНИЗАЦИИ:

- помощь пациентам с редкими заболеваниями реализовать свое конституционное право на лечение, своевременную диагностику, реабилитацию и социальную поддержку.

Всероссийское общество редких (орфанных) заболеваний является членом рабочей группы по редким болезням Всероссийского Союза пациентов (ВСП), членом Совета по защите прав пациентов при МЗ РФ. Всероссийское общество редких (орфанных) заболеваний имеет соглашение о сотрудничестве с Росздравнадзором. Оказывает поддержку и юридическую помощь семьям, столкнувшимся с редким заболеванием.

Разделяете нашу позицию — поддержите нас

ИНН/КПП
ОГРН, ОКПО
Полное наименование банка
Адрес банка
БИК
Корр. счет
Расчетный счет
Назначение платежа

7714400977 / 774301001
1127799005080, 09150445
ОАО «СБЕРБАНК РОССИИ»
117997, г. Москва, ул. Вавилова, д. 19 (Доп. офис 9038/1577)
044525225
30101810400000000225
40703810838060072660
Благотворительное пожертвование на ведение уставной деятельности Общероссийской общественной организации «Всероссийское общество редких (орфанных заболеваний)»



rare-diseases.ru