



МІНІСТЕРСТВО ОХОРОНИ ЗДОРОВ'Я УКРАЇНИ
НАЦІОНАЛЬНА ДИТЯЧА СПЕЦІАЛІЗОВАНА ЛІКАРНЯ
«ОХМАТДИТ»
(НДСЛ «Охматдит» МОЗ України)
ЄДРПОУ 01994089

01135 м. Київ
вул. В. Чорновола 28/1

тел.236-69-42, факс: 236-61-65
e-mail: office@ohmatdyt.com.ua

Департамент Медичних послуг
МОЗ України

Адміністрація НДСЛ «Охматдит» звертається до вас з пропозицією щодо зміни критеріїв, за відповідності яким рекомендовано врахування потреби пацієнтів у лікарському засобі «рисдиплам».

Відповідно до Методичних рекомендацій планування та розрахунку потреби у лікарських засобах для пацієнтів, які страждають на спінальну м'язову атрофію, затверджених наказом МОЗ від 25.01.2023 №132, в критерії включення внесено:

- 1) пацієнт громадянин України, який постійно проживає на території України;
- 2) дата народження пацієнта – починаючи із 01 січня 2018 року;
- 3) молекулярно-генетичне підтвердження діагнозу 5q-СМА (молекулярно-генетичне дослідження мутацій у гені SMN1 всім пацієнтам з підозрою на 5q-СМА з метою виявлення делеції екзонів 7 або 7-8);
- 4) підтверджений 1-ий тип 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;
- 6) відсутність потреби у постійній вентиляції легень (інвазивної вентиляції з трахеосомією або неінвазивної вентиляції легень більше 16 годин на день);
- 7) відсутність попереднього лікування із застосуванням лікарського засобу онасемноген абепарвовек;
- 8) відсутність поточного лікування лікарським засобом нусінерсен;
- 9) відсутність протипоказань до застосування лікарського засобу рисдиплам;
- 10) дотримання вимог з супроводу пацієнтів із СМА.

Відповідно до проведеної державної ОМТ препарату Рисдиплам (Еврісді®) та опублікованого позитивного висновку показанням до лікування є діагностована СМА 1 типу у пацієнтів віком від 2 місяців, що не потребують постійної вентиляції.0 Хоча, згідно офіційної інструкції для медичного застосування лікарського засобу Е



НДСЛ «Охматдит» МОЗ України
№1682/02.1-07.-23 від 03.07.2023
КЕП: ЖОВНІР В. А. 03.07.2023 12:30
2B6C7DF9A3891DA104000009E59C800F6B47F03
Сертифікат дійсний з 05.07.2022 12:08 до 05.07.2023 23:59

застосування є лікування 5q-спінальної м'язової атрофії у всіх пацієнтів віком від 2 місяців, а протипоказання відсутні.

За інформацією Центру орфанних захворювань та генної терапії в Україні станом на червень 2023 року на обліку знаходиться 45 пацієнтів зі СМА I типу. З них 22 пацієнти старше 5 років, 15 мають потребу у інвазивній або неінвазивній вентиляції легень більше 16 год/на добу, 8 пацієнтів отримали генну терапію, що мала недостатню ефективність.

Разом з цим, варто врахувати, що діагноз СМА I типу в Україні у попередні роки ставили на підставі МКБ10 усім пацієнтам із СМА (Хвороба Вердніга-Гоффмана). Епідеміологічні дані поширеності СМА - 12% серед населення (<http://www.smafoundation.org/wp-content/uploads/2012/03/SMA-Overview.pdf>) співпадають з даними реєстру українського Фонду «Діти із СМА» про 24 хворих із СМА I типу в Україні станом на квітень 2021 р. Тому можна прогнозувати, що реальна кількість пацієнтів із СМА I-го типу наразі в Україні нижча за ці цифри.

Відповідно до листа роз'яснення щодо формування потреби та здійснення розподілу лікарського засобу «рисдиплам», закупівля якого здійснюється за договором керованого доступу, станом на 27.06.2023 року лише 13 пацієнтів підлягають призначенню лікування препаратом «рисдиплам» за визначеними критеріями з яких 6 діагностовані за розширеним неонатальним скринінгом.

Таким чином значна кількість пацієнтів навіть з діагностованим СМА I типу залишається без доступу до лікування.

Варто зазначити, що ефективністю лікування СМА вважається не лише покращення клінічного стану пацієнта, а й відсутність прогресування захворювання. Проведення патогенетичного лікування не лише покращує якість життя пацієнтів, сприяє зниженню інвалідизації, а й зменшує смертність пацієнтів.

З метою розширення доступу пацієнтів до патогенетичної терапії препаратом «рисдиплам», закупівля якого здійснюється за договором керованого доступу, постала потреба в зміні критеріїв доступу пацієнтів до терапії. Відповідно до опублікованих результатів ОМТ препарату Рисдиплам (Еврісді®) та опублікованого позитивного висновку просимо розглянути можливість включення до лікування всіх пацієнтів зі СМА I типу.

Відповідно до міжнародних рекомендацій та розширених досліджень щодо використання препарату «рисдиплам» пропонуємо розглянути можливість змінити критерії включення таким чином:

1. Пацієнт громадянин України, який постійно проживає на території України;
2. Генетично підтверджений діагноз спінальної м'язової атрофії: гомозиготна/гетерозиготна делеція або мутація гену SMN1 та ≥ 1 копії гену SMN2 хромосоми 5q;
3. Стабільний пацієнт, який може приймати препарат згідно інструкції для медичного використання;
4. Відсутність супутнього термінального захворювання або стану, при якому ризик лікування переважає потенційну користь;
5. Відсутність поточного лікування лікарським засобом Nusinersen (Спінраза);

6. Відсутність протипоказань до застосування лікарського засобу рисдиплам;
7. Дотримання вимог з супроводу пацієнтів із СМА.

Генеральний директор

Володимир ЖОВНІР

Виконавець:
Наталя Самоненко
044-236-01-19