

№п/п	Зауваження до проекту висновку, що були надані заявником («Пфайзер Експорт Бі. Ві.»)
1.	<p>У розділі 2, п. 11 проекту висновку зазначено <i>«Уповноважений орган додатково зазначає, що відповідно до наказу МОЗ України від 07.10.2022 № 1832 «Про затвердження пріоритетних напрямів розвитку сфери охорони здоров'я на 2023 - 2025 роки» ЮІА не відповідає стану, що віднесений до пріоритетних напрямів розвитку сфери охорони здоров'я на 2023 - 2025 роки».</i></p> <p>Так, ЮІА не входить до напрямів зазначених у п.8-9 наказу МОЗ України від 07.10.2022 № 1832 «Про затвердження пріоритетних напрямів розвитку сфери охорони здоров'я на 2023 - 2025 роки» (далі - Наказ МОЗ), але підпадає під п. 11 цього ж наказу <i>«Розширення Національного переліку основних лікарських засобів, зокрема новими лікарськими засобами для лікування станів і захворювань, які включені до зазначеного Національного переліку та/або необхідними для реалізації програми державних гарантій медичного обслуговування населення на відповідний рік, його адаптація відповідно до Базового переліку основних лікарських засобів, рекомендованих Всесвітньою організацією охорони здоров'я.»</i></p> <p>Додатково зазначаємо, що ревматичні хвороби, включені до Національного переліку основних лікарських засобів та до Базового переліку основних лікарських засобів, рекомендованих Всесвітньою організацією охорони здоров'я. Також, у Базовому переліку виділено групу препаратів для ювенільних захворювань суглобів.</p> <p>У зв'язку із цим просимо переглянути висновок про пріоритетність стану, який розглядається в досьє у відповідності до п. 2 Наказу МОЗ і при визначенні пріоритетності стану, який розглядається в досьє врахувати саме пріоритетні напрями, затверджені цим наказом, які є обов'язковим для врахування державним підприємством "Державний експертний центр Міністерства охорони здоров'я України" при реалізації покладених функцій та виконанні завдань.</p> <p>Вважаємо, питання пріоритетності одним з ключових, яке може вплинути на результати переговорів, від якого залежатиме доступ пацієнтів з до життєво-необхідного лікарського засобу. У зв'язку із цим, також вважаємо за доцільне зазначити наступну інформацію: Наказ МОЗ визначає не стани, а пріоритетні напрями в системі охорони здоров'я, які об'єднують різні сфери системи охорони здоров'я в рамках пунктів від 1 до 17 і не фокусується тільки на переліку захворювань або окремих станах. Термін «стан» взагалі відсутній в Наказі МОЗ;</p> <ul style="list-style-type: none"> - термін «стан» чітко не визначено в нормативних документах, які регулюють ОМТ в Україні. Це створює певну невизначеність щодо розуміння цього терміну зацікавленими сторонами, що могло і стати причиною висновку Уповноваженого органу про невідповідність ЮІА стану, який віднесено до пріоритетних напрямів. - використання цього терміну у нормативних документах з ОМТ - Порядку проведення ОМТ³ (далі - Порядок) та Настанови з ОМТ, свідчать про те, що в контексті ОМТ «стан» - є комплексним поняттям, що відповідає стану здоров'я. Так, наприклад: <ul style="list-style-type: none"> ● В п. 2 Порядку термін «стан» використовується в контексті визначення пріоритетних напрямів: «пріоритетні напрями розвитку сфери охорони здоров'я затверджений МОЗ перелік заходів у сфері охорони здоров'я, видів медичних послуг

	<p>(медичної допомоги), а також хвороб, травм, отруень, патологічних і фізіологічних (під час вагітності та пологів) станів, які мають істотне значення для показників здоров'я населення.»</p> <p>● Згідно з Настановою ОМТ оцінка медичної технології проводиться в контексті оцінки переваг для стану здоров'я, п.4.1.5.: «Оцінка переваг для здоров'я в ОМТ має бути здійснена на основі аналізу клінічно значущих кінцевих точок і результатів, які є важливими при цьому захворюванні... Клінічна кінцева точка (англ. clinical endpoint) - показник стану здоров'я (клінічного стану) пацієнта, що вимірюється для оцінки користі або шкоди лікування. Клінічна кінцева точка описує валідне вимірювання клінічних переваг лікування: впливу на відчуття, функціонування та життя пацієнта.»</p> <p>Зважаючи на вищезазначене, висновки про пріоритетність, які орієнтуються тільки на клас захворювання є такими, що суперечать положенням чинної нормативної бази і не розкривають проблематику стану пацієнтів з ЮІА, яка детально описана Заявником в загальному розділі досьє відповідно до вимог Порядку.</p>
2.	<p>У розділі 2, п. 11 проекту Висновку зазначено <i>«Варто зауважити, що наразі пацієнти з резистентною формою ювенільного ревматоїдного артриту забезпечуються лікарськими засобами (адаліумаб, тоцилізумаб, етанерцепт, голіумаб) відповідно до переліку лікарських засобів, медичних виробів та допоміжних засобів до них, що закуповуються на виконання відповідних угод (договорів), укладених особою, уповноваженою на здійснення закупівель у сфері охорони здоров'я для виконання програм та здійснення централізованих заходів з охорони здоров'я (постанова Кабінету Міністрів України від 07.03.2022 р. №216).»</i> Дане твердження сприймається як таке, що пацієнти з ювенільним ревматоїдним артритом повністю забезпечені лікарськими засобами, які закуповуються за бюджетні кошти. Наголошуємо, що тофацитиніб пропонується для лікування активного поліартикулярного ювенільного ідіопатичного артриту у дорослих та дітей, які зазнали невдачі лікування при першій (етанерцепт, адаліумаб) та другій лінії лікування (тоцилізумаб), і отже, змушені переводитися на підтримуючу терапію, яка не впливає на патогенез захворювання, а лише тимчасово полегшує страждання пацієнта. На цьому також наголошують клінічні експерти, на яких посилається Уповноважений орган у проекті висновку.</p>
3.	<p>У Розділі 3, п. 1. зазначено <i>«Отримавши та проаналізувавши дані від спеціалістів закладів охорони здоров'я, уповноважений орган приймає обраний заявником підхід до розрахунку потреби охорони здоров'я в заявленому ЛЗ для визначеної у досьє цільової популяції, проте враховуючи значну обмеженість статистичних даних, зокрема щодо захворюваності та поширеності пЮІА потреба охорони здоров'я у заявленому ЛЗ є невизначеною».</i></p> <p>Просимо переформулювати твердження, адже потреба існує, вона визначена, це лікування пацієнтів з поліартикулярними формами ЮГА, у яких спостерігається неадекватній відповідь або непереносимість принаймні 1 bDMARD, але у зв'язку з відсутністю статистичних даних у заявника і у уповноваженого органу немає можливості здійснити точні розрахунки цієї потреби.</p>

4. У розділі 3, п. 2. *«Уповноважений орган зауважує, що в липні 2023 року на сайті Державного експертного центру МОЗ України з посиланнями на публікацію Європейської медичної агенції (European medicines agency, ЕМА) оприлюднені рекомендації для спеціалістів системи охорони здоров'я щодо мінімізації ризиків злякисних новоутворень, серйозних серцево-судинних порушень, серйозних інфекцій, венозної тромбоемболії та смертності при застосуванні інгібіторів JAK. Хоча більша частота злякисних новоутворень, ризик розвитку серйозних серцево-судинних порушень, серйозних інфекцій, венозної тромбоемболії та смертності була зареєстрована при застосуванні інгібіторів JAK у пацієнтів з ревматоїдним артритом з певними факторами ризику порівняно з терапією інгібіторами ФНП-альфа, проте ЕМА застерігає, що ці ризики вважаються притаманними класу і стосуються всіх затверджених показань до застосування інгібіторів JAK для лікування запальних та дерматологічних захворювань.»*

Враховуючи, що основна визначена цільова популяція це діти, та з метою повного висвітлення інформації просимо викласти даний абзац в такому вигляді:

«Уповноважений орган зауважує, що в липні 2023 року на сайті Державного експертного центру МОЗ України з посиланнями на публікацію Європейської медичної агенції (European medicines agency, ЕМА) оприлюднені рекомендації для спеціалістів системи охорони здоров'я щодо мінімізації ризиків злякисних новоутворень, серйозних серцево-судинних порушень, серйозних інфекцій, венозної тромбоемболії та смертності при застосуванні інгібіторів JAK. Ці ризики спостерігалися у пацієнтів з ревматоїдним артритом з певними факторами ризику. Отже, зазначені JAK слід застосовувати лише у разі відсутності відповідних альтернативних методів лікування для пацієнтів: віком 65 років і старше; які палили або палили протягом тривалого часу в минулому; з іншими факторами ризику серцево-судинних захворювань або злякисних новоутворень. JAK слід з обережністю застосовувати пацієнтам з іншими факторами ризику венозної тромбоемболії, окрім перелічених вище. Ці ризики вважаються притаманними класу і стосуються всіх затверджених показань до застосування JAK для лікування запальних та дерматологічних захворювань.»