

ЗАТВЕРДЖЕНО

Наказ Міністерства охорони
здоров'я України
17.12.2019 № 2498

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 генетичні аномалії певних ферментів, призводять до порушень обміну речовин в організмі. До цієї групи захворювань входить зокрема наступні захворювання:

хвороба Гоше – це рідкісне генетичне захворювання, при якому порушена функція ферменту глюкоцереброзидаза, що призводить до накопичення глюкоцереброзидів у макрофагах та моноцитах;

мукополісахаридози (далі – МПС) – це група рідкісних метаболічних порушень, викликаних відсутністю або несправністю лізосомальних ферментів, необхідних для регулюції обміну глікозаміногліканів, що призводить до їх накопичення в організмі (хвороби накопичення);

хвороба Помпе – це лізосомна хвороба накопичення, викликана дефіцитом кислої α -глюкозидази (далі – GAA), ферменту, який розщеплює лізосомний глікоген до глюкози. Дефіцит GAA призводить до накопичення глікогену і в кінцевому підсумку до розриву лізосом, в результаті чого виникає клітинна дисфункція у багатьох тканинах організму, особливо у м'язових волокнах.

хвороба Фабрі – це X-зчеплена лізосомна хвороба накопичення, яка викликається мутаціями в гені GLA, що призводять до недостатньої активності α -галактозидази A, накопичення глікосфінголіпідів та небезпечних для життя ускладнень.

тирозинемія типу 1 – це спадкове аутосомно-рецесивне порушення катаболізму тирозину, викликане порушенням активності фуарілацетоацетат гідролази і пов'язане з мутаціями в гені FAH.

2. У переліку лікарських засобів та медичних виробів, які закупаються для виконання програм та здійснення централізованих заходів з охорони здоров'я передбачена закупівля за кошти державного бюджету наступних МНН для лікування орфанних метаболічних захворювань: алглюкозидаза альфа (для лікування пацієнтів з хворобою Помпе), агалсидаза альфа (для лікування пацієнтів з хворобою Фабрі), агалсидаза бета (для лікування пацієнтів з хворобою Фабрі), нітязинон (для лікування пацієнтів з тирозинемією типу I), сапроптерин (для лікування пацієнтів з гіперфенілаланініемією), іміглюцераза (для лікування пацієнтів з хворобою Гоше), велаглюцераза альфа (для

лікування пацієнтів з хворобою Гоше), таліглуцераза альфа (для лікування пацієнтів з хворобою Гоше), ларонідаза (для лікування пацієнтів з МПС типу I), ідурсульфаз (для лікування пацієнтів з МПС типу II), елосульфаз альфа (для лікування пацієнтів з МПС типу IVa), галсульфаз (для лікування пацієнтів з МПС типу VI).

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 адаптована клінічна настанова, щодо хвороби Гоше (КН 2015-529), уніфіковані клінічні протоколи для мукополісахаридозу типу I (ГС 2015-90), типу II (ГС 2015-90-1) та типу VI (ГС 2015-90-2), 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 препаратах іміглуцераза, велаглуцераза альфа, таліглуцераза альфа визначається з розрахунку 45 ОД на 1 кг маси тіла хворого. Пацієнти, що використовують ферментну замісну терапію (іміглуцераза, велаглуцераза альфа, таліглуцераза альфа) можуть бути переведені на інші препарати з цієї групи у тій самій дозі (Pharmacotherapy of Gaucher Disease: Current and Future Options, 2018). У пацієнтів з хворобою Гоше типу 1 може застосовуватись іміглуцераза, велаглуцераза альфа, таліглуцераза альфа, у пацієнтів з хворобою Гоше типу 3 рекомендується застосування іміглуцерази. Препарат вводиться внутрішньовенно 1 раз на 2 тижні. Тому, разова потреба розраховується у відповідності до ваги хворого. Річна потреба становить 26 разових доз на пацієнта.

Σ (річна потреба в ОД) = а (маса пацієнта) x b (дозування на кг маси тіла) x 26 (кількість застосувань на рік).

2. Потреба у препараті ларонідаза визначається з розрахунку 100 ОД на 1 кг маси тіла. Препарат вводиться раз на тиждень, тобто його річна потреба становить 52 дози.

Σ (річна потреба в ОД) = а (маса пацієнта) x 100 ОД (дозування на кг маси тіла) x 52 (кількість застосувань на рік).

3. Потреба у препараті ідурсульфаз визначається з розрахунку 0,5 мг на 1 кг маси тіла. Препарат вводиться раз на тиждень, тобто його річна потреба становить 52 дози.

Σ (річна потреба в мг) = а (маса пацієнта) x 0,5 мг (дозування на кг маси тіла) x 52 (кількість застосувань на рік).

4. Потреба у препараті елосульфаза альфа визначається з розрахунку 2 мг на 1 кг маси тіла. Препарат вводиться раз на тиждень, тобто його річна потреба становить 52 дози.

Σ (річна потреба в мг) = а (маса пацієнта) x 2 мг (дозування на кг маси тіла) x 52 (кількість застосувань на рік).

5. Потреба у препараті галсульфаза визначається з розрахунку 1 мг на 1 кг маси тіла. Препарат вводиться раз на тиждень, тобто його річна потреба становить 52 дози.

Σ (річна потреба в мг) = а (маса пацієнта) x 1 мг (дозування на кг маси тіла) x 52 (кількість застосувань на рік).

6. Потреба в препараті алглюкозидаза альфа визначається з розрахунку 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.

Σ (річна потреба в мг) = а (маса пацієнта) x 20 мг (дозування на кг маси тіла) x 26 (кількість застосувань на рік).

7. Потреба в препараті агалсидаза альфа визначається з розрахунку 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.

Σ (річна потреба в мг) = а (маса пацієнта) x 0,2 мг (дозування на кг маси тіла) x 26 (кількість застосувань на рік).

8. Потреба в препараті агалсидаза бета визначається з розрахунку 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.

Σ (річна потреба в мг) = а (маса пацієнта) x 1 мг (дозування на кг маси тіла) x 26 (кількість застосувань на рік).

9. Потреба в препараті сапроптерин визначається з розрахунку 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.

Σ (річна потреба в мг) = а (маса пацієнта) x 10 мг (дозування на кг маси тіла) x 365 (кількість застосувань на рік).

10. Потреба в препараті нітизинон 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.

Σ (річна потреба в мг) = а (маса пацієнта) x 1 мг (дозування на кг маси тіла) x 365 (кількість застосувань на рік).

11. Для окремих пацієнтів можуть використовуватись режими лікування з меншою частотою використання препаратів та меншими дозуванням.

12. Перерахунок кількості препарату здійснюється відповідно до правил округленням чисел.

13. У разі внесення змін до переліку лікарських засобів та медичних виробів, які закупаються за напрямом використання бюджетних коштів за програмою «Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру», розрахунок потреби у нових лікарських засобах та медичних výroбах 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 вересня 2012 року № 751 «Про створення та впровадження медико-технологічних документів зі стандартизації медичної допомоги в системі Міністерства охорони здоров'я України» (із змінами), зареєстрованого в Міністерстві юстиції України 29 листопада 2012 року за № 2001/22313.

15. Розрахунок потреби в препаратах для лікування громадян, які страждають на орфанні метаболічні захворювання здійснюється на основі даних структурних підрозділів з питань охорони здоров'я обласних, Київської та Севастопольської міських державних адміністрацій щодо кількості громадян, які страждають на хворобу Гоше, мукополісахаридози, хворобу Помпе, хворобу Фабрі, тирозинемію типу 1, гіперфенілаланінемію тощо, в розрізі адміністративно-територіальних одиниць з зазначенням, маси тіла, місяця та року народження, діагнозу пацієнтів, клінічних показників тощо. Зазначається також інформація про лікуючого лікаря, про рішення комісії (підкомісії) для визначення необхідності в призначенні, відміні, перерозподілі лікарських засобів та відповідних харчових продуктів для спеціального дієтичного споживання, що закупаються за рахунок коштів державного бюджету, а також інших джерел, не заборонених законодавством, у тому числі гуманітарної допомоги, громадянам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання (далі – Комісії). 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

1. Розподіл видатків державного бюджету здійснюється відповідно до інформації про громадян, які страждають на орфанні метаболічні захворювання, у адміністративно-територіальних одиницях або закладах охорони здоров'я, що отримана з останніх доступних заявок, реєстрів або звітів.

IV. Результативні показники, що характеризують виконання бюджетної програми

№ п/п	Показники	Одиниці виміру	Джерело інформації	Прогнозовані показники (кількість, відсоток)
1	продукту			
1.1	Кількість громадян, хворих на орфанні метаболічні захворювання, які забезпечені лікуванням	Осіб	Заявки регіонів, реєстри, звіти	

2	якості			
2.1	Забезпечення медикаментами громадян, хворих на орфанні метаболічні захворювання	Відсоток	Заявки регіонів, реєстри, звіти	
3	ефективності			
3.1	Середні витрати на закупівлю медикаментів для одного громадянина, хворого на орфанне метаболічне захворювання	Тис. грн	Внутрішньогоспод арський (управлінський) облік	

**Генеральний директор
Директорату медичних послуг**

О. Сухорукова