भारत सरकार
स्वास्थ्य और परिवार कल्याण मंत्रालय
स्वास्थ्य और परिवार कल्याण विभाग

लोक सभा
अतारांकित प्रश्न संख्या: 3062
09 अगस्त, 2024 को पूछे जाने वाले प्रश्न का उत्तर

दुर्लभ रोग के रोगियों को सहायता

3062. श्री अरुण भारती:

क्या **स्वास्थ्य और परिवार कल्याण मंत्री** यह बताने की कृपा करेंगे कि:

(क) राष्ट्रीय दुर्लभ रोग नीति की मुख्य विशेषताएं क्या हैं;
(ख) इस नीति के तहत पहचाने गए कुल दुर्लभ रोगों की संख्या और रोगियों को दी गई सहायता का ब्यौरा क्या है;
(ग) विगत तीन वर्षों के दौरान दुर्लभ रोगों के उपचार के लिए आबंटित और उपयोग किए गए बजट का ब्यौरा क्या है; और
(घ) विशेष रूप से बिहार में दुर्लभ रोग नीति से कितने रोगियों को लाभ मिला है?

उत्तर

स्वास्थ्य और परिवार कल्याण मंत्रालय में राज्य मंत्री (श्रीमती अनुप्रिया पटेल)

(क): स्वास्थ्य और परिवार कल्याण मंत्रालय ने मार्च, 2021 में राष्ट्रीय दुर्लभ रोग नीति (एनपीआरडी) शुरू की। एनपीआरडी, 2021 की प्रमुख विशेषताएं इस प्रकार हैं:

- दुर्लभ रोगों की पहचान की गई है और उन्हें नीचे दिए गए 3 समूहों में वर्गीकृत किया गया है:

  समूह 1: एकबारगी उपचारात्मक उपचार से ठीक होने वाले विकार

  समूह 2: अपेक्षाकृत कम उपचार लागत वाले दीर्घकालिक/आजीवन उपचार की आवश्यकता वाले रोग।

  समूह 3:- ऐसे रोग जिनके लिए निश्चित उपचार उपलब्ध तो है लेकिन इष्टतम रोगी लाभ, बहुत अधिक लागत और आजीवन चिकित्सा चुनौतीपूर्ण हैं।
- अब तक 12 (बारह) उत्कृष्टता केंद्र (सीओई) चिह्नित किए गए हैं, जो दुर्लभ रोगों के निदान, रोकथाम और उपचार की सुविधाओं वाले प्रमुख सरकारी विशिष्ट अस्पताल हैं। उत्कृष्टता केंद्रों की

सूची अनुलग्नक-I में है।

- दुर्लभ रोगों के इलाज हेतु वित्तीय सहायता प्राप्ति के लिए रोगी अपने नजदीकी या किसी भी उत्कृष्टता केंद्र से संपर्क कर सकता है।
- स्वास्थ्य और परिवार कल्याण मंत्रालय ने निजी उपयोग के लिए तथा सीओई के माध्यम से दुर्लभ रोगों के लिए आयातित दवाओं पर वस्तु एवं सेवा कर (जीएसटी) तथा मूल सीमा शुल्क पर व्यय विभाग से छूट प्राप्त की है।
- नीतिगत परिकल्पनानुसार, स्वास्थ्य अनुसंधान विभाग ने दुर्लभ रोगों के संबंध में अनुसंधान गतिविधियों को सुव्यवस्थित करने के लिए राष्ट्रीय दुर्लभ रोगों संबंधी चिकित्सा विज्ञान अनुसंधान एवं विकास संघ (एनसीआरडीटीआरडी) की स्थापना की है।

(ख): वर्तमान में, दुर्लभ रोगों के संबंध में केंद्रीय तकनीकी समिति (सीटीसीआरडी) की सिफारिश पर राष्ट्रीय दुर्लभ रोग नीति के तहत 63 दुर्लभ रोग शामिल हैं। दुर्लभ रोगों की सूची अनुलग्नक-II में दी गई है। दुर्लभ रोगों के लिए अधिसूचित उत्कृष्टता केंद्रों (सीओई) में उपचार के लिए प्रति रोगी 50 लाख रुपये तक की वित्तीय सहायता प्रदान की जाती है।

(ग): चालू वित्त वर्ष सहित पिछले तीन वर्षों के दौरान दुर्लभ रोगों के उपचार हेतु आवंटन तथा उपयोग किया गया बजट निम्नानुसार है:

(लाख रु. में)

वित्तीय वर्ष	उपचार हेतु समान्य सहायता अनुदान			**पुंजीगत आस्तियों के सृजन हेतु अनुदान**		
	बजन अनुमान	संशोधित अनुमान	आदिनांक व्यय	बजन अनुमान	संशोधित अनुमान	आदिनांक व्यय
2022-23	2500	3500	3499	-	-	-
2023-24	9284	7400	7400	5000	3500	3500
2024-25	8241	-	2420	2000	-	-

(घ): नीति के आरंभ से, एनपीआरडी के तहत कुल एक हजार एक सौ अठारह (1118) रोगियों को लाभ मिला है। राज्यवार डेटा उपलब्ध नहीं है, क्योंकि रोगी अपनी सुविधा के अनुसार देश में किसी भी सीओई से संपर्क कर सकते हैं।

दिनांक 09.08.2024 को उत्तर के लिए नियत लोक सभा अतारांकित प्रश्न संख्या 3062 के भाग (क) के उत्तर में संदर्भित अनुलग्नक-I

उत्कृष्ट केंद्रों की सूची

1. अखिल भारतीय आयुर्विज्ञान संस्थान, नई दिल्ली
2. मौलाना आज़ाद मेडिकल कॉलेज, नई दिल्ली
3. संजय गांधी स्नातकोत्तर आयुर्विज्ञान संस्थान, लखनऊ
4. स्नातकोत्तर चिकित्सा शिक्षा और अनुसंधान संस्थान, चंडीगढ़
5. डीएनए फ़िंगरप्रिंटिंग और डायग्नोस्टिक्स केंद्र, निज़ाम चिकित्सा विज्ञान संस्थान, हैदराबाद
6. किंग एडवर्ड मेडिकल अस्पताल, मुंबई
7. स्नातकोत्तर चिकित्सा शिक्षा और अनुसंधान संस्थान, कोलकाता
8. मानव आनुवंशिकी केंद्र (सीएचजी) इंदिरा गांधी अस्पताल, बेंगलुरु
9. बाल स्वास्थ्य संस्थान और बच्चों के लिए अस्पताल (आईसीएच और एचसी), चेन्नई
10. अखिल भारतीय आयुर्विज्ञान संस्थान (एम्स), जोधपुर
11. श्री अवित्तम थिरुनल अस्पताल (एसएटी), सरकारी मेडिकल कॉलेज, तिरुवनंतपुरम
12. अखिल भारतीय आयुर्विज्ञान संस्थान, भोपाल

दिनांक 09.08.2024 को उत्तर के लिए नियत लोक सभा अतारांकित प्रश्न संख्या 3062 के भाग (ख) के उत्तर में संदर्भित अनुलग्नक-II

राष्ट्रीय दुर्लभ रोग नीति, 2021 के अनुसार दुर्लभ रोगों की सूची

समूह 1: एक बारगी उपचारात्मक उपचार से ठीक होने वाले विकार:

(क) हेमाटोपोइएटिक स्टेम सेल प्रत्यारोपण (एचएससीटी) सहित उपचार के लिए उपयुक्त विकार

1. ऐसे लाइसोसोमल स्टोरेज विकार (एलएसडी) जिनके लिए एंजाइम रिप्लेसमेंट थेरेपी (ईआरटी) वर्तमान में उपलब्ध नहीं है और पहले 2 वर्षों की आयु के भीतर म्यूकोपॉलीसेकेरोइडोसिस (एमपीएस) टाइप-I का गंभीर रूप।
2. एड्रीनोल्यूकोडिस्ट्रॉफी (प्रारंभिक चरण), कठिन न्यूरोलॉजिकल संकेतों की शुरुआत से पहले।
3. प्रतिरक्षा की कमी से होने वाले विकार जैसे गंभीर संयुक्त प्रतिरक्षा की कमी (एससीआईडी), क्रोनिक ग्रैनुलोमैटस रोग, विस्कोट एल्ड्रिच सिंड्रोम आदि।
4. ऑस्टियोपेट्रोसिस
5. फैनकोनी एनीमिया

(ख) अंग प्रत्यारोपण वाले उपयुक्त विकार

1) लिवर प्रत्यारोपण - चयापचय यकृत रोग:

(i) टायरोसिनेमिया,

(ii) खराब चयापचय नियंत्रण, बहुमल्टीपल लिवर एडिनोमा, या हेपेटोसेलुलर कार्सिनोमा के लिए उच्च जोखिम या पर्याप्त सिरोसिस या लिवर डिसफंक्शन या प्रोगेसिव लिवर फेलियर के सबूत के कारण ग्लाइकोजन भंडारण विकार (जीएसडी) I, III और IV,

(iii) एमएसयूडी (मेपल सिरप मूत्र रोग),

(iv) यूरिया चक्र विकार,

(v) कार्बनिक एसिडेमिया।

2) गुर्दे का प्रत्यारोपण-

(i) फैब्री रोग

(ii) ऑटोसोमल रिसेसिव पॉलीसिस्टिक किडनी रोग (एआरपीकेडी),

(iii) ऑटोसोमल डोमिनेंट पॉलीसिस्टिक किडनी रोग (एडीपीकेडी) आदि।

3) यदि निधि की सीमा के तहत है तो संयुक्त यकृत और गुर्दा प्रत्यारोपण की आवश्यकता वाले रोगियों पर भी विचार किया जा सकता है। (दुर्लभ मिथाइल मैलोनिकैसिड्यूरिया के लिए संयुक्त लिवर और किडनी प्रत्यारोपण की आवश्यकता हो सकती है) आदि।

<u>नए जोड़े गए रोग</u>

1. लारोन सिंड्रोम
2. ग्लान्ज़मैन थ्रोम्बस्थेनिया रोग
3. जन्मजात हाइपरइंसुलिनमिक हाइपोग्लाइसीमिया
4. पारिवारिक होमोज़ीगस हाइपरकोलेस्ट्रोलेमिया
5. मैनोसिडोसिस
6. अल्फा 5 रिडक्टेज की कमी, आंशिक एंड्रोजन असंवेदनशीलता सिंड्रोम के कारण लिंग विकास का XY विकार
7. प्राथमिक हाइपरऑक्सालुरिया- टाइप-1

समूह 2: अपेक्षाकृत कम लागत वाले उपचार और लाभ वाले दीर्घकालिक / आजीवन उपचार की आवश्यकता वाले रोगों को साहित्य में प्रलेखित किया गया है और वार्षिक या अधिक लगातार निगरानी की आवश्यकता है:

(क) विशेष आहार सूत्र या विशेष चिकित्सा उद्देश्यों हेतु भोजन के साथ प्रबंधित विकार

1. फेनिलकोटोन्यूरिया (पीकेयू)
2. गैर-पीकेयू हाइपरफेनिलएलनिनेमिया स्थितियाँ
3. मेपल सिरप मूत्र रोग (एमएसयूडी)
4. टायरोसिनेमिया टाइप-1 और 2
5. होमोसिस्टिन्यूरिया
6. यूरिया साइकिल एंजाइम दोष
7. ग्लूटेरिक एसिड्यूरिया टाइप-1 और 2
8. मिथाइल मैलोनिक एसिडेमिया
9. प्रोपियोनिक एसिडेमिया
10. आइसोवालेरिक एसिडेमिया
11. ल्यूसीन संवेदनशील हाइपोग्लाइसीमिया

12. गैलेक्टोसिमिया
13. ग्लूकोज गैलेक्टोज मैलाबॉस्पशन
14. गंभीर खाद्य प्रोटीन एलर्जी

(ख) विकार जो अन्य प्रकार की चिकित्सा (हार्मोन/विशिष्ट दवाओं) के लिए उपयुक्त हैं

1. टायरोसिनेमिया टाइप-1 के लिए एनटीबीसी
2. ओस्टियोजेनेसिस इम्परफेक्टा - बिसफ़ॉस्फ़ोनेट्स थेरेपी
3. सिद्ध जीएच की कमी, प्रेडर विली सिंड्रोम, टर्नर सिंड्रोम और नूनान सिंड्रोम के लिए ग्रोथ हार्मोन थेरेपी।
4. सिस्टिक फाइब्रोसिस- अग्नाशयी एंजाइम पूरक
5. प्राथमिक प्रतिरक्षा कमी विकार - अंतःशिरा इम्युनोग्लोबुलिन और उप-त्वचीय चिकित्सा (आईवीआईजी) प्रतिस्थापन जैसे एक्स-लिंक्ड एगमैब्लोबुलिनेमिया आदि।
6. सोडियम बेंजोएट, आर्जिनिन, सिट्रूलिन, फेनिलएसीटेट (यूरिया चक्र विकार), कार्बाग्लू, मेगाविटामिन थेरेपी (ऑर्गेनिक एसिडेमिया, माइटोकॉन्ड्रियल विकार)
7. अन्य - तीव्र आंतरायिक पोरफाइरिया के लिए हेमिन (पैनहेमेटिन), उच्च खुराक हाइड्रोक्सोकोबालामिन इंजेक्शन (30 मिलीग्राम / एमएल फॉर्मूलेशन - भारत में उपलब्ध नहीं है और इसलिए आयात किए जाने पर महंगा है)
8. बड़े न्यूरल अमीनो एसिड, माइटोकॉन्ड्रियल कॉकटेल थेरेपी, सैप्रोप्टेरिन और विकारों के एक उपसमूह में सिद्ध नैदानिक प्रबंधन के अन्य ऐसे अणु
9. विल्सन की बीमारी
10. जन्मजात अधिवृक्क हाइपरप्लासिया (सीएएच)
11. नवजात शिशु की शुरुआत मल्टीसिस्टम सूजन रोग (एनओएमआईडी)

समूह 3: ऐसे रोग जिनके लिए निश्चित उपचार उपलब्ध तो है लेकिन इष्टतम रोगी लाभ, बहुत अधिक लागत और आजीवन चिकित्सा चुनौतीपूर्ण हैं।

(क) निम्नलिखित विकार संबंधी साहित्य के आधार पर अच्छे दीर्घकालिक परिणामों के लिए पर्याप्त सबूत मौजूद हैं-

1. गौचर रोग (टाइप-I और III {महत्वपूर्ण तंत्रिका संबंधी हानि के बिना})
2. हर्लर सिंड्रोम [म्यूकोपॉलीसेकेरिसोसिस (एमपीएस) टाइप-I] (कमजोर रूप)
3. हंटर सिंड्रोम (एमपीएस II) (कमजोर रूप)
4. पोम्पे रोग (जटिलताओं के विकास से पहले शिशु और देर से शुरू होने वाले दोनों का निदान)

5. फैब्री रोग का निदान महत्वपूर्ण अंत अंग क्षति से पहले किया जाता है।
6. रोग जटिलताओं के विकास से पहले एमपीएस आईवीए।
7. रोग जटिलताओं के विकास से पहले एमपीएस वीआई।
8. सिस्टिक फाइब्रोसिस के लिए डीएनएएएसई।

(ख) निम्नलिखित विकार जिनके उपचार की लागत बहुत अधिक है और या तो दीर्घकालिक अनुवर्ती साहित्य की प्रतीक्षा है या कम संख्या में रोगियों पर किया गया है-

1. सिस्टिक फाइब्रोसिस (पोटेंशिएटर)
2. ड्यूचेन मस्कुलर डिस्ट्रॉफी (एंटेसेंस ऑलिगोन्युक्लेटाइड्स, पीटीसी)
3. स्पाइनल मस्कुलर एट्रोफी (एंटीसेंस ऑलिगोन्युक्लेटाइड्स दोनों अंतःशिरा और मौखिक और जीन थेरेपी)
4. वोलमैन रोग
5. हाइपोफॉस्फेटेसिया
6. न्यूरोनल सेरोइड लिपोफ्यूशिनोसिस

<u>नए जोड़े गए रोग</u>

1. हाइपोफॉस्फेटिक रिकेट्स
2. एटिपिकल हेमोलिटिक यूरेमिक सिंड्रोम (एएचयूएस)
3. सिस्टिनोसिस
4. वंशानुगत एंजियोएडीमा

*****