

Протокол №28

**групи технічного супроводу Постійної робочої групи МОЗ з питань профільного супроводу державних закупівель медикаментів для дітей, хворих на муковісцидоз, лікувального харчування для дітей, хворих на фенілкетонурію, медикаментів для громадян, які страждають на хворобу Гоше, мукополісахаридоз, орфанні метаболічні захворювання, легеневу артеріальну гіпертензію, лікарських засобів та виробів медичного призначення для громадян, які страждають на бульозний епідермоліз
від 19.09.2018**

У частині «Закупівля медикаментів для громадян, які страждають на мукополісахаридоз»

Група технічного супроводу Постійної робочої групи МОЗ з питань профільного супроводу державних закупівель медикаментів для дітей, хворих на муковісцидоз, лікувального харчування для дітей, хворих на фенілкетонурію, медикаментів для громадян, які страждають на хворобу Гоше, мукополісахаридоз, орфанні метаболічні захворювання, легеневу артеріальну гіпертензію, лікарських засобів та виробів медичного призначення для громадян, які страждають на бульозний епідермоліз (далі-Група) у складі: Волосовець. І.П., Носовська Н.С, Ярмо Л.В., Баранько О.В., Буряченко О.В., Палатний А.О., Листовнича В.В., Картавцев Р.Л., Александрова О.В., Волошина Л.М., Тутук В.В., Тимощук Н.Л., Пасхальна О.О., Сохань О.А.

Порядок денний:

Розгляд листа Департаменту з фінансово-економічних питань, бухгалтерського обліку та фінансової звітності від 17.09.2018 № 10.5-20/2398 з інформацією для визначення орієнтовної вартості лікарських засобів та медичних виробів, що закуповуватимуться на виконання державних цільових програм та комплексних заходів програмного характеру за державні кошти 2019 року за бюджетною програмою за КПКВК 2301400 «Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру», у тому числі у частині «Закупівля медикаментів для громадян, які страждають на мукополісахаридоз».

Обговорення:

Членам Групи запропоновано для розгляду лист Департаменту з фінансово-економічних питань, бухгалтерського обліку та фінансової звітності від 17.09.2018 № 10.5-20/2398 з інформацією для визначення орієнтовної вартості лікарських засобів та медичних виробів, що закуповуватимуться на виконання державних цільових програм та комплексних заходів програмного характеру за державні кошти 2019 року за бюджетною програмою за КПКВК 2301400 «Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру», у тому числі у частині «Закупівля медикаментів для громадян, які страждають на мукополісахаридоз».

У листі повідомлено, що орієнтовна вартість лікарських засобів та медичних виробів, що закуповуватимуться на виконання державних цільових програм та комплексних заходів програмного характеру за державні кошти, у відповідному бюджетному році визначається відповідно до пункту 6 Порядку підготовки пропозицій до номенклатури лікарських засобів, виробів медичного призначення, медичної техніки та інших товарів, робіт і послуг, що закуповуються на виконання державних цільових програм та комплексних заходів програмного характеру МОЗ України, затвердженого наказом МОЗ України від 02.03.2017 № 199 (із змінами).

За результатами обговорення Членами Групи вирішено:

1. Взяти до уваги інформацію, викладену у листі Департаменту з фінансово-економічних питань, бухгалтерського обліку та фінансової звітності від 17.09.2018 № 10.5-20/2398 стосовно визначення орієнтовної вартості лікарських засобів та медичних виробів, що закуповуватимуться на виконання державних цільових програм та комплексних заходів програмного характеру за державні кошти 2019 року за бюджетною програмою за КПКВК 2301400 «Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру», у тому числі у частині «Закупівля медикаментів для громадян, які страждають на мукополісахаридоз».

2. Запропонувати нову редакцію номенклатури лікарських засобів, що закуповуватимуться у 2019 році у частині «Закупівля медикаментів для громадян, які страждають на мукополісахаридоз», підготовлену групою експертів та фахівців, що залучаються до роботи Постійної робочої групи МОЗ України з питань профільного супроводу державних закупівель за напрямком «Централізована закупівля медикаментів для громадян, які страждають на мукополісахаридоз» (протокол від 27.08.2018 № 5) та викладену у протоколі Групи від 27.08.2018 № 27 з урахуванням інформації, викладеної у листі Департаменту з фінансово-економічних питань, бухгалтерського обліку та фінансової звітності від 17.09.2018 № 10.5-20/2398.

I. Обґрунтування визначення номенклатури Мукополісахаридоз – спадкове захворювання, що відноситься до рідкісних (орфанних) та зустрічається з частотою 1:100 000 і рідше. Це гетерогенна група порушень обміну речовин, що характеризується недостатністю лізосомних ферментів, які розщеплюють глікозаміноглікани, що в результаті призводить до внутрішньоклітинного накопичення цих речовин у різних органах і системах, в частині випадків – у центральній нервовій системі з подальшим розвитком розумової відсталості. Тяжкі форми призводять до передчасної смерті. Кожний тип мукополісахаридозу зумовлений недостатністю конкретного лізосомного ферменту, характеризується різним спектром порушень органів з швидкою чи більш повільною динамікою, і потребує корекції саме цим ферментом. Завдяки успіхам молекулярної біології і генетики, протягом останніх десятиліть були розроблені, пройшли клінічні випробування і успішно впроваджується з хорошим клінічним ефектом білкові рекомбінантні препарати замісної ферментотерапії мукополісахаридозу, II, VI та IV типів. У

зв'язку із замісним характером лікування мукополісахаридозу введення препарату повинно здійснюватись протягом усього життя, постійно, безперервно, у повній дозі, що розраховується на 1 кг маси тіла. При відсутності або припиненні специфічного лікування стан хворого прогресивно погіршується і досить швидко може настати фатальний кінець.

Закупівля препаратів для лікування мукополісахаридозу за кошти державного бюджету дозволить поліпшити доступ громадян з одним із тяжких інвалідизуючих спадкових лізосомних захворювань до сучасної патогенетичної терапії, забезпечити своєчасну терапію розладів відповідно до принципів доказової медицини, підвищити ефективність медико-соціальної реабілітації.

II. Мета закупівлі Забезпечення медикаментозним лікуванням громадян, які страждають на мукополісахаридоз I, II, VI та IV типів.

III. Основні положення Основним методом лікування мукополісахаридозу є ферментозамісна терапія. Розроблене патогенетичне лікування для мукополісахаридозу I, II, VI та IV типів дозволяє компенсувати спадково обумовлений дефіцит ферментів. Лише таке лікування, яке має компенсаторний або замісний характер, може не лише подовжити тривалість життя дитини, але й зменшити тяжкість проявів захворювання, покращити якість життя хворих.

З 2003 року для ферментозамісної терапії МПС I використовують ларонідазу. Ларонідаза – це аналог α -L-ідуронідази людини, який виробляється за рекомбінантною ДНК-технологією. Під дією препарату відбувається гідроліз глікозамінгліканів, що запобігає подальшому накопиченню дерматин- та геперансульфатів. Внаслідок цього зменшується інтенсивність проявів таких симптомів хвороби, як гепатоспленомегалія, збільшується амплітуда рухів в суглобах, суттєво підвищується денна активність хворих, зменшуються прояви респіраторних порушень, покращується якість життя хворих.

З 2005/6 року для ферментозамісної терапії при МПС II використовують ідурсульфазу. Ідурсульфазу – аналог ідуронат-2-сульфатази людини, який виробляється за рекомбінантною ДНК-технологією. Під дією препарату відбувається гідроліз глікозамінглікану, що запобігає подальшому накопиченню дерматан- та геперансульфатів. Внаслідок цього зменшується інтенсивність проявів таких симптомів хвороби, як гепатоспленомегалія, збільшується амплітуда рухів в суглобах, суттєво підвищується денна активність хворих, зменшуються прояви або не розвиваються кардіальні порушення, покращується якість життя хворих.

З 2005/6 року для ферментозамісної терапії при лікуванні МПС VI використовують галсульфазу. Галсульфазу – аналог N-ацетил-галактозамін-4-сульфатази людини, який виробляється за рекомбінантною ДНК-технологією. Під дією препарату відбувається гідроліз глікозамінглікану, що запобігає подальшому накопиченню дерматансульфату, внаслідок цього зменшується інтенсивність проявів таких симптомів хвороби, як гепатоспленомегалія, збільшується амплітуда рухів в суглобах, суттєво підвищується денна активність хворих, зменшуються прояви або не розвиваються кардіальні порушення, покращується якість життя хворих.

У 2017 році започатковано закупівлю за кошти державного бюджету препарату Елосульфазу альфа, який є єдиним у світі лікувальним засобом для терапії пацієнтів, хворих на мукополісахаридоз IVA типу.

Елосульфаза альфа є першим в світі лікарським засобом, що використовується в якості засобу для лікування синдрому Моркіо, форми А (відомого також під назвою мукополісахаридозу IVA типу (МПС IVA)), та першим і єдиним методом лікування (серед фармакологічних або будь-яких інших засобів), що впливає на біологічну першопричину захворювання. В країнах Європи в якості засобу для лікування пацієнтів усіх вікових категорій з МПС IVA цей препарат використовується з квітня 2014 року.

Закупівля препаратів для лікування громадян, які страждають на мукополісахаридоз дозволяє забезпечити програмну безперервну ферментозамісну терапію (яка є патогенетичним життєво необхідним лікуванням), що дає можливість проводити лікування за сучасними світовими стандартами і запобігти прогресуванню захворювання, суттєво підвищити якість життя цієї категорії хворих та запобігти ранній смерті пацієнтів, тому за основу взято номенклатуру лікарських засобів, що закуповувались за кошти державного бюджету 2018 року за КПКВК 2301400 «Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру» у частині «Закупівля медикаментів для громадян, які страждають на мукополісахаридоз».

**Пропозиції до номенклатури лікарських засобів, що закуповуватимуться у 2019 році
У частині «Закупівля медикаментів для громадян, які страждають на мукополісахаридоз»**

№ з/п	Міжнародна непатентована назва лікарського засобу	Форма випуску, дозування	Наявність інформації про лікарський засіб в Державному реєстрі лікарських засобів України	Наявність затвердження протоколу лікування (наказ МОЗ України від №)	Відповідність Державному формуляру лікарських засобів або інших доказових джерел	Ціна відповідно до інформації із загальновідомих та доступних джерел, або ціна закупівлі за результатами процедури у попередньому бюджетному періоді (якщо такі закупівлі проводились)
1	Елосульфаза альфа	концентрат для розчину для інфузій, флакон 5 мл, № 1, 1 мг/мл	+	-	-	26 409,46
2	Ларонідаза	концентрат для розчину для інфузій, флакон 5 мл, № 1 100 ОД/мл	+	2015/90	БНФ	15 681,55
3	Ідурсульфаза	концентрат для розчину для інфузій, флакон 3 мл; по 1 флакону в картонній коробці 2 мг/мл	+	2015/90	БНФ	96 088,65

✓ 4	Галсульфаза	концентрат для розчину для інфузій, флакон 5 мл, № 1 1 мг/мл	+	2015/90	БНФ	41 777,67
-----	-------------	---	---	---------	-----	-----------