

Методичні рекомендації планування та розрахунку потреби у лікарських засобах для громадян, які страждають на орфанні метаболічні захворювання

I. Загальна частина

1. Орфанні метаболічні хвороби – це велика група спадкових захворювань, при яких є генетичні аномалії певних ферментів, що призводить до порушень обміну речовин в організмі.

2. За програмою по лікуванню орфанних метаболічних хвороб станом на 01.01.2019 передбачена закупівля за кошти державного бюджету наступних МНН:

Алглюкозидаза альфа, порошок для приготування концентрату для розчину для інфузій, 50 мг – для хвороби Помпе;

Агалсидаза альфа, концентрат для розчину для інфузій, 1 мг/мл по 3,5 мл у флаконах № 1 – для хвороби Фабрі;

Агалсидаза бета, порошок для приготування концентрату для розчину для інфузій, 35 мг – для хвороби Фабрі;

Агалсидаза бета, порошок для приготування концентрату для розчину для інфузій, 5 мг – для хвороби Фабрі;

Нітизинон, тверді капсули, 2 мг – для тирозинемії типу I;

Нітизинон, тверді капсули, 5 мг – для тирозинемії типу I;

Нітизинон, тверді капсули, 10 мг – для тирозинемії типу I;

Сапроптерину дигідрохлорид, таблетки, 100 мг – для гіперфенілаланінемії.

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 Мін'юсті України 29.11.2012 за № 2001/22313, а також адаптована клінічна настанова щодо хвороби Фабрі (КНп 2019-01) і BMJ Best Practice “Common hereditary lysosomal storage diseases” guideline.

II. Формування потреби

1. Потреба в препараті алглюкозидаза альфа розраховується у відповідності до ваги пацієнта. Його разове дозування становить 20 мг на 1 кг

маси тіла пацієнта. Вводиться препарат внутрішньовенно, раз на два тижні, тобто його річна потреба на одного хворого становить 26 разових доз.

2. Потреба в препараті агалсидаза альфа розраховується у відповідності до ваги пацієнта. Його разове дозування становить 0,2 мг на 1 кг маси тіла пацієнта. Вводиться препарат внутрішньовенно, раз на два тижні, тобто його річна потреба на одного хворого становить 26 разових доз.

3. Потреба в препараті агалсидаза бета розраховується у відповідності до ваги пацієнта. Його разове дозування становить 1 мг на 1 кг маси тіла хворого. Вводиться препарат внутрішньовенно, раз на два тижні, тобто його річна потреба на одного хворого становить 26 разових доз.

4. Потреба в препараті сапроптерину гідрохлорид розраховується у відповідності до ваги пацієнта. Його разове дозування становить 10 мг на 1 кг маси тіла пацієнта. Препарат приймається один раз на день. Річна потреба в препараті на одного пацієнта становить 365 разових доз.

5. Потреба в препараті нітизенон розраховується у відповідності до ваги пацієнта. Його разова доза визначається з розрахунку 1 мг на 1 кг маси тіла пацієнта. Препарат необхідно приймати щодня, тобто його річна потреба на одного пацієнта становить 365 разових дозувань.

6. У разі внесення змін до Переліків лікарських засобів та медичних виробів, які закупаються на підставі угод щодо закупівлі із спеціалізованими організаціями, які здійснюють закупівлі за напрямами використання бюджетних коштів за програмою «Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру», розрахунок потреби у нових лікарських засобах та медичних виробках має відбуватись згідно з інструкціями для медичного застосування лікарських засобів та інструкціями щодо застосування (використання) медичних виробів, а також у відповідності до наказу Міністерства охорони здоров'я України від 28.09.2012 № 751 «Про створення та впровадження медико-технологічних документів зі стандартизації медичної допомоги в системі Міністерства охорони здоров'я України» (із змінами), зареєстрованого в Мін'юсті України 29.11.2012 за № 2001/22313.

7. Розрахунок потреби в препаратах для лікування громадян, які страждають на орфанні метаболічні захворювання, здійснюється на основі даних від структурних підрозділів з питань охорони здоров'я обласних, Київської та Севастопольської міських державних адміністрацій щодо кількості громадян, які страждають на орфанні метаболічні захворювання, в розрізі адміністративно-територіальних одиниць з зазначенням маси тіла, місяця та року народження, діагнозу пацієнтів. Необхідно також зазначити назви лікарських засобів та медичних виробів, відповідно до затвердженої номенклатури, а також дозування на одиницю вимірювання, кількість застосувань на рік, кількість одиниць на разове застосування, кількість одиниць лікарських засобів та медичних виробів на рік, наявні коментарі тощо.

III. Принцип розподілу видатків у розрізі територій

1. Розподіл здійснюється відповідно до кількості громадян, які страждають на орфанні метаболічні захворювання, та реєстру НДСЛ «ОХМАТДИТ» станом на 01.01 поточного року.

IV. Результативні показники, що характеризують виконання бюджетної програми

№ п/п	Показники	Одиниці виміру	Джерело інформації	Прогнозовані показники (кількість, відсоток)
1	продукту			
1.1	Кількість пацієнтів, які страждають на орфанні метаболічні захворювання	Осіб	Реєстр НДСЛ «ОХМАТДИТ»	
2	якості			
2.1	Рівень забезпечення пацієнтів від запланованого	Відсоток	Реєстр НДСЛ «ОХМАТДИТ» або заявки регіонів	

**Заступник директора Департаменту –
начальник відділу з питань надання
медичних послуг населенню
Департаменту впровадження реформ**

А. Гаврилюк