



МІНІСТЕРСТВО ОХОРОНИ ЗДОРОВ'Я УКРАЇНИ

вул. М.Грушевського, 7, м. Київ, 01601, тел. (044) 253-61-94, E-mail: moz@moz.gov.ua,
web: <http://www.moz.gov.ua>, код ЄДРПОУ 00012925

від _____ 20__ р. № _____

На № 01/475 від 02.03.2021

**Народному депутату України
Качурі О.А.**

Шановний Олександрє Анатолійовичу!

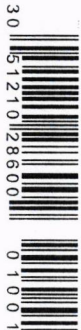
Міністерство охорони здоров'я України розглянуло Ваш депутатський запит від 02.03.2021 № 01/475 оголошений на засіданні Верховної Ради України 05.03.2021 щодо хвороби спінальної м'язової атрофії та надання інформації про препарати для її лікування та повідомляє.

Спінальна м'язова атрофія (Спінальна м'язова атрофія та споріднені синдроми, код МКХ-10: G12) віднесена до Переліку рідкісних (орфанних) захворювань, що призводять до скорочення тривалості життя хворих або їх інвалідизації та для яких існують визнані методи лікування, затвердженого наказом Міністерства охорони здоров'я України від 27 жовтня 2014 року № 778, зареєстрованого в Міністерстві юстиції України 13 листопада 2014 року за № 1439/26216.

Статтею 53¹ Основ законодавства України про охорону здоров'я визначено, що громадяни, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, безперервно та безоплатно забезпечуються необхідними для лікування цих захворювань лікарськими засобами та відповідними харчовими продуктами для спеціального дієтичного споживання відповідно до їх переліку та обсягів, затверджених центральним органом виконавчої влади, що забезпечує формування державної політики у сфері охорони здоров'я, у порядку, встановленому Кабінетом Міністрів України.

Відповідно до пункту 6 Порядку забезпечення громадян, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, лікарськими засобами та відповідними харчовими продуктами для спеціального дієтичного споживання, затвердженого постановою Кабінету Міністрів України від 31 березня 2015 року № 160, встановлено, що безперервне і безоплатне забезпечення громадян, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, лікарськими засобами та харчовими продуктами, закупленими за рахунок коштів державного та місцевих бюджетів, здійснюється в межах бюджетних призначень.

Таким чином, наявність того чи іншого захворювання у Переліку рідкісних (орфанних) за 25-04/8537/2-21 від 19.03.2021 ть до скорочення тривалості



життя хворих або їх інвалідизації та для яких існують визнані методи лікування, затвердженого наказом МОЗ України від 27 жовтня 2014 року № 778 та зареєстрованого в Міністерстві юстиції України 13 листопада 2014 року за № 1439/26216, не є прямою вимогою до їх закупівлі за рахунок коштів державного бюджету, бо для цього лікарські засоби мають бути у відповідному переліку та також на їх закупівлю мають бути виділені бюджетні призначення.

За рахунок коштів державного бюджету 2021 року централізовано будуть закуповуватимуться лікарські засоби та медичні вироби, що включені до переліків, затверджених постановою Кабінету Міністрів України від 17 лютого 2021 року № 132 «Деякі питання закупівлі лікарських засобів, медичних виробів та допоміжних засобів до них, що закуповуються у 2021 році» (далі – Постанова). Постановою та паспортом бюджетної програми за КПКВК 2301400, затвердженим наказом МОЗ України від 05 березня 2021 року № 401, закупівля лікарських засобів чи медичних виробів для лікування хворих на спінальну м'язову атрофію (далі – СМА) не передбачена.

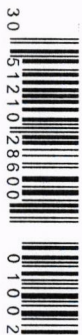
Для лікування СМА необхідно вирішити основний генетичний дефект. У травні 2019 року Управління з контролю за харчовими продуктами та лікарськими засобами США (Food and Drug Administration) вперше надала дозвіл для продажу новому лікарському засобу «Золгенсма» (міжнародне непатентоване найменування: онасемноген абепарвовек-ксайой) для генної терапії СМА. Вартість лікарського засобу становить приблизно \$ 2,1 млн. Для лікування достатньо однократного введення «Золгенсма». У 2016 році отримав дозвіл для продажу лікарський засіб «Спінраза» (міжнародне непатентоване найменування: нусінерсен). Вартість 1 флакона Спінрази становить € 90 тис. Для лікування в перший рік необхідно 6 флаконів, а в наступні роки – 4 флакони на рік, лікування «Спінразою» пожиттєве.

Лікарський засіб «Спінраза» зареєстрований в Україні наказом Міністерства охорони здоров'я України від 11.01.2020 № 41, реєстраційне посвідчення: UA/17852/01/01, лікарський засіб «Золгенсма» не зареєстрований в Україні.

Європейським агентством з лікарських засобів (European Medicines Agency) зареєстровано обидва препарати «Spinraza» (EMA/H/C/004312) та «Zolgensma» (EMA/H/C/004750).

Важливо, що державна реєстрація лікарських засобів, як в Україні, так і в інших країнах здійснюється, в тому числі на підставі аналізу даних клінічних випробувань та оцінки потенційної користі та ризику від використання препаратів. Економічна оцінка використання лікарських засобів не здійснюється під час їх державної реєстрації.

Згідно з даними міжнародних досліджень, існує великий ступінь невизначеності даних стосовно клінічної ефективності та ефективності витрат лікарських засобів для лікування СМА. Невизначеність економічних даних полягає у високій вартості даних препаратів та навантаженні на бюджет, який вони несуть. Невизначеність клінічних даних полягає у малій кількості та, зачасто, низькій якості проведених досліджень. Дані також важко інтерпретувати через обмежену доказову базу для обґрунтування



довгострокових клінічних переваг, труднощі в чіткому розрізненні підтипів СМА та різницю в тому, яких результатів можна досягти для різних категорій пацієнтів без даних лікарських засобів.

Саме тому статтею 3 Основ законодавства України про охорону здоров'я визначено, що оцінка медичних технологій – експертиза медичних технологій щодо клінічної ефективності, економічної доцільності, організаційних проблем та проблем безпеки для громадян у зв'язку з їх застосуванням.

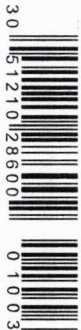
Порядок проведення державної оцінки медичних технологій, затверджено постановою Кабінету Міністрів України від 23.12.2020 № 1300. Цим Порядком визначено необхідність проведення державної оцінки медичних технологій для включення (виключення) лікарських засобів до (з) номенклатур (переліків, списків, реєстрів), що закуповуються за кошти державного бюджету для виконання програм та здійснення централізованих заходів з охорони здоров'я.

Статтею 54 Основ законодавства України про охорону здоров'я встановлено, що Перелік лікарських засобів, медичних виробів та допоміжних засобів до них, що закуповуються за кошти державного бюджету для виконання програм та здійснення централізованих заходів з охорони здоров'я, затверджується Кабінетом Міністрів України.

Таким чином рішення щодо централізованої закупівлі лікарських засобів приймається МОЗ України та Кабінетом Міністрів України за умови проведення державної оцінки медичних технологій та отримання висновку Уповноваженого органу щодо результатів проведеної державної оцінки медичних технологій. Для проведення державної оцінки медичних технологій заявник подає до уповноваженого органу заяву та досьє з дотриманням відповідних процедур визначених цим Порядком. Відповідні заяви та досьє не були подані до уповноваженого органу виробниками препаратів для лікування спінальної м'язової атрофії.

Саме для прийняття зважених та науково обґрунтованих рішень з питань, що стосуються виділення коштів на фінансування різних заходів в охороні здоров'я, зокрема забезпечення дороговартісними лікарськими засобами, МОЗ України активно впроваджує інструменти оцінки медичних технологій. Тому перед МОЗ України стоїть завдання, використовуючи оцінку медичних технологій, приймати оптимальні рішення для розподілу наявних фінансових ресурсів, у тому числі щодо включення нових лікарських засобів, медичних виробів тощо.

Зазначимо, що статтею 79¹ Основ законодавства України про охорону здоров'я передбачено, що центральний орган виконавчої влади, який забезпечує формування та реалізує державну політику у сфері охорони здоров'я, за власною ініціативою або за його дорученням особа, уповноважена на здійснення закупівель у сфері охорони здоров'я, та/або за ініціативою заявника (власника реєстраційного посвідчення на оригінальний (інноваційний) лікарський засіб (оригінальний біологічний лікарський засіб) / або уповноваженого ним представника) має право укладати договори керованого доступу (далі – ДКД) із заявником, в яких передбачаються умови постачання оригінального (інноваційного) лікарського засобу (оригінального біологічного



лікарського засобу) на територію України за кошти державного бюджету та/або місцевих бюджетів з метою забезпечення доступності таких лікарських засобів для пацієнтів.

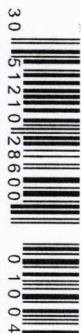
Як показує світова практика, ДКД є ефективним інструментом забезпечення пацієнтів доступними інноваційними лікарськими засобами. З цією метою виробники та держава можуть у договірному порядку зафіксувати знижену ціну дороговартісних лікарських засобів в обмін на певні гарантії, надані компанії з боку уряду. ДКД, таким чином, є одним зі шляхів раціоналізації бюджетних витрат для досягнення максимальної соціально-економічної ефективності шляхом відкриття національного ринку для інноваційних спеціалізованих лікарських засобів (застосовних переважно для лікування рідкісних хвороб і хвороб, що важко виліковуються, і патологічних станів – наприклад, онкологічних захворювань), висока вартість та недостатність відомостей про ефективність яких ускладнює прийняття урядового рішення щодо внесення таких препаратів до списків лікарських засобів, які відшкодовуються за рахунок бюджетних коштів.

Порядок проведення переговорів щодо договорів керованого доступу, затверджено постановою Кабінету Міністрів України від 27.01.2021 № 61. Цим Порядком передбачено, що для укладання договору керованого доступу необхідно, щоб за результатами державної оцінки медичних технологій лікарського засобу встановлено невизначеність даних про його доведену ефективність, безпеку, вплив на зміни в якості життя пацієнтів на території України, економічну доцільність та/або вплив на бюджет, а також надано висновок уповноваженого органу з державної оцінки медичних технологій, що містить інформацію про доцільність застосування процедури договорів керованого доступу до оцінюваного лікарського засобу.

Таким чином без відповідного висновку уповноваженого органу не може бути укладено договір керованого доступу. Ця умова необхідна для отримання максимально повної та достовірної інформації щодо клінічної ефективності та економічної доцільності відповідного лікарського засобу, особливо щодо лікарських засобів для лікування орфанних захворювань, ефективність яких досліджувалась в клінічних випробуваннях з малою вибіркою та сурогатними кінцевими точками (показниками ефективності), результати таких досліджень мають суттєву невизначеність даних щодо реальної клінічної ефективності препаратів. Препарати для лікування СМА досліджувались саме в таких клінічних випробуваннях.

Після отримання результатів проведеної державної оцінки медичних технологій МОЗ України прийме рішення щодо ініціації перемовин з виробником щодо укладання договору керованого доступу. І у випадку досягнення домовленостей щодо ціни на ці препарати та інших умови буде укладено договір керованого доступу.

Зазначимо, що саме шляхом укладання договорів керованого доступу після проведеної оцінки медичних технологій забезпечуються лікуванням пацієнти з СМА в інших країнах, які прийняли рішення про доцільність таких закупівель. Наприклад, орган з оцінки медичних технологій Канади (Canadian



Agency for Drugs and Technologies in Health) встановив, що навіть за умови зниження ціни на 95% малоімовірно, що лікарський засіб «Spinraza» буде вважатись економічно ефективним (www.cadth.ca/nusinersen-0), а відтак проведення державної оцінки медичних технологій необхідне для прийняття зважених рішень в інтересах усіх громадян та пацієнтів.

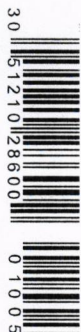
За попередніми розрахунками витрати на лікування 267 пацієнтів зі СМА у 1-й рік лікування можуть скласти 3 023 377,9 тис. грн. А отже це призведе до суттєвого обмеження доступу до лікування для інших пацієнтів, саме тому закупівля вказаного препарату може здійснюватись лише за умови кратного зниження вартості за результатами укладення договору керованого доступу.

Саме тому просимо Вас підтримати законопроект від 28.01.2021 № 4662-1 «Проект Закону про внесення зміни до статті 3 Закону України «Про публічні закупівлі», який необхідний для ефективного застосування процедури укладання договорів керованого доступу.

З повагою

Міністр

Максим СТЕПАНОВ



Міністерство охорони здоров'я України

ІНФОРМАЦІЙНА ДОВІДКА

Лист

25-04/8537/2-21 від 19.03.2021 р.

Щодо депутатського запиту Качури О.А. про

надання мед допомоги в Україні хворим на СМА **1/13687/0/1-21 від 12.03.2021р.**

(інф н.д. і голову ВРУ)

Підписано: **Степанов Максим Володимирович**

До документа

Верховна Рада України

Депутатський запит



Міністерство охорони здоров'я України

25-04/8537/2-21 від 19.03.2021

Степанов Максим Володимирович

Апарат Верховної Ради України
КАРТКА ДОКУМЕНТА



445100

Кореспонденти Степанов М. В. Міністерство охорони здоров'я України (всього 1)
Вид документа Відповідь на депутатський запит
Вих. № та дата кореспондента № ДСК 25-04/8537/2-21 від 19.03.2021
Реєстр. № та дата реєстрації 99297 від 19.03.2021
Арк./прим. 5/1
Стислий зміст На №11/10-280 Щодо депутатського запиту Качури О.А. про надання мед допомоги в Україні хворим на СМА (інф н.д. і голову ВРУ)

Проходження документа (особа, у якої є позначка «Оригінал»)	Дата передачі оригіналу ВСК	Дата отримання оригіналу	Підпис