

BỘ Y TẾ**BỘ Y TẾ****CỘNG HÒA XÃ HỘI CHỦ NGHĨA VIỆT NAM****Độc lập - Tự do - Hạnh phúc**

Số: 26/2019/TT-BYT

Hà Nội, ngày 30 tháng 8 năm 2019

THÔNG TƯ**Quy định về Danh mục thuốc hiếm***Căn cứ Luật dược số 105/2016/QH13 ngày 06 tháng 4 năm 2016;**Căn cứ Nghị định số 75/2017/NĐ-CP ngày 20 tháng 6 năm 2017 của Chính phủ quy định chức năng nhiệm vụ, quyền hạn và cơ cấu tổ chức của Bộ Y tế;**Theo đề nghị của Cục trưởng Cục Quản lý Dược,**Bộ trưởng Bộ Y tế ban hành Thông tư quy định về Danh mục thuốc hiếm.***Điều 1. Phạm vi điều chỉnh**

Thông tư này ban hành Danh mục thuốc hiếm, quy định mục đích ban hành, nguyên tắc xây dựng và tiêu chí lựa chọn thuốc vào Danh mục thuốc hiếm.

Điều 2. Danh mục thuốc hiếm

Danh mục thuốc hiếm được ban hành tại Phụ lục kèm theo Thông tư này bao gồm:

1. Danh mục thuốc để phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp.
2. Danh mục thuốc không sẵn có.

Điều 3. Mục đích ban hành Danh mục thuốc hiếm

1. Danh mục thuốc để phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp là cơ sở để:

a) Cơ quan nhà nước có thẩm quyền xem xét miễn, giảm dữ liệu lâm sàng, miễn một hoặc một số giai đoạn thử thuốc trên lâm sàng trước khi cấp phép lưu hành đối với thuốc theo quy định tại Khoản 3 Điều 18 Thông tư số 32/2018/TT-BYT ngày 12 tháng 11 năm 2018 của Bộ trưởng Bộ Y tế quy định việc đăng ký thuốc, nguyên liệu làm thuốc (sau đây gọi tắt là Thông tư số 32/2018/TT-BYT);

b) Cơ quan nhà nước có thẩm quyền xem xét dữ liệu nghiên cứu độ ổn định đối với thuốc theo quy định tại điểm a Khoản 2 Điều 25 Thông tư số 32/2018/TT-BYT;

c) Cơ quan quản lý nhà nước ưu tiên trong trình tự, thủ tục trong đăng ký lưu hành thuốc theo quy định tại khoản 1 Điều 34 Thông tư số 32/2018/TT-BYT;

d) Cơ quan quản lý nhà nước cấp phép nhập khẩu thuốc theo quy định của pháp luật;

đ) Thực hiện việc thanh toán chi phí hao hụt thuốc theo quy định về tỉ lệ hao hụt thuốc và việc thanh toán chi phí hao hụt thuốc tại cơ sở khám bệnh, chữa bệnh.

2. Danh mục thuốc không sẵn có là cơ sở để cơ quan, tổ chức có liên quan thực hiện quy định tại các điểm c, d và đ Khoản 1 Điều này.

Điều 4. Nguyên tắc xây dựng Danh mục thuốc hiếm

Danh mục thuốc hiếm được xây dựng dựa trên các nguyên tắc sau đây:

1. Căn cứ vào các hướng dẫn chẩn đoán và điều trị, các quy trình chuyên môn kỹ thuật do Bộ Y tế, Tổ chức Y tế thế giới (WHO), cơ quan quản lý tham chiếu (bao gồm: Cơ quan quản lý Dược phẩm Châu Âu (EMA), Mỹ, Nhật Bản, Anh, Thụy Sĩ, Úc) hoặc các Hiệp hội y khoa có uy tín trong nước, khu vực hoặc trên thế giới (bao gồm: Hội Tim mạch Việt Nam; Hiệp hội gan mật Châu Á, châu Âu; Hội Thấp khớp học Hoa Kỳ và Liên đoàn chống Thấp khớp Châu Âu; Hiệp hội Tim mạch Châu Âu; Hiệp hội Tim mạch Hoa Kỳ; Hiệp hội nội tiết, đái tháo đường Hoa Kỳ và các Hiệp hội y khoa uy tín khác) ban hành.

2. Rà soát, kế thừa danh mục thuốc hiếm đã được ban hành trước đây theo quy định của Bộ trưởng Bộ Y tế.

3. Tham khảo quy định về phân loại bệnh hiếm gặp, phân loại và danh mục thuốc hiếm của Tổ chức Y tế thế giới, cơ quan quản lý tham chiếu và các cơ quan quản lý khác có liên quan.

Điều 5. Tiêu chí lựa chọn thuốc vào Danh mục thuốc hiếm

1. Một thuốc được xem xét để lựa chọn vào Danh mục thuốc để phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp khi đáp ứng một trong các tiêu chí sau đây:

a) Thuốc để phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp theo quy định của Bộ trưởng Bộ Y tế;

b) Thuốc có chỉ định được phân loại và cấp phép lưu hành là thuốc hiếm bởi một trong các cơ quan quản lý tham chiếu.

2. Một thuốc được xem xét để lựa chọn vào Danh mục thuốc không sẵn có là thuốc mà trên thị trường Việt Nam chưa có sẵn các thuốc khác có khả năng thay thế hoặc thuốc có tài liệu chứng minh mang lại lợi ích đáng kể về mặt chất lượng, an toàn, hiệu quả so với các thuốc khác có khả năng thay thế trên thị trường trong nước và quốc tế và thuộc một trong các trường hợp sau đây:

a) Thuốc để phòng, chẩn đoán, điều trị các bệnh có tỷ lệ ca bệnh hiện lưu hành trong một quần thể ngay tại một thời điểm thấp không quá 0,05% dân số (Prevalence rate - tỷ lệ lưu hành) và thuộc một trong các trường hợp sau đây: Bệnh thuộc về gen; bệnh bẩm sinh; ung thư; tự miễn; truyền nhiễm; bệnh nhiễm trùng nhiệt đới và bệnh khác do Bộ trưởng Bộ Y tế quyết định theo tư vấn của Hội đồng chuyên môn do Bộ trưởng Bộ Y tế thành lập;

b) Vắc xin, thuốc chẩn đoán hoặc thuốc phòng bệnh có tỷ lệ sử dụng ước tính không quá 8.000 trường hợp mỗi năm tại Việt Nam;

c) Thuốc phóng xạ, chất đánh dấu;

d) Việc kinh doanh thuốc không tạo ra lợi nhuận đủ lớn để bù đắp chi phí đầu tư, tiếp thị thuốc tại thị trường Việt Nam.

Điều 6. Hiệu lực thi hành

1. Thông tư này có hiệu lực thi hành kể từ ngày 15 tháng 10 năm 2019.

2. Quyết định số 37/2008/QĐ-BYT ngày 20 tháng 11 năm 2008 về việc ban hành Danh mục thuốc hiếm theo yêu cầu điều trị (sau đây gọi tắt là Quyết định số 37/2008/QĐ-BYT) hết hiệu lực thi hành kể từ ngày Thông tư này có hiệu lực.

Điều 7. Điều khoản chuyển tiếp

Việc thanh toán chi phí hao hụt tại cơ sở khám bệnh, chữa bệnh đối với thuốc thuộc Danh mục thuốc hiếm ban hành theo Quyết định số 37/2008/QĐ-BYT nhưng không thuộc Danh mục thuốc hiếm ban hành kèm theo Thông tư này được tiếp tục áp dụng theo quy định đối với thuốc hiếm trong trường hợp thuốc đó đã được cơ sở khám bệnh, chữa bệnh nhập trước thời điểm Thông tư này có hiệu lực.

Điều 8. Điều Khoản tham chiếu

Trong trường hợp các văn bản quy phạm pháp luật và các quy định được viện dẫn trong Thông tư này có sự thay đổi, bổ sung hoặc được thay thế thì áp dụng theo văn bản quy phạm pháp luật mới.

Điều 9. Tổ chức thực hiện

1. Căn cứ nguyên tắc xây dựng, tiêu chí lựa chọn thuốc hiếm và trên cơ sở đề xuất của các đơn vị quy định tại Khoản 2 Điều 10 Thông tư này, của các tổ chức,

cá nhân khác có liên quan hoặc trên cơ sở kết luận của Hội đồng tư vấn cấp giấy đăng ký lưu hành thuốc, nguyên liệu làm thuốc, Cục Quản lý Dược đề xuất danh mục các thuốc hiếm cần cập nhật bổ sung hoặc loại bỏ cho phù hợp tình hình thực tế, xin ý kiến rộng rãi các cơ quan, tổ chức, đơn vị liên quan, cơ sở khám bệnh, chữa bệnh, doanh nghiệp và đề nghị Vụ Pháp chế tổ chức thẩm định trước khi trình Bộ trưởng Bộ Y tế ban hành Quyết định sửa đổi, bổ sung Danh mục thuốc hiếm.

2. Trường hợp Bộ Y tế ban hành Quyết định sửa đổi, bổ sung Danh mục thuốc hiếm theo quy định tại Khoản 1 Điều này, việc thanh toán chi phí hao hụt tại cơ sở khám bệnh, chữa bệnh đối với thuốc thuộc Danh mục thuốc hiếm được ban hành liền kề trước đó nhưng không thuộc Danh mục thuốc hiếm sửa đổi, bổ sung được thực hiện theo quy định đối với thuốc hiếm trong trường hợp thuốc đó đã được cơ sở khám bệnh, chữa bệnh nhập trước thời điểm Quyết định sửa đổi, bổ sung Danh mục thuốc hiếm có hiệu lực.

Điều 10. Trách nhiệm thi hành

1. Cục Quản lý Dược có trách nhiệm chủ trì, phối hợp với các cơ quan chức năng thực hiện Thông tư này và cập nhật Quyết định sửa đổi, bổ sung Danh mục thuốc hiếm trên Cổng thông tin điện tử của Bộ Y tế và Trang thông tin điện tử của Cục Quản lý Dược trong thời hạn 03 ngày kể từ ngày Bộ trưởng Bộ Y tế ký quyết định.

2. Cơ sở dược, cơ sở khám bệnh, chữa bệnh có trách nhiệm:

- a) Thực hiện các quy định tại Thông tư này;
- b) Đề xuất sửa đổi, bổ sung Danh mục thuốc hiếm cho phù hợp tình hình thực tế, bảo đảm đáp ứng kịp thời thuốc phục vụ cho công tác phòng bệnh, chữa bệnh.

3. Chánh văn phòng Bộ, Chánh thanh tra Bộ, Vụ trưởng, Cục trưởng, Tổng cục trưởng thuộc Bộ Y tế, Thủ trưởng các cơ quan, đơn vị trực thuộc Bộ, Giám đốc Sở Y tế các tỉnh, thành phố trực thuộc Trung ương, Thủ trưởng cơ quan y tế các Bộ, ngành và các tổ chức, cá nhân liên quan chịu trách nhiệm thi hành Thông tư này.

Trong quá trình thực hiện nếu có vấn đề vướng mắc, đề nghị các cơ quan, tổ chức, cá nhân kịp thời phản ánh về Cục Quản lý Dược để xem xét, giải quyết./.

**KT. BỘ TRƯỞNG
THỨ TRƯỞNG**

Trương Quốc Cường

BỘ Y TẾ**CỘNG HÒA XÃ HỘI CHỦ NGHĨA VIỆT NAM****Độc lập - Tự do - Hạnh phúc****DANH MỤC THUỐC HIỂM**

(Kèm theo Thông tư số 26/2019/TT-BYT ngày 30 tháng 8 năm 2019
của Bộ trưởng Bộ Y tế)

I. Danh mục thuốc để phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiểm gặp

TT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng của thuốc hiểm	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiểm gặp
I. Thuốc hóa dược và sinh phẩm			
1	[gly2] Recombinant human glucagon-like peptide	Tiêm: Các dạng	- Điều trị hội chứng ruột ngắn (Short Bowel Syndrome)
2	Acalabrutinib	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh u lympho tế bào vò
3	Acetylcystein	Tiêm: Dung dịch tiêm	- Điều trị quá liều Acetaminophen từ trung bình đến nặng
4	Afatinib	Uống: Các dạng	- Điều trị ung thư phổi không tế bào nhỏ di căn có đột biến thụ thể yếu tố tăng trưởng biểu bì (EGFR) không kháng thuốc. - Điều trị cho bệnh nhân ung thư phổi không tế bào nhỏ (NSCLC), thuộc loại ung thư phổi tế bào vảy, tiến triển tại chỗ hoặc di căn, đang hoặc đã được hóa trị liệu bằng các dẫn chất của platin.
5	Agalsidase alfa	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh Fabry
6	Agalsidase beta	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh Fabry
7	Alectinib	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh nhân ung thư phổi không điển hình (ALK), ung thư phổi tế bào nhỏ không di căn (NSCLC), không bao gồm bệnh nhân tiến triển hoặc không dung nạp với crizotinib.