

ЗАЯВА

на проведення державної оцінки медичних технологій

1. Інформація про заявника:

- 1) *найменування (прізвище, ім'я, по батькові) заявника:* Пфайзер Ейч.Сі.Пі. Корпорейшн, США
- 2) *місцезнаходження (місце проживання):* 235 Іст 42-га Стріт Нью Йорк, НЙ 10017-5755, США
- 3) *номер телефону (телефаксу):* +38 050 560 01 39
- 4) *адреса електронної пошти:* nataliia.datsiuk@pfizer.com

1¹. Інформація про виробника заявленого лікарського засобу:

Пфайзер Менюфекчуринг Бельгія НВ (виробництво, контроль якості та випуск серії води для ін'єкцій у попередньо наповнених шприцах, одночасне пакування та маркування води для ін'єкцій та лікарського засобу; виробництво лікарського засобу in bulk та первинне пакування; випуск серії лікарського засобу; контроль якості лікарського засобу, за виключенням тесту "Біоаналіз"), Бельгія

Пфайзер Ірленд Фармасаеутикалс (контроль якості лікарського засобу), Ірландія

2. Дані щодо заявленого ЛЗ:

- 1) *торговельна назва лікарського засобу:* Сомаверт.
- 2) *міжнародна непатентована назва або синонімічне найменування:* Pegvisomant.
- 3) *склад лікарського засобу (діючі та допоміжні речовини):*

Діюча речовина: пегвісомант; 1 флакон містить 10 мг, 15 мг, 20 мг або 30 мг пегвісоманту;
допоміжні речовини: гліцин, маніт (Е 421), натрію гідрофосфат безводний, натрію дигідрофосфат моногідрат; 1 попередньо наповнений шприц з розчинником містить воду для ін'єкцій.

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

- ліофілізат для розчину для ін'єкцій по 10 мг;
- ліофілізат для розчину для ін'єкцій по 20 мг.

5) *відомості про державну реєстрацію заявленого лікарського засобу в Україні:*

Препарат зареєстрований в Україні, номер реєстраційного посвідчення: № UA/17108/01/01, UA/17108/01/03, Наказ МОЗ 2022 від 28.11.2023.

6) *фармакологічна дія лікарського засобу:*

Пегвісомант селективно зв'язується з рецепторами гормону росту на поверхні клітини, де він блокує зв'язування ендogenous гормону росту і, таким чином, перешкоджає передачі сигналу гормону росту. Інгібування дії гормону росту призводить до зменшення сироваткової концентрації ІФР-I, а також інших сироваткових білків, чутливих до гормону росту, таких як вільний ІФР-I, кислотолабільна субодиниця ІФР-I та БЗІФР-3.

7) *фармакотерапевтична група лікарського засобу та код за анатомо-терапевтично-хімічною класифікацією:*

Інші гормони передньої частки гіпофіза та їх аналоги. Пегвісомант. Код АТХ Н01АХ01.

8) *одне показання до медичного застосування, за яким подається заява:*

Лікування акромегалії у дорослих пацієнтів, у яких хірургічне лікування та/або променева терапія, та подальша терапія АСС не дали належного ефекту (а саме нормалізації рівня ІФР-I у сироватці) або були неприйнятними.

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

Сомаверт показаний для лікування акромегалії в пацієнтів, які мали недостатню відповідь на хірургічне втручання чи радіотерапію або для яких ці види терапії не є прийнятними. Метою лікування є нормалізація рівня інсуліноподібного фактора росту I (ІФР-I) в сироватці крові.

10) *спосіб застосування:*

Рекомендована навантажувальна доза препарату Сомаверт становить 80 мг підшкірно під наглядом лікаря. Необхідно забезпечити належний інструктаж щодо методики виконання підшкірних ін'єкцій. З наступного дня після введення навантажувальної дози пацієнт повинен отримувати підшкірні ін'єкції препарату Сомаверт по 10 мг щоденно.

Потім дозу титрують до нормалізації концентрації ІФР-I у сироватці крові (концентрацію ІФР-I у сироватці слід вимірювати кожні 4–6 тижнів). Вибір дози не повинен здійснюватися на основі концентрації гормону росту або ознак і симптомів акромегалії. Невідомо, чи отримають пацієнти, у яких після досягнення нормальної концентрації ІФР-I все ще залишаються симптоми, користь від збільшення дози препарату Сомаверт.

- Якщо концентрація ІФР-I є підвищеною, слід збільшувати дозу препарату з кроком 5 мг кожні 4–6 тижнів.
 - Якщо концентрація ІФР-I нижча нормального діапазону, слід зменшувати дозу препарату з кроком 5 мг кожні 4–6 тижнів.
 - Рівень ІФР-I також слід контролювати, коли пацієнта переводять зі щоденної схеми введення необхідної дози препарату Сомаверт у вигляді кількох ін'єкцій на щоденну схему з введенням необхідної дози у вигляді однієї ін'єкції.
- Рекомендований діапазон дозування – від 10 до 30 мг підшкірно 1 раз на добу, а максимальна добова доза становить 30 мг підшкірно 1 раз на добу.

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:*

Сомаверт застосовується при станах визначених як пріоритетні Експертним комітетом МОЗ України, а саме при встановленні діагнозу акромегалія (код за МКХ-10 - E22.0). Також акромегалія, при якій застосовується заявлений препарат, належить до переліку орфанних хвороб згідно наказу МОЗ України №778 від 27.10.2014 року. Відповідно до Концепції розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, на 2021–2026 роки, затвердженої розпорядженням Кабінету Міністрів України від 28 квітня 2021 р. No 377-р Україна взяла на себе зобов'язання забезпечити пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, заходи з профілактики таких захворювань, організацію надання медичної допомоги, безперервний та безоплатний доступ до необхідних лікарських засобів, медичних виробів та відповідних харчових продуктів для спеціального лікувального харчування.

3. Коротка пропозиція щодо лікарського засобу з описом захворювання (стану), цільової когорти пацієнтів та ролі лікарського засобу в процесі лікування із зазначенням клінічного маршруту пацієнта у контексті використання запропонованого лікарського засобу. Зазначити перелік або документ, до якого запропоновано включити заявлений лікарський засіб. Зазначити розділ, до якого запропоновано включити заявлений лікарський засіб. Якщо пункти 4-13 досі містять інформацію з обмеженим доступом, зазначити, які частини інформації в цих пунктах є конфіденційними та надати обґрунтування щодо конфіденційного характеру такої інформації.

Акромегалія - це орфанне захворювання з хронічним перебігом, що спричинене надмірним виділенням гормону росту (ГР) як наслідок ГР-секретуючої аденоми гіпофізу. У разі несвоєчасного лікування, акромегалія асоціюється із підвищеною смертністю та морбідністю.

Зокрема у цих пацієнтів може розвиватися артеріальна гіпертензія, порушена толерантність до глюкози або цукровий діабет 2 типу, апное сну та інші захворювання. Процес діагностики включає в себе клінічне (фізикальне) обстеження, лабораторні аналізи (визначення рівнів ІФР-1, ГР) та нейровізуалізацію (МРТ гіпофізу). Лікування акромегалії передбачає 4 основні цілі:

- Біохімічний контроль захворювання, а саме нормалізація рівнів ІФР-1 до вікової та статевої норми.
- Повне видалення пухлини або зменшення розміру та запобігання подальшому росту пухлини, яка спричиняє захворювання.
- Зняття або контроль клінічних симптомів захворювання, профілактика та лікування пов'язаних з акромегалією супутніх/коморбідних захворювань, зокрема гіпертензії та гіпертрофії серця, цукрового діабету та непереносимості глюкози, апное уві сні та остеопатії.
- Запобігання ранньої смертності.

Лікування хворих на акромегалію переважно передбачає хірургічне видалення пухлини гіпофізу, в деяких випадках може бути розглянута променева терапія. У разі відсутності біохімічного контролю захворювання після проведеного втручання, або у разі неможливості його проведення, пацієнти отримують медикаментозне лікування лікарськими засобами із групи аналогів соматостатину.

Сомаверт використовується у хворих на акромегалію з метою досягнення контролю рівня ІФР-1 відносно віку та статі, якщо пухлину гіпофізу неможливо контролювати хірургічним шляхом або променевою терапією, а використання аналогів соматостатину не дало належного ефекту.

Сомаверт – антагоніст рецепторів гормону росту (АРГР), який блокує дію ГР, що призводить до зменшення вироблення ІФР-1, підвищена концентрація якого асоціюється зі значним збільшенням смертності і розвитком супутніх захворювань.

Сомаверт пропонується до включення до Національного переліку основних лікарських засобів, до розділу XVIII Гормони, інші лікарські засоби, що використовуються при ендокринних захворюваннях та (або) до переліків ЛЗ (номенклатур, списків, реєстрів), що закуповуються за кошти державного бюджету для виконання програм та здійснення централізованих заходів з охорони здоров'я та (або) з метою виконання регіональних цільових програм з охорони здоров'я, що повністю або частково фінансуються за рахунок коштів місцевих бюджетів.

Включення Сомаверту в зазначені переліки дозволить забезпечити пацієнтів, які страждають на акромегалію, безперервним та безоплатним доступом до необхідних лікарських засобів, відповідно до Концепції розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, на 2021-2026 роки, що затверджена розпорядженням Кабінету Міністрів України від 28 квітня 2021 р. № 377-р.

Пункти досьє 9-13 містять конфіденційну інформацію щодо даних PSUR, цінової пропозиції, розрахунків за її використання, аналізу результатів, висновків та інше.

Фахівець з доступу до охорони здоров'я
(найменування посади уповноваженої особи заявника)


Н. Дацюк
(підпис)
04 березня 2024 р.