

ЗАЯВА
на проведення Державної оцінки медичних технологій

1) Інформація про заявника:

1. Заявник – ТОВ «Рош Україна»
2. Адреса кореспонденції: 03150, м. Київ, вул. Велика Васильківська, 139
3. Телефон: +38(044)29-888-33
4. e-mail: serhiy.ksenzov@roche.com

2) Дані щодо заявленого лікарського засобу

1. Торгівельна назва ЛЗ: Гемлібра®(Hemlibra®)
2. Міжнародна непатентована назва або синонімічне найменування:
Еміцизумаб (Emicizumab)
3. Склад ЛЗ (діючі та допоміжні речовини): діюча речовина: еміцизумаб; 1 флакон містить 30 мг/1 мл або 60 мг/0,4 мл, або 105 мг/0,7 мл, або 150 мг/1 мл еміцизумабу; основні фізико-хімічні властивості: стерильна прозора рідина від безбарвного до злегка жовтуватого кольору без консервантів допоміжні речовини: L-гістидин, L-кислота аспарагінова, L-аргінін, полоксамер 188, вода для ін'єкцій.
4. Форма випуску, що пропонується для включення: розчин для ін'єкцій. 1 флакон містить 30 мг/1 мл або 60 мг/0,4 мл, або 105 мг/0,7 мл, або 150 мг/1 мл еміцизумабу. По 1 флакону в картонній коробці
5. Відомості про державну реєстрацію заявленого ЛЗ в Україні:
Реєстраційне посвідчення: UA/16914/01/01, UA/16914/01/02. Наказ МОЗ: №1572 від 30.08.2018. Термін дії реєстраційного посвідчення: з 30.08.2018 по 30.08.2023. Зміни до реєстраційного посвідчення UA/16914/01/01, UA/16914/01/02. Наказ МОЗ: №2036 від 10.11.2022. Заявник ТОВ «Рош Україна».
6. Фармакологічна дія ЛЗ: препарат Гемлібра® зв'язує активовані фактор IX і фактор X, відновлюючи недостатню функцію активованого фактора VIII, який є необхідним для ефективного гемостазу.
7. Фармакотерапевтична група ЛЗ та код за анатомо-терапевтично-хімічною класифікацією.
Гемостатичні засоби для системного застосування. Код АТХ B02B X06
8. Одне показання до медичного застосування, за яким подається заява та досьє
Рутинна профілактика з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII.
9. Показання до застосування відповідно до інструкції для медичного застосування, затвердженої МОЗ за наявності державної реєстрації лікарського засобу в Україні
Рутинна профілактика з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих та дітей, починаючи з народження, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням або без утворення інгібіторів до фактора VIII.

10. Спосіб застосування лікарського засобу відповідно до інструкції для медичного застосування

Таблиця 1. Інформація щодо схеми застосування препарату Гемлібра® для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII.

Схема застосування	Гемлібра®
Спосіб введення	Препарат Гемлібра® застосовується тільки для підшкірного введення
Доза	Рекомендована навантажувальна доза становить 3 мг/кг маси тіла, що вводиться підшкірно один раз на тиждень протягом перших 4 тижнів. в подальшому – із застосуванням у підтримуючій дозі: 1,5 мг/кг маси тіла один раз на тиждень або 3 мг/кг маси тіла один раз на два тижні, або 6 мг/кг маси тіла один раз на чотири тижні
Частота дозування	Вибір підтримуючої дози має базуватися на тому, чому віддає перевагу спеціаліст, із урахуванням режимів, які можуть сприяти покращенню дотримання пацієнтом режиму лікування. Відповідно до вибраного режиму введення (1 раз на тиждень, 1 раз на 2 або 1 раз на 4 тижні), на рік потрібно 52, 26, або 13 введень
Середня тривалість курсу лікування	Профілактика лікарським засобом Гемлібра® (еміцизумаб) проводиться пожиттєво
Передбачуваний середній інтервал між курсами лікування (за необхідності)	n/a
Передбачувана кількість повторних курсів лікування (за необхідності)	n/a

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

Гемофілія А входить до переліку рідкісних (орфанних) захворювань, затвердженого наказом МОЗ України від 27.10.2014 № 778, зареєстрованого в Міністерстві юстиції України 13 листопада 2014 р. за № 1439/26216.

Гемофілія А, дефіцит фактору VIII (код за МКХ-10 D 66) входить до національного Переліку пріоритетних захворювань в Україні.

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 (номенклатуру) або документ, до якого запропоновано включити заявлений лікарський засіб. Зазначити розділ, до якого запропоновано включити заявлений лікарський засіб. Якщо пункти 4—13 досьє містять інформацію з обмеженим доступом, зазначити, які частини інформації в цих пунктах є конфіденційними та надати обґрунтування щодо конфіденційного характеру такої інформації.

Гемофілія А виникає внаслідок спадкової або набутої генетичної мутації, що призводить до дисфункції або дефіциту фактора VIII. Ген FVIII розташований на довгому плечі X-хромосоми в смузі q28. Гемофілія А успадковується за X-зчепленою рецесивною ознакою.

На сьогоднішній день, найбільш серйозним ускладненням лікування гемофілії є розвиток антитіл (інгібіторів), які нейтралізують активність екзогенного фактора згортання крові VIII, що застосовується в якості замісної терапії. У пацієнтів з наявністю інгібіторів, епізоди кровотеч набагато гірше контролювати, що призводить до більш високих ризиків розвитку ускладнень захворювання, смертності та інвалідності, що значно впливає на якість життя пацієнтів та збільшує витрати на медичне обслуговування. Профілактика повинна призначатись якомога раніше для попередження ранніх пошкоджень.

Використання еміцизумабу у режимі профілактика могло би суттєво покращити догляд за пацієнтами, зменшивши навантаження на бюджет та підвищити прихильність до ефективної профілактики, потенційно зменшивши розвиток вторинних ускладнень у людей з гемофілією А, зокрема інвалідизацію, пов'язану з ураженням суглобів та необхідністю ендопротезування.

За даними реєстру ОХМАТДИТ, на кінець 2022 року в Україні налічується 50 дорослих хворих на гемофілію А, що мають інгібітори до фактору VIII. За результатами моделювання визначено, що цільова популяція буде поступово зростати та протягом 5 наступних років досягне 77 пацієнтів.

Пропонуємо препарат Гемлібра® до внесення до Номенклатури лікарських засобів, що закуповуватимуться за бюджетною програмою "Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру" за напрямком «Забезпечення дорослих, хворих на гемофілію типів А або В або хворобу Віллебранда» в т. ч. шляхом укладення договорів керованого доступу.

Пункти 10-13 досьє містять інформацію з обмеженим доступом, а саме - спеціальну пропозицію щодо вартості препарату Гемлібра®, тому дана інформація є конфіденційною.

Менеджер з питань ОРИТ

(найменування посади уповноваженої
особи заявника)

С.С. Коваленко

(підпис)

(прізвище, ім'я, по батькові)

03 березня 2023р.