

ЗАТВЕРДЖЕНО
Наказ Міністерства охорони
здоров'я України
17 грудня 2019 року № 2498
(у редакції наказу Міністерства
охорони здоров'я України
від 6 жовтня 2023 року № 1755)

Методичні рекомендації планування та розрахунку потреби у лікарських засобах для пацієнтів, які страждають на спінальну м'язову атрофію

I. Загальна частина

1. Спінальна м'язова атрофія (далі – СМА) – рідкісне (орфанне) нервово-м'язове захворювання, яке спричинене мутацією у гені SMN1 та призводить до втрати мотонейронів та атрофії м'язів, як наслідок ранньої смерті. СМА має різні типи, які залежать від часу появи та рівня вираженості проявів захворювання.

2. Переліком лікарських засобів, що закуповуються за договорами керованого доступу, затвердженим Кабінетом Міністрів України від 07 березня 2022 року № 216 передбачена закупівля лікарського засобу риздиплам для лікування пацієнтів зі спінальною м'язовою атрофією.

3. Для розробки даних Методичних рекомендацій використовувалися джерела клінічних настанов, визначені додатком 4 до Методики розробки та впровадження медичних стандартів медичної допомоги на засадах доказової медицини, затвердженої наказом Міністерства охорони здоров'я України від 28 вересня 2012 року № 751 «Про створення та впровадження медико-технологічних документів зі стандартизації медичної допомоги в системі Міністерства охорони здоров'я України» (із змінами), зареєстрованим в Міністерстві юстиції України від 29 листопада 2012 року за № 2001/22313, а також висновок уповноваженого органу з державної оцінки медичних технологій: риздиплам від 08 грудня 2021 року, інформація зазначена в досьє заявника (ТОВ «Рош Україна» від імені Ф. Хоффманн-Ля-Рош Лтд, Швейцарія) на проведення державної оцінки медичних технологій лікарського засобу риздиплам (показання до медичного застосування за яким подавалася заява, заявлена когорта пацієнтів, дані щодо достовірності результатів порівняльної клінічної ефективності та безпеки заявленого лікарського засобу), *Diagnosis and management of spinal muscular atrophy: Part 1: Recommendations for diagnosis, rehabilitation, orthopedic and nutritional care* (Mercuri et al. 2018), *Diagnosis and management of spinal muscular atrophy: Part 2: Pulmonary and acute care;*

medications, supplements and immunizations; other organ systems; and ethics (Finkel et al. 2018).

II. Формування потреби

1. Режим дозування лікарського засобу рисдиплам залежить від віку та маси тіла пацієнта:

Вік та маса тіла	Рекомендована добова доза
від 2 місяців до < 2 років	0,20 мг/кг
≥ 2 роки та маса тіла < 20 кг	0,25 мг/кг
≥ 2 роки та маса тіла ≥ 20 кг	5 мг

2. Критерії, за відповідності яким рекомендовано врахування потреби пацієнта у лікарському засобі рисдиплам (далі – Критерії призначення) наступні:

1) пацієнт громадянин України, який постійно проживає на території України;

2) пацієнт має молекулярно-генетичне підтвердження 1-го типу 5q-СМА:
для пацієнтів виявлених під час неонатального скринінгу – число копій гена SMN2 складає 2 або 3 копії;

для інших пацієнтів число копій гена SMN2 складає 2 або 3 копії, а також наявність клінічних проявів 1-ого типу СМА;

б) відсутність потреби у постійній вентиляції легень (інвазивної вентиляції з трахеостомією або неінвазивної вентиляції легень більше 16 годин на день);

5) відсутність поточного лікування лікарським засобом нусінерсен;

б) відсутність протипоказань до застосування лікарського засобу рисдиплам;

7) дотримання вимог з супроводу пацієнтів із СМА, до яких відносяться (далі – Вимоги з супроводу):

оцінка показників розвитку моторної функції за моторними шкалами відповідно до функціонального стану пацієнта та його віку (первинна оцінка та кожні 6 місяців відповідно):

шкала дитячої лікарні Філадельфії для визначення нервово-м'язових розладів у немовлят (Children's Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular Disorders (CHOP-INTEND));

шкала Неврологічного обстеження немовлят за Хаммерсмітом (Hammersmith Infant Neurological Examination (NINE-2));

оцінка рухової функції при нервово-м'язових захворюваннях (Motor Function Measure-32 items (MFM32/MFM));

функціональна рухова шкала Хаммерсміт (Expanded Hammersmith Functional Motor Scale (HFMS/HFMS[E]));

модуль для оцінки верхніх кінцівок (Revised Upper Limb Module (RULM));

оцінка дихальних функцій (кожні 6 місяців);

лабораторні тести (через один місяць від початку лікування і кожні наступні 6 місяців):

- тест на креатинін (Cr);
- тест азоту сечовини крові (BUN);
- функціональні проби печінки (LFT);
- загальний аналіз крові (CBC).

мінеральна денситометрія (щорічно або за потреби);
рентгенографія хребта (щорічно або за потреби).

3. За невідповідності одному та більше Критеріїв призначення не рекомендовано врахування потреби пацієнтів у лікарському засобі ризидиплам.

4. Критерії, за відповідності яким рекомендована відміна врахування потреби пацієнтів у лікарському засобі ризидиплам (далі – Критерії відміни):

- 1) відсутність регулярних відвідувань лікуючого лікаря для дотримання Вимог з супроводу;
- 2) відмова пацієнта або його батьків (опікунів) продовжувати лікування, в тому числі по причині відсутності ефекту від лікування;
- 3) наявність серйозних побічних реакцій;
- 4) невідповідність одному та більше Критеріям призначення.

5. Перерахунок кількості лікарського засобу ризидиплам здійснюється відповідно до правил округленням чисел.

6. Розподіл лікарського засобу ризидиплам здійснюється на основі розрахунків Національної дитячої спеціалізованої лікарні «Охматдит» МОЗ України, які надаються за результатами оцінки відповідності пацієнтів усім Критеріям призначення та відсутності Критеріїв відміни за результатами опрацювання власних даних та/або даних наданих структурними підрозділами з питань охорони здоров'я обласних, Київської та Севастопольської міських державних адміністрацій.

7. Національна дитяча спеціалізована лікарня «Охматдит» МОЗ України надає до МОЗ та державного підприємства «Медичні закупівлі України» інформацію щодо пацієнтів в розрізі адміністративно-територіальних одиниць з зазначенням, маси тіла, місяця та року народження, діагнозу пацієнтів, відповідності Критеріям призначення та наявності Критеріїв відміни тощо, для здійснення відповідного розподілу.

III. Результативні показники, що характеризують виконання бюджетної програми

№ п/п	Показники	Одиниці виміру	Джерело інформації	Прогнозовані показники (кількість, відсоток)
--------------	------------------	-----------------------	---------------------------	---

1	продукту			
1.1	Кількість пацієнтів, хворих на спінальну м'язову атрофію, які отримують лікування	осіб	Внутрішньогосподарський (управлінський) облік	
2	якості			
2.1	Забезпечення медикаментами пацієнтів, хворих на спінальну м'язову атрофію	відсоток	Заявки регіонів, реєстри, звіти	
3	ефективності			
3.1	Середні витрати лікарського засобу на одного пацієнта хворого на спінальну м'язову атрофію на рік	одиниць (пляшок)	Внутрішньогосподарський (управлінський) облік	

Директор
Департаменту медичних послуг

Тетяна ОРАБІНА