

ЗАТВЕРДЖЕНО

Наказ Міністерства охорони
здоров'я України
17.12.2019 № 2498

Методичні рекомендації планування та розрахунку потреби у лікарських засобах для лікування дорослих та дітей хворих на муковісцидоз

I. Загальна частина

1. Муковісцидоз – це найпоширеніше моногенне спадкове захворювання з аутосомно-рецесивним типом успадкування, яке можна охарактеризувати як універсальну екзокринопатію.

2. Спричинюється мутацією гену, який кодує мембранний білок «трансмембранний регулятор муковісцидозу» (CFTR), який є каналом іонів хлору у мембранах епітеліальних клітин, регулятором інших іонних каналів і відповідає за транспортування бікарбонатів. Найбільш поширеною ($\approx 66\%$) аномалією гена CFTR є F508del.

3. 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 окремих когорт хворих на муковісцидоз: дорназа альфа, панкреатин, колістиметат натрію.

4. 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 Уніфікований клінічний протокол первинної, вторинної (спеціалізованої) та третинної (високоспеціалізованої) медичної допомоги «Муковісцидоз», затверджений наказом Міністерства охорони здоров'я України від 15 липня 2016 року № 723 «Про затвердження та впровадження медико-технологічних документів зі стандартизації медичної допомоги при муковісцидозі» та інструкції до застосування препаратів.

II. Формування потреби

1. Дорназа альфа – це муколітичний препарат, який приймається з 5-річного віку кожного дня в дозуванні від 2,5 мг до 5 мг на добу (1 – 2 введення). Із розрахунку препарату по нижньому дозуванню – 2,5 мг/день річна потреба на одного хворого складає 365 флаконів.

Річна потреба препарату дорназа-альфа розраховується на основі кількості пацієнтів віком 4 роки і більше за попередній рік та множиться на 365.

2. Панкреатин застосовують для замісної ферментотерапії, оскільки пацієнти з муковісцидозом мають недостатність екзокринної функції підшлункової залози. Дозування препарату не є фіксованим і підбирається індивідуально. Препарат необхідно приймати від моменту встановлення діагнозу (за допомогою скринінгу).

Розрахунок потреби здійснюється виходячи із середньої кількості капсул панкреатину, які вживає пацієнт.

Річна потреба панкреатину розраховується на основі даних щодо середньої кількості вжитих капсул на добу помножену на 365.

Максимальне дозування панкреатину складає не більше 10 000 Од/кг/добу. Однак можуть бути клінічні випадки хворих на муковісцидоз з добовою потребою до 15 000 Од/кг/добу. За таких умов розрахунок потреб проводиться згідно з потребами конкретного пацієнта.

3. Колістиметат натрію (колістин) – це антибіотик, який застосовується для лікування хронічної інфекції *Pseudomonas Aeruginosa* у формі інгаляцій. Курс лікування складає 28 днів по 2 введення на добу у дозі 1 – 2 млн. од. (діти віком до 8 років – 1 млн од двічі на добу методом небулізації, від 8 років і старші 2 млн од двічі на добу). На курс лікування необхідно 28 – 56 флаконів. Згідно із міжнародними настановами препарат є першою лінією лікування хронічної інфекції *Pseudomonas Aeruginosa*.

Максимальна кількість курсів замовлень колістиметату натрію складає не більше 6 на рік або 336 флаконів. Розрахунок потреби здійснюється виходячи із результатів бактеріологічного обстеження бронхіального секрету та хронічного висіву *Pseudomonas Aeruginosa*. Хронічна колонізація *Pseudomonas Aeruginosa* – висів збудника у 50% лабораторних обстежень впродовж року.

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

5. Перерахунок кількості препарату здійснюється відповідно до правил округлення чисел.

6. У разі внесення змін до переліку лікарських засобів та медичних виробів, які закупаються за напрямками використання бюджетних коштів за програмою «Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру», розрахунок потреби у нових лікарських засобах та медичних виробах 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.

7. Розрахунок потреби в препаратах для лікування хворих на муковісцидоз, здійснюється на основі даних структурних підрозділів з питань

охорони здоров'я обласних, Київської та Севастопольської міських державних адміністрацій щодо кількості хворих на муковісцидоз, в розрізі адміністративно-територіальних одиниць із зазначенням маси тіла, місяця та року народження пацієнта, інформації про лікуючого лікаря, про рішення Комісії. Необхідно також зазначити назви лікарських засобів відповідно до затвердженої номенклатури, а також дозування на одиницю вимірювання, кількості застосувань на рік, кількості одиниць на разове застосування, кількості одиниць препарату на рік, наявні коментарі тощо.

III. Принцип розподілу видатків

1. Розподіл видатків державного бюджету здійснюється відповідно до інформації про дорослих та дітей хворих на муковісцидоз, 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, дорослих та дітей хворих на муковісцидоз, які забезпечені лікуванням	Осіб	Заявки регіонів, реєстри, звіти	
2	якості			
2.1	Рівень забезпечення дорослих та дітей хворих на муковісцидоз медикаментами	Відсоток	Заявки регіонів, реєстри, звіти	
3	ефективності			
3.1	Середні витрати на закупівлю медикаментів для однієї дитини або дорослого хворого на муковісцидоз	Тис. грн	Внутрішньогосподарський (управлінський) облік	

Генеральний директор
Директорату медичних послуг

О. Сухорукова