



ГОЛОВА ВЕРХОВНОЇ РАДИ УКРАЇНИ

11/10-1124

03.07.2020

Прем'єр-міністру України

ШМИГАЛЮ Д.А.

Шановний Денисе Анатолійовичу!

Надсилаємо адресований Вам депутатський запит народного депутата України Батенка Т. І., оголошений на засіданні Верховної Ради України 3 липня 2020 року, для розгляду і надання відповіді автору запиту і Голові Верховної Ради України у встановлений чинним законодавством 15-денний термін.

Додаток: депутатський запит на 4 арк. у 1 прим.

З повагою

 **Дмитро РАЗУМКОВ**



НАРОДНИЙ ДЕПУТАТ УКРАЇНИ

Комітет Верховної Ради України з питань бюджету

Співголова депутатської групи «За майбутнє»

01008, м. Київ-8, вул. Грушевського, 5

« 1 » липня 2020 р. Вих. № 1450

✓ Прем'єр-міністру України
ШМИГАЛЮ Д.А.

Міністру охорони
здоров'я України
Степанову М.В.

Щодо державної підтримки лікування
прогресуючої м'язової дистрофії Дюшена

ДЕПУТАТСЬКИЙ ЗАПИТ

Шановний Денисе Анатолійовичу!
Шановний Максиме Володимировичу!

03 червня 2020 року на офіційному веб-сайті Президента України було оприлюднено електронну петицію щодо реєстрації в Україні препарату «Дефлазакорт» - лікарського засобу, який довів свою ефективність для уповільнення дегенеративних процесів при м'язовій дистрофії, та можливості державного забезпечення якісними та ефективними препаратами пацієнтів з прогресуючою м'язовою дистрофією Дюшена (ініціатор - Директор БО «БФ «ЕЛЬДАР - З НАДІЄЮ У СЕРЦІ»)
(<https://petition.president.gov.ua/petition/97744>).

Вказаною петицією ініціатор хоче привернути увагу керівництва країни до надзвичайно серйозної проблеми, про яку мало хто знає – орфанного (рідкісного) захворювання, прогресуючої м'язової дистрофії Дюшена.

М'язова дистрофія Дюшена - це рідкісне генетичне захворювання, що розвивається тільки у хлопчиків. Основним симптомом цього синдрому є прогресуюча дистрофія м'язів, що має летальне закінчення. Причиною хвороби є мутація в гені білка дисторфіну, що розташовується між тяжами актину та грає ключову роль у формуванні каркаса для актину в акто-міозиновому комплексі скелетних м'язів. Зазвичай воно проявляється в 3-5-річному віці: у

дітей з'являється слабкість м'язів, яка поступово прогресує. До 10-12 років атрофія досягає такого ступеня, що хлопчики вже не можуть самі ходити і назавжди сідають в інвалідний візок. В Україні вони рідко доживають до 18 років. На останній стадії атрофія захоплює м'язи обличчя, глотки і дихальні м'язи. І діти помирають в муках. В той час, при належній допомозі, яку забезпечують таким пацієнтам в європейських країнах та використанні якісних сучасних ліків, вони могли б не тільки вижити, а й дожити до 45-55 років. Могли б самостійно ходити, бути реалізованими і приносити користь суспільству.

На даний час традиційного лікування цієї хвороби ще не існує через її специфіку. Деякі препарати за кордоном перебувають на стадії розробки і, можливо, допоможуть. Зараз у терапії даного захворювання найбільш ефективними вважаються стероїдні препарати.

За інформацією Американське управління FDA у 2015 році для лікування міодистрофії Дюшенна схвалило препарат дефлазакорт. Дефлазакорт - кортикостероїд, гормональний засіб, що призупиняє м'язову дистрофію. Препарат уповільнює дегенеративні процеси і оберігає кардіологічну та легеневу функції. Відтягує необхідність хірургічних втручань для корекції сколіозу. Але, на жаль в Україні цей препарат не зареєстрований.

Також в Європі і США були зареєстровані ліки, які допомагають частині таких хворих (з деякими видами мутацій) вести повноцінне життя. У 35 європейських країнах хлопчики вже майже рік отримують новий препарат. Однак українцям він недоступний.

Поки що впроваджені тільки два препарати - «Аталурен» (Translarna / Ataluren / PTC-124) і «Етеплірсен» (Eteplirsen). Вони схвалені ЕМА (Європейським агентством лікарських засобів) і FDA (управлінням по санітарному нагляду за якістю харчових продуктів і медикаментів) і пройшли прискорену реєстрацію в деяких європейських країнах. Аталурен зареєстрований в Україні, але влада відмовляється забезпечувати ним дітей, через велику вартість. Препарат «Етеплірсен» показаний при мутації в декількох генах, і це набагато частіше явище при міодистрофії Дюшенна. У стадії розробки перебувають ще кілька препаратів, які можуть допомогти пацієнтам з іншими видами мутацій. Однак наші співвітчизники не можуть отримати навіть ті ліки, ефективність яких доведена. Препарати не зареєстровані в Україні.

Відповідно до статті 53-1 «Профілактика та лікування рідкісних (орфанних) захворювань» Основ законодавства України про охорону здоров'я, громадян, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, мали б

безперебійно та безоплатно забезпечувати необхідними для лікування лікарськими засобами.

Та, на відміну від всіх інших орфанних нозологій, пацієнти із захворюванням на прогресуючу м'язову дистрофію Дюшена, хоч і попадають під дію цього закону, але по факту, повністю позбавлені державної підтримки. В Україні цих дітей прирекли на вірну смерть, без жодних шансів на порятунок, без жодної допомоги.

Зараз сім'ї об'єднуються і самі шукають кошти та можливості для придбання за кордоном сучасних ліків і забезпечення своїх дітей необхідними препаратами, гарантованими державою (на жаль, тільки на папері). Та лікування дітей потребує надзвичайно великих затрат. Більшість українських родин не можуть самостійно знайти такі кошти. І без допомоги держави вони безсилі.

Тому ініціатор петиції просить про допомогу, сподіваючись і вірячи, що доступне використання препарату Дефлазакорт істотно поліпшить прогноз, послабить і призупинить розвиток хвороби та дасть можливість дітям дочекатись впровадження препаратів, які в останні роки вже розробляються за кордоном саме для лікування міопатії Дюшена і бути врятованими.

Зважаючи на вищевикладене та прийнявши до уваги важливий соціальний аспект проблеми, просимо Вас надати відповідні доручення з метою розглянути факти, викладені у вищевказаній електронній петиції та в даному депутатському запиті, і:

- вивчити питання можливості проведення реєстрації препарату дефлазакорт та/або інших засобів, що призупиняють прогресуючу м'язову дистрофію Дюшена, повідомити про позицію Кабінету Міністрів України та Міністерства охорони здоров'я України з цього питання;

- повідомити про те, чи вживалися у минулому або вживаються на даний момент (і ким) заходи щодо реєстрації препарату дефлазакорт та/або інших засобів, що призупиняють прогресуючу м'язову дистрофію Дюшена;

- надати інформацію щодо необхідної процедури для реєстрації препарату дефлазакорт та/або інших засобів, що призупиняють прогресуючу м'язову дистрофію Дюшена, вказавши, хто має ініціювати таку реєстрацію, та який алгоритм дій при такій реєстрації;

- повідомити всю наявну в Кабінеті Міністрів України та Міністерства охорони здоров'я України інформацію стосовно виробників препарату дефлазакорт та/або інших засобів, що призупиняють прогресуючу м'язову дистрофію Дюшена, контактні дані їхніх представників та/або представництв в Україні;

- повідомити, чи передбачена чинним законодавством України можливість спрощеної процедури реєстрації препарату дефлазакорт та/або інших засобів, що призупиняють прогресуючу м'язову дистрофію Дюшена;

- вишукати можливість передбачення безкоштовного забезпечення препаратом дефлазакорт та/або іншими засобами, що призупиняють прогресуючу м'язову дистрофію Дюшена, пацієнтів всіх нозологій, які мають покази до його застосування та пільгові гарантії на отримання ліків;

- вишукати можливість забезпечення в повному обсязі державного фінансування повноцінного лікування дітей, що хворіють на прогресуючу м'язову дистрофію Дюшена препаратами, ефективність яких є доведена (в тому числі пацієнтів з нонсенс мутацією препаратом Аталурен (Трансларна), що дозволить перевести хворобу зі злоякісного типу перебігу до більш легкого, при якому пацієнти протягом усього життя зможуть ходити самостійно.

Про результати розгляду даного депутатського запиту повідомити ініціатора електронної петиції на веб-сайті Президента України та мене відповідно до статті 15 Закону України «Про статус народного депутата України».

Заздалегідь Вам вдячний!

З повагою,

**Народний депутат України,
Співголова депутатської групи**



Т.І.БАТЕНКО

(№ 324)