

Вих. №105 від 17.02.2025р.

ЗАЯВА
на проведення державної оцінки медичних технологій

1. Інформація про заявника:

АМАКСА ЛТД

1) найменування (прізвище, ім'я, по батькові) заявника;

Тичук Іван Віталійович моб. 098 119 79 44 it@hta.ua

2) місцезнаходження (місце проживання);

31 Джон Ісліп Стріт, Лондон, SW1P 4FE, Велика Британія

3) номер телефону (телефаксу);

Тел.. 044 978 06 72, факс. 044 978 06 74

4) адреса електронної пошти

it@hta.ua, cho@bcnauka.com.ua

1¹. Інформація про виробника заявленого лікарського засобу

Патеон Італія С.п.А. (виробництво лікарського засобу, випробування при випуску, випробування на стабільність, первинне пакування), Італія К'езі Фармацеутиці С.п.А. (випробування при випуску, випуск серії, вторинне пакування, зберігання та дистрибуція), Італія Конфарма Франція – Гомбург (випробування при випуску: лише невидимі частки), Франція Єврофінс Біолаб Срл (ЛАЛ-тест, невидимі частки), Італія.

2. Дані щодо заявленого лікарського засобу

1) Торговельна назва лікарського засобу

ЛАМЗЕДЕ/ Велманаза альфа

2) Міжнародна непатентована назва або синонімічне найменування

Velmanase alfa.

3) Склад лікарського засобу (діючі та допоміжні речовини)

діюча речовина: велманаза альфа; 1 флакон містить 10 мг велманазі альфа*. Після відновлення 1 мл розчину містить 2 мг велманазі альфа (10 мг/5 мл);

допоміжні речовини: динатрію фосфат, дигідрат; натрію дигідрофосфат, дигідрат; маніт; гліцин.

* велманаза альфа виробляється в клітинах яєчників китайського хом'яка (СНО) за допомогою рекомбінантної ДНК-технології.

4) Форма випуску, що пропонується для включення до Національного переліку основних лікарських засобів та (або) переліків

Порошок для розчину для інфузій. По 10 мг у флаконі; по 1 флакону в картонній коробці.

5) Відомості про державну реєстрацію заявленого лікарського засобу в Україні

Державна реєстрація: UA/18519/01/01 з 22.02.2021 по 22.02.2026. Заявник - К'езі Фармас'ютікелз ГмбХ, Австрія

6) Фармакологічна дія лікарського засобу

Велманаза альфа, діюча речовина препарату Ламзеде — це рекомбінантна форма альфа-маннозидази людини. Послідовність амінокислот у мономерній формі білка ідентична природному ферменту людини — альфа-маннозидазі. Велманаза альфа призначається для збільшення кількості або заміщення природної альфа-маннозидази, ферменту, який каталізує

послідовну деградацію гібридних і складних високоманозних олігосахаридів у лізосомах, зменшуючи таким чином кількість накопичених олігосахаридів із високим вмістом манози.

7) Фармакотерапевтична група лікарського засобу та код за анатомо-терапевтично-хімічною класифікацією

Інші засоби, що впливають на травну систему та метаболічні процеси. Ферменти.

АТХ-код: A16AB15.

8) Одне показання до медичного застосування, за яким подається заява

Ферментозамісна терапія (ФЗТ) при неврологічних проявах захворювання у пацієнтів із альфа-маннозидозом легкого та помірного ступенів тяжкості.

9) Показання до медичного застосування відповідно до інструкції для медичного застосування, затвердженої МОЗ, за наявності державної реєстрації лікарського засобу в Україні

Ферментозамісна терапія при неврологічних проявах захворювання у пацієнтів із альфа-маннозидозом легкого та помірного ступенів тяжкості.

10) Спосіб застосування

Рекомендована доза препарату — 1 мг/кг маси тіла пацієнта, вводиться один раз на тиждень шляхом контрольованої за швидкістю внутрішньовенної інфузії.

11) Наявність показань до медичного застосування лікарського засобу для використання під час надання медичної допомоги при станах, що зазначені у пріоритетних напрямках розвитку сфери охорони здоров'я

Альфа-маннозидоз включено до ПЕРЕЛІКУ рідкісних (орфанних) захворювань, що призводять до скорочення тривалості життя хворих або їх інвалідизації та для яких існують визнані методи лікування, затвердженого наказом МОЗ України від 27.10.2014 № 778, зареєстрованого в Міністерстві юстиції України 13 листопада 2014 року за № 1439/26216

3. Короткий опис пропозиції щодо лікарського засобу, враховуючи опис захворювання(стану), цільову когорту пацієнтів та роль в процесі лікування, підсумовуючи клінічний маршрут пацієнта. Зазначити перелік або документ, до якого запропоновано включити заявлений лікарський засіб

Альфа-маннозидоз — рідкісне генетичне захворювання, що характеризується дефіцитом ферменту альфа-D-маннозидази. Альфа-маннозидоз належить до групи захворювань, відомих як лізосомальні розлади накопичення.

Симптоми та важкість розладу дуже різноманітні. Симптоми можуть включати характерні риси обличчя, аномалії скелета, втрату слуху, інтелектуальну недостатність і дисфункцію імунної системи. Альфа-маннозидоз викликається змінами (варіантами або мутаціями) в гені *MAN2B1*. Цей стан успадковується за аутосомно-рецесивним типом

Альфа-маннозидоз уражає різні системи й органи, а також у міру прогресування зумовлює наростання нейром'язових і скелетних порушень. Характерним є прогресивне погіршення стану здоров'я хворого за багатьма показниками, включаючи витривалість, рухливість, розвиток дихальної системи, психічний розвиток. Залежно від віку пацієнта можуть переважати ті чи інші прояви. Протягом перших 10 років життя в дитини із цим захворюванням часто спостерігаються рецидивні інфекції (особливо верхніх дихальних шляхів), легеневі інфекції, запалення середнього вуха. Часто виявляють приглухуватість, затримку психомоторного розвитку. Протягом другого та третього десятиліття життя в пацієнтів розвиваються поліартропатія, атаксія, м'язова слабкість, а також аномалії скелета, які, зрештою, позбавляють хворого можливості пересуватися самостійно. Такі пацієнти не можуть жити самостійно та часто є соціально ізольованими. На пізніх стадіях захворювання вони можуть бути прикутими до крісла колісного

Згідно з даними світової статистики, розповсюдженість альфа-маннозидозу складає ≈ 1 випадок на 500 тис. населення.

За останніми доступними даними станом на 2023 рік (дані Центру орфанних захворювань Національної дитячої спеціалізованої лікарні «Охматдит» м. Київ) серед 7 пацієнтів було 3 дорослих – 18, 22 та 27 років та 4 дітей – від 8 до 12 років з МТ 26, 30, 35 та 45 кг. Серед усіх пацієнтів четверо – у неврологічному статусі (2 дорослих, 2 дітей). Відповідно, 50% дітей та 67% дорослих мають неврологічний статус та 50% дітей і 33% дорослих мають показання до застосування велманози альфа.

Цільовою популяцією є пацієнти обох статей дитячого віку, підлітки та дорослі з альфа-маннозидозом з відсутністю неврологічних проявів.

Скринінг на альфа-маннозидоз проводиться за допомогою аналізу сечі (рідше сироватки) на наявність багатих манозою олігосахаридів і часто є першим аналізом для діагностики. Аномальний результат вимірювання біомаркера слід вважати ознакою захворювання, але недостатнім для точного діагнозу. Визначення олігосахаридів у сечі є якісним аналізом і не існує нормального значення.

Генетичний аналіз гена *MAN2B1* слід використовувати для підтвердження ферментативного діагнозу та, можливо, використовувати для пренатальної діагностики та членів родини, але він не повинен замінювати біохімічне тестування.

Лікування альфа-маннозидозу базується на лікуванні проявів захворювання та профілактиці ускладнень, максимально оптимізуючи якість життя пацієнта.

Наявні дані вказують на те, що ФЗТ велманазою альфа пов'язана з клінічно значущою та постійною користю для багатьох пацієнтів з альфа-маннозидозом. Довгостроковий аналіз показав, що пацієнти, які отримували лікування велманазою альфа, відчули поліпшення функціональних показників, які зберігалися щонайменше 4 роки, та біохімічних показників. Також було відзначено покращення як дрібної, так і великої моторики та імунологічного профілю.

Ламзеде пропонується включити до закупівель через застосування процедури договорів керованого доступу відповідно до положень постанови КМУ від 27.01.2021 р. № 61 «Деякі питання щодо договорів керованого доступу та зупинення дії абзацу першого пункту 1² постанови Кабінету Міністрів України від 25 березня 2009 р. № 333».

Враховуючи конфіденційну інформацію, яка міститься в Періодично оновлюваному звіті з безпеки ЛЗ Ламзеде (PSUR), використання даних безпеки та конфіденційну цінову пропозицію в фармакоеконімічних розрахунках пункти 9–12 є конфіденційними.

Директор ТОВ
«Академія оцінки технологій охорони здоров'я України»
М.А. Цховребашвілі
(найменування посади уповноваженої особи заявника)



2025_р.