



МОЗ УКРАЇНИ
ДЕРЖАВНЕ ПІДПРИЄМСТВО
«ДЕРЖАВНИЙ ЕКСПЕРТНИЙ ЦЕНТР МІНІСТЕРСТВА
ОХОРОНИ ЗДОРОВ'Я УКРАЇНИ»
(ДЕРЖАВНИЙ ЕКСПЕРТНИЙ ЦЕНТР МОЗ УКРАЇНИ)

вул. Антона Цедіка, 14, м. Київ, 03057, тел.: (044) 202-17-05

e-mail: dec@dec.gov.ua www.dec.gov.ua код ЄДРПОУ 20015794

Висновок

**уповноваженого органу з державної оцінки медичних технологій за
скороченою процедурою: еміцизумаб**

Державна оцінка медичних технологій за скороченою процедурою за зверненням МОЗ України проведена уповноваженим органом з державної оцінки медичних технологій відповідно до вимог Порядку проведення державної оцінки медичних технологій, затвердженого постановою Кабінету Міністрів України від 23.12.2020 №1300 та складається з аналізу порівняльної ефективності (результативності), безпеки та впливу на бюджет лікарського засобу на основі даних з відкритих джерел інформації. Висновок уповноваженого органу з державної оцінки медичних технологій за скороченою процедурою має рекомендаційний характер. Надані дані у висновку є актуальними станом на дату його підготовки.

1. Інформація про дату проведення державної оцінки медичних технологій за скороченою процедурою заявленого лікарського засобу: 18.09.2026.

Державна оцінка медичних технологій (далі – ОМТ) за скороченою процедурою лікарського засобу еміцизумаб за показанням для рутинної профілактики з метою зменшення частоти епізодів кровотеч у дітей, починаючи з народження, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII була проведена за зверненням МОЗ України на виконання підпункту 7 пункту 8 Порядку проведення державної ОМТ, затвердженого постановою Кабінету Міністрів України від 23.12.2020 № 1300 (лист МОЗ України від 19.08.2026 № 03.4.0/45597/2-26).

Звертаємо увагу, що у 2024 році уповноваженим органом уже було проведено державну ОМТ за скороченою процедурою лікарського засобу еміцизумаб за показанням для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення

частоти епізодів кровотеч у дітей, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII (висновок уповноваженого органу від 22.08.2024)¹ та рекомендовано розглянути можливість проведення переговорів щодо договорів керованого доступу з метою накопичення доказів про ефективність лікарського засобу у пацієнтів дитячого віку за результатами подальшого моніторингу.

2. Інформація про заявлений лікарський засіб

1) найменування (прізвище, ім'я, по батькові) заявника та назва виробника лікарського засобу:

Станом на 18.09.2026 за даними Державного реєстру лікарських засобів² лікарський засіб еміцизумаб представлений таким торговельним найменуванням:

ГЕМЛІБРА®, розчин для ін'єкцій по 30 мг/1 мл; по 1 мл (30 мг); по 0,4 мл (12 мг) у флаконі, по 1 флакону в картонній коробці.

ГЕМЛІБРА®, розчин для ін'єкцій по 150 мг/1 мл; по 0,4 мл (60 мг); по 0,7 мл (105 мг); по 1 мл (150 мг) у флаконі; по 1 флакону в картонній коробці.

Виробник: Чугай Фарма Мануфактуринг Ко, Лтд (виробництво нерозфасованої продукції, первинне пакування, випробування контролю якості; випробування контролю якості), Японія, Самсунг БіоЛоджикс Ко, Лтд (виробництво нерозфасованої продукції, первинне пакування, випробування контролю якості), Республіка Корея, Ф.Хоффманн-Ля Рош Лтд (випробування контролю якості, вторинне пакування, випуск серії), Швейцарія.

Заявник: ТОВ «Рош Україна», Україна.

2) торговельна назва лікарського засобу:

ГЕМЛІБРА

3) міжнародна непатентована назва або синонімічне найменування:

Emicizumab

4) склад лікарського засобу (діючі та допоміжні речовини):

діюча речовина: еміцизумаб; 1 флакон містить 12 мг/0,4 мл або 30 мг/1 мл, або 60 мг/0,4 мл, або 105 мг/0,7 мл, або 150 мг/1 мл еміцизумабу;

допоміжні речовини: L-гістидин, L-кислота аспаргінова, L-аргінін, полоксамер 188, вода для ін'єкцій.

5) форма випуску:

Розчин для ін'єкцій.

6) спосіб застосування лікарського засобу:

Тільки для підшкірного введення. Рекомендована навантажувальна доза становить 3 мг/кг маси тіла, що вводиться підшкірно один раз на тиждень протягом перших 4 тижнів, надалі лікарський засіб застосовують 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;

¹<https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2024/09/vysnovok-upovnovazhenogo-organu-z-derzhavnoyi-omt-za-skorochenoyu-proceduroyu-emicizumab-vid-22.08.24.pdf>

²<http://www.drlz.com.ua/ibp/ddsite.nsf/all/shlist?opendocument&query=%E3%E5%EC%EB%B3%E1%F0%E0>

- 6 мг/кг маси тіла один раз на чотири тижні.

Вибір підтримуючої дози має базуватися на тому, чому віддає перевагу медичний спеціаліст, із урахуванням режимів, які можуть сприяти покращенню дотримання пацієнтом режиму лікування.

7) інформація про наявність державної реєстрації лікарського засобу в Україні:

ГЕМЛІБРА®, розчин для ін'єкцій по 30 мг/1 мл; по 1 мл (30 мг); по 0,4 мл (12 мг) у флаконі, по 1 флакону в картонній коробці. Реєстраційне посвідчення: UA/16914/01/01. Термін дії РП: необмежений з 29.01.2024.

ГЕМЛІБРА®, розчин для ін'єкцій по 150 мг/1 мл; по 0,4 мл (60 мг); по 0,7 мл (105 мг); по 1 мл (150 мг) у флаконі; по 1 флакону в картонній коробці. Реєстраційне посвідчення: UA/16914/01/02. Термін дії РП: необмежений з 29.01.2024.

8) фармакологічна дія лікарського засобу та код за анатомо-терапевтично-хімічною класифікацією:

Еміцизумаб – зв'язує активовані фактор IX і фактор X, відновлюючи недостатню функцію активованого фактора VIII, який є необхідним для ефективного гемостазу.

Фармакотерапевтична група: Засоби, що впливають на систему крові та гемопоез. Антигеморагічні засоби. Вітамін К та інші гемостатичні засоби. Інші гемостатичні засоби для системного застосування. Еміцизумаб. Код АТХ B02B X06.

9) показання до медичного застосування, за яким подавалася заява:

Державну ОМТ проведено за скороченою процедурою за зверненням МОЗ України, що не передбачає подання заяви. У листі зверненні МОЗ (від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26) зазначено наступне показання: для рутинної профілактики з метою зменшення частоти епізодів кровотеч у дітей починаючи з народження, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII.

10) показання до медичного 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.

11) інформація про 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:

У листі зверненні МОЗ від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26 зазначено, що державну ОМТ за скороченою процедурою щодо лікарського засобу еміцизумаб необхідно провести за показанням для рутинної профілактики з метою зменшення

частоти епізодів кровотеч у дітей починаючи з народження, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII.

Гемофілія А внесена під номером 98878 до Довідника рідкісних (орфанних) захворювань, затвердженого наказом МОЗ України від 15.01.2026 р. №60.³ Зазначаємо, першочергове забезпечення профілактики, ранньої діагностики і лікування неінфекційних захворювань, зокрема орфанних захворювань віднесено до пріоритетних напрямків розвитку сфери охорони здоров'я в Україні відповідно до наказу МОЗ України від 30 грудня 2025 р. №1976 “Про затвердження пріоритетних напрямків розвитку сфери охорони здоров'я на 2026-2028 роки”⁴.

Забезпечення доступу пацієнтів, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, до лікарських засобів, медичних виробів та продуктів спеціального лікувального харчування є однією із складових «Плану заходів щодо реалізації Концепції розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, на 2021-2026 роки». Метою цієї Концепції є зменшення смертності від рідкісних (орфанних) захворювань, підвищення якості життя пацієнтів, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, шляхом забезпечення справедливого та рівного доступу до якісної медичної допомоги таким пацієнтам, зокрема до якісних, ефективних та безпечних лікарських засобів для лікування рідкісних (орфанних) захворювань, до медичних виробів та продуктів спеціального лікувального харчування, а також психологічного супроводу. Мета і цілі цієї Концепції відповідають Цілям сталого розвитку на 2016 - 2030 роки, затвердженим Порядком денним в галузі розвитку на Саміті ООН, що відбувся у вересні 2015 року в рамках 70-ї сесії Генеральної Асамблеї ООН⁵.

3. Висновок уповноваженого органу щодо результатів порівняльної ефективності (результативності), безпеки, ефективності витрат на лікарський засіб та аналізу впливу на показники бюджету

1) дані щодо пріоритетності захворювання (стану)

Гемофілія А – це спадкове захворювання, що характеризується порушенням згортання крові через недостатність функціонального плазмового фактора VIII (далі – FVIII). Відсутність або функціональна недостатність FVIII призводить до схильності до кровотеч протягом усього життя. Характерним для гемофілії є постійні кровотечі. Ступінь вираженості кровотечі корелює зі ступенем дефіциту фактора згортання крові. У пацієнтів з тяжкою формою гемофілії спостерігаються постійні спонтанні кровотечі в суглоби, м'язи та внутрішні органи.

Інгібітори (нейтралізуючі антитіла) при гемофілії – це власні антитіла IgG до екзогенного FVIII, які нейтралізують функцію введених концентратів факторів

³ <https://moz.gov.ua/storage/uploads/b4052f6d-9b52-4421-ac24>

⁴ https://moz.gov.ua/storage/uploads/f33193b4-9a71-4a82-bfbb-92032a717f91/dn_1967_30122025_dod.pdf

⁵ <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/377-2021-%D1%80#Text>

згортання крові.⁶ Розвиток інгібіторів є найсерйознішим ускладненням лікування пацієнтів з гемофілією А, тому одним з пріоритетних напрямів клінічних досліджень з гемофілії є більш глибоке розуміння причин виникнення інгібіторів та запобігання їхньому утворенню.⁷

Кількісне визначення інгібіторів проводиться методом Бетезда у модифікації Неймеген. Позитивний результат тесту на інгібітор для FVIII – це титр $>0,6$ Бетезда одиниць (БО), титри $<5,0$ БО визначаються як низьковідповідаючий (англ. low-responding) інгібітор, титри $\geq 5,0$ БО як високівідповідаючий (англ. high-responding) інгібітор⁸.

Інгібітори розвиваються із кумулятивною частотою приблизно 30% у раніше нелікованих пацієнтів з гемофілією А, з яких 79% виникають протягом перших 20 експозицій, а решта (21%) протягом перших 75 експозицій (**експозиція визначається як будь-який 24-годинний період, протягом якого вводиться препарат, що містить фактор коагуляції FVIII*).

Згідно даних звіту Всесвітньої федерації гемофілії про щорічне глобальне дослідження (World Federation of Hemophilia Report on the Annual Global Survey 2024⁹), які були отримані від 135 країн (із 152 опитаних), у 2024 році у світі було ідентифіковано приблизно 271918 пацієнтів із гемофілією, з яких 224353 мало гемофілію А. Поширеність гемофілії А становить 17,1 випадків на 100 тисяч чоловічого населення, з них 6,0 випадків на 100 тисяч тяжких форм. Більшість випадків залишаються недіагностованими, особливо в країнах із обмеженим доступом до діагностики. Серед усіх форм гемофілії частка гемофілії А складає 80-85%.¹⁰

Серед новонароджених поширеність гемофілії будь-якого ступеня тяжкості діагностується у 24,6 випадків на 100 000 новонароджених хлопчиків, з них 9,5 випадків тяжких форм. Для гемофілії А цей показник становить приблизно 1 на 5000 - 10000 чоловіків.

Згідно з результатами цього ж дослідження, востаннє дані щодо України оновлювалися у 2024 році. Відповідно до них, у 2024 році було вперше діагностовано 17 нових випадків гемофілії, а загальна кількість зареєстрованих пацієнтів становила 1 641 особу, з яких у 1 395 осіб було діагностовано гемофілію типу А.¹¹

Відповідно до додатку до листа МОЗ України від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26, станом на 2026 рік кількість дітей, хворих на гемофілію А з утворенням інгібіторів до фактора VIII, які потребуватимуть застосування еміцизумабу становить [REDACTED].

⁶ <https://www.hemophiliaukraine.com/uskladnennya-gemofilii/160/>

⁷ <https://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1922.pdf>

⁸ https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2025/03/2025_ykpmid_537_gemofiliya-a.pdf

⁹ <https://www1.wfh.org/publications/files/pdf-2588.pdf>

¹⁰ <https://wfh.org/>

¹¹ <https://www1.wfh.org/publications/files/pdf-2588.pdf>

2) дані щодо достовірності результатів порівняльної клінічної ефективності та безпеки заявленого лікарського засобу, а також рівня доданої клінічної користі. Опис (представлення) зазначених результатів

Лікарський засіб еміцизумаб, як препарат, що впливає на коагуляцію, включений до 10 випуску **Базового переліку основних лікарських засобів для дітей ВООЗ, 2025 року** (WHO Model List of Essential Medicines for Children),¹² що свідчить про його доведену ефективність та безпеку.

Експертний комітет ВООЗ¹³ зазначає, що серед людей із гемофілією А, які отримують профілактику замісною терапією FVIII, приблизно у 30% утворюються інгібітори до FVIII, що робить подальше використання замісної терапії FVIII неефективним та призводить до підвищення захворюваності та смертності. В той же час, застосування еміцизумабу для профілактичного лікування дорослих і дітей із гемофілією А – як з наявністю інгібіторів до FVIII, так і без них – порівняно з відсутністю профілактики або терапією FVIII чи ВРА, асоціюється із наступними перевагами:

- вагоме зниження частоти кровотеч та використання ВРА;
- підвищує шанси на відсутність епізодів кровотеч;
- сприяє збереженню функції суглобів, зменшує хірургічні ризики й тягар для осіб, що доглядають за пацієнтами;
- покращує показники якості життя, що пов'язані зі здоров'ям;
- більшість побічних ефектів зазвичай мають легкий або помірний ступінь тяжкості та піддаються контролю.

Найбільша цінність профілактики еміцизумабом спостерігається у людей із гемофілією А з інгібіторами до FVIII, у яких замісна терапія факторами згортання крові є неефективною. Розглядаючи можливість включення еміцизумабу до національних переліків основних лікарських засобів в умовах обмежених ресурсів та відповідно до національних потреб, особи, які приймають рішення, можуть на першому етапі пріоритезувати/обмежити вибір застосування еміцизумабу популяцією пацієнтів із гемофілією А з інгібіторами до FVIII.

Для проведення повторного аналізу доказових даних щодо підходів до рутинної профілактики епізодів кровотеч у дітей, хворих на гемофілію А з утворенням інгібіторів до фактора VIII, проведено оновлений пошук третинних джерел інформації на сайтах міжнародних профільних організацій, у базах даних PubMed та Trip Database, а також пошук галузевих стандартів у сфері охорони здоров'я України.

В результаті проведеного оновленого пошуку галузевих стандартів у сфері охорони здоров'я України було встановлено, що еміцизумаб відсутній у **Державному формулярі лікарських засобів**, затверджені наказом МОЗ України від 27 липня 2026 № 1021.¹⁴

В той же час, з моменту публікації висновку уповноваженого органу з державної ОМТ за скороченою процедурою у 2024 році відповідно до **реєстру**

¹² <https://iris.who.int/server/api/core/bitstreams/337edac2-d0aa-4e19-9d72-3acb11d09808/content>

¹³ <https://list.essentialmeds.org/recommendations/1469>.

¹⁴ https://moz.gov.ua/storage/uploads/9a532cd0-2395-4782-914f-49d7307bfe24/dn_1021_27072026_dod.pdf

медико-технологічних документів зі стандартизації медичної допомоги наказом МОЗ України від 26 березня 2025 року № 537 було затверджено **Уніфікований клінічний протокол первинної та спеціалізованої медичної допомоги “Гемофілія А” (далі - Протокол),¹⁵** в якому зазначено, що еміцизумаб – це біспецифічне моноклональне антитіло і міметик FVIII для профілактики кровотеч у пацієнтів з гемофілією А з інгібіторами та без них. Лікарський засіб демонструє високу ефективність у профілактиці кровотеч у дорослих та дітей з гемофілією А з інгібіторами FVIII або без них, впливає на зменшення кількості ускладнень та госпіталізацій, характеризується високою прихильністю до терапії.

Під час проведення індукції імунної толерантності (далі – ІТ), якщо у пацієнтів спостерігаються часті кровотечі, їх можна зупинити шунтуючими препаратами або призначити профілактику нефакторною терапією (еміцизумаб). Через труднощі та ускладнення ІТ у дітей молодшого віку, застосування еміцизумабу шляхом підшкірних ін'єкцій вважається простішою та безпечнішою опцією, ніж стандартна ІТ.

На сьогодні не існує ані можливості вилікування, ані специфічної профілактики гемофілії А, яка б дозволила уникнути хвороби. Проте, рання діагностика та профілактична замісна терапія позитивно впливає на перебіг хвороби. Профілактична замісна терапія полягає у регулярному внутрішньовенному введенні плазмових або рекомбінантних концентратів фактора VIII, що суттєво зменшує ймовірність кровотеч. Іншим варіантом профілактичної терапії є підшкірне введення нефакторної терапії рекомбінантного моноклонального антитіла еміцизумабу, який в процесі згортання крові виконує таку ж функцію, як фактор VIII. Профілактична терапія знижує ризик небезпечних кровотеч, запобігає пошкодженню опорно-рухового апарату, зменшує хронічний біль, функціональні обмеження та інвалідність, знижує потребу ортопедичної хірургії, невідкладної допомоги, госпіталізації, дає можливість повноцінного життя з відвідуванням школи та можливістю праці.

У рамках державної ОМТ за скороченою процедурою лікарського засобу еміцизумаб для рутинної профілактики кровотеч у дітей, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VII, проведеної у 2024 році, було знайдено третинні джерела інформації, що включали клінічні настанови, консенсуси та рекомендації, які регламентують сучасний підхід до ведення таких пацієнтів. У ході проведення даної державної ОМТ було здійснено повторну перевірку актуальності зазначених джерел та пошук нових. За результатами аналізу встановлено, що третинні джерела не зазнали змін з часу попередньої оцінки і залишаються чинними, а саме:

- рекомендації Медичної та наукової консультативної ради щодо профілактики гемофілії А та В з інгібіторами та без них, 2022;¹⁶

¹⁵ https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2025/03/2025_ykpmnd_537_gemofiliya-a.pdf

¹⁶ <https://www.bleeding.org/healthcare-professionals/guidelines-on-care/masac-documents/masac-document-268-recommendation-on-the-use-and-management-of-emicizumab-kxwh-hemlibrar-for-hemophilia-a-with-and-without-inhibitors>

- рекомендації Всесвітньої федерації гемофілії (WFH) щодо лікування гемофілії, 3-тє видання від 2020 року;¹⁷

- практичні вказівки Німецько-австрійсько-швейцарського товариства досліджень тромбозу та гемостазу щодо застосування еміцизумабу у пацієнтів з гемофілією А, 2020;¹⁸

- рекомендації Британського товариства з гематології щодо застосування профілактичних факторів для дітей та дорослих з гемофілією А та В, 2020;¹⁹

- проміжні рекомендації Робочої групи та виконавчого комітету Центру гемофілії Великобританії (UKHCDO) щодо лікування епізодів кровотеч при гемофілії А, ускладненої утворенням інгібіторів до фактора VIII у пацієнтів, які отримували еміцизумаб від 2018 року.²⁰

Таким чином, аналіз міжнародних третинних джерел свідчить, що більша перевага надається еміцизумабу порівняно з препаратами шунтуючої дії для рутинної профілактики кровотеч у пацієнтів з гемофілією А та наявністю інгібіторів. При прийнятті рішення щодо профілактичного застосування еміцизумабу, необхідно враховувати індивідуальну ситуацію пацієнта (наприклад, пацієнти із стійкими інгібіторами до FVIII, венозний доступ, фенотип кровотечі) та фактори ризику. Слід уникати застосування антиінгібіторного коагулянтного комплексу для лікування епізоду кровотечі у пацієнтів, які отримують профілактику еміцизумабом.

У висновку уповноваженого органу з державної ОМТ за скороченою процедурою лікарського засобу еміцизумаб за показанням для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дітей, хворих на гемофілію А з утворенням інгібіторів до фактора VIII від 19.09.2023 релевантним компаратором визначено антиінгібіторний коагулянтний комплекс (далі – АКК). Повідомляємо, що станом на дату написання даного висновку відповідно вищезазначений компаратор залишається релевантним.

Таким чином, для подальшого проведення державної ОМТ за скороченою процедурою лікарського засобу еміцизумаб було сформульоване наступне досліджуване клінічне питання: визначити ефективність та безпеку застосування еміцизумабу для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дітей, хворих на гемофілію А з утворенням інгібіторів до фактора VIII у порівнянні з АКК у режимі профілактики та при лікуванні кровотеч “на вимогу”.

Популяція (P, population): діти з інгібіторною формою гемофілії типу А.

Втручання (I, intervention): еміцизумаб

Компаратор (C, comparator): антиінгібіторний коагулянтний комплекс (АКК) у режимі профілактики та при лікуванні кровотеч “на вимогу”.

Кінцеві точки (O, outcomes): загальна частота епізодів кровотеч, частота

¹⁷ <https://elearning.wfh.org/resource/treatment-guidelines/>

¹⁸ <https://www.thieme-connect.de/products/ejournals/html/10.1055/a-1127-6476>

¹⁹ <https://www.ukhcdo.org/wp-content/uploads/2020/10/Guidelines-on-the-use-of-prophylactic-factor-replacement-for-children-and-adults-with-Haemophilia-A-and-B.-A-British-Society-for-Haematology-Guideline..pdf>

²⁰ https://www.ukhcdo.org/wp-content/uploads/2019/05/2018-Collins_et_al-2018-Haemophilia.pdf

кровотеч, що потребуватимуть лікування, суглобові кровотечі, побічні реакції.

Стратегія пошуку даних: оновлений пошук даних проведено у базах даних PubMed, The Cochrane Library database. Пошук літератури був обмежений англomовними статтями та повнотекстовими публікаціями.

Критерії включення: систематичні огляди та метааналізи рандомізованих контрольованих досліджень, проспективних та ретроспективних обсерваційних досліджень; рандомізовані та нерандомізовані клінічні дослідження з вивчення застосування еміцизумабу у порівнянні з АКК для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дітей, хворих на гемофілію А з утворенням інгібіторів до фактора VIII.

Критерії виключення: дослідження на тваринах, здорових добровольцях, рандомізовані та нерандомізовані дослідження I та II фаз, відсутність представлення результатів дослідження.

Ключові слова пошуку: emicizumab, children, pediatric patients, infants, adolescent patients, hemophilia, haemophilia, haemophilia A, hemophilia A with inhibitors, aPCC. Під час пошуку інформації використано оператори «Boolean» (AND, OR, NOT).

Після виключення дублікатів, вичитки заголовків та абстрактів, перевірки публікацій на відповідність визначеному клінічному питанню не виявлено вторинних джерел, зокрема систематичних оглядів й метааналізів, які б узагальнювали результати клінічних досліджень ефективності та безпеки еміцизумабу проти АКК для профілактики кровотеч у дітей з інгібіторною формою гемофілії А. Також не виявлено прямих порівняльних досліджень щодо ефективності й безпеки еміцизумабу та АКК для профілактики кровотеч, а також вторинних джерел з результатами непрямого порівняння.

За відсутності вторинних джерел (систематичних оглядів і метааналізів) та прямих порівняльних даних, але з урахуванням орфанного статусу гемофілії А та дитячої популяції пацієнтів, уповноважений орган, керуючись Настановою з державної ОМТ для лікарських засобів, затвердженою наказом МОЗ від 29.03.2021 № 593 у редакції наказу МОЗ від 23.07.2026 № 1011 (далі – Настанова), проаналізував весь спектр відкритих клінічних даних, зокрема докази, які не повністю відповідали формату PICO та критеріям включення.

За результатами пошуку були знайдені клінічні дослідження ефективності та безпеки еміцизумабу за участі дітей з інгібіторною формою гемофілії А: HAVEN 1 (NCT02622321)²¹ публікація *Oldenburg et al., 2017*²² та HAVEN 2 (NCT02795767)²³ публікація *Young et al., 2019*,²⁴ які вже були проаналізовані уповноваженим органом раніше у 2024 році при проведенні державної ОМТ за скороченою процедурою. Інших оновлених даних щодо клінічної ефективності та безпеки еміцизумабу порівняно з відсутністю такої профілактики на основі відкритої інформації знайдено не було.

²¹ <https://clinicaltrials.gov/study/NCT02622321>

²² https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa1703068?query=recirc_curatedRelated_article

²³ <https://clinicaltrials.gov/study/NCT02795767>

²⁴ <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/31697801/>

Оскільки клінічні дослідження HAVEN 1 та HAVEN 2 уже аналізувалися уповноваженим органом під час державної ОМТ за скороченою процедурою у 2024 році, результати щодо клінічної ефективності та безпеки еміцизумабу для рутинної профілактики кровотеч у дітей з інгібіторною формою гемофілії А, детально описані у попередньому висновку (висновок уповноваженого органу від 26.07.2024 року). В даному висновку подано узагальнені дані щодо клінічної ефективності та безпеки за ключовими досліджуваними параметрами.

Дослідження HAVEN 1 (Oldenburg et al., 2017; підгруповий аналіз пацієнтів 12-18 років)

- профілактичне лікування еміцизумабом призвело до меншої кількості пролікованих епізодів кровотеч порівняно з відсутністю профілактики (лікування “на вимогу”) – 0,4 vs 10,9 відповідно, RR 0,04, 95% CI (0,005 - 0,314);

- перехід з попередньої профілактики шунтуючими препаратами на профілактику еміцизумабом (інтраіндивідуальне порівняння) знижує середню річну частоту пролікованих кровотеч (англ. annualized bleeding rate, ABR) на 79% ($p < 0,001$) з 15,7 (95% CI: 11,1-22,3) до 3,3 (95% CI: 1,3-8,1).

Дослідження HAVEN 2 (Young et al., 2019; n=88, діти з інгібіторною формою гемофілії А, переважно віком до 12 років)

- у пацієнтів, що отримували профілактику еміцизумабом (щотижневий режим 1,5 мг/кг) середня річна частота пролікованих кровотеч у дітей становила 0,3 (95% CI: 0,17-0,50), а 77% педіатричних пацієнтів мали нульову кількість пролікованих кровотеч. Більшість зареєстрованих епізодів (91%) мали травматичне походження;

- перехід із профілактики препаратами шунтувальної дії на еміцизумаб (інтраіндивідуальне порівняння) привів до зниження ABR з 21,1 до 0,3 (зменшення ризику кровотеч на 99%);

- також профілактика еміцизумабом асоціюється з клінічно значущим покращенням якості життя (HRQoL) за опитувальниками Haemo-QoL-SF (зміна середнього бала -11,3) та Inhib-QoL (зміна середнього бала -31,6). А середня кількість пропущених днів у школі/дитячому садку знизилася з 0,41 до 0,25 на 13-му тижні та зберігалася на низькому рівні надалі;

- найчастіші побічні явища, що виникали під час профілактичного лікування (назофарингіт (37,5%) і реакції в місці ін'єкції (30,7%)), не потребували відміни терапії. Зафіксовано лише один серйозний випадок, пов'язаний із препаратом (поява нейтралізуючих антитіл), що призвела до припинення лікування.

Оскільки за результатами пошукової стратегії не було знайдено нових вторинних джерел та прямих порівняльних досліджень, уповноваженим органом додатково було проаналізовано обсерваційні дослідження реальної клінічної практики, зокрема, дані міжнародного реєстру PedNet (Konrad van der Zwet et al. *Bleeding control improves after switching to emicizumab: Real-world experience of 177 children in the PedNet registry*, 2024 (далі – van der Zwet et al., 2024),²⁵ де оцінювали

²⁵ <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1111/hae.15015>

результати переходу з профілактики за допомогою ВРА на профілактику еміцизумабом за участю дітей із гемофілією А.

Результати підгрупового аналізу дітей з інгібіторною формою гемофілії А (n=64, медіана віку 7,8 року), що отримували профілактику еміцизумабом (медіана спостереження 2,18 року) свідчать про статистично ($p < 0,001$) та клінічно значуще зниження середньої річної частоти пролікованих кровотеч (ABR) з 5,08 (95% CI 4,08-6,38) до 0,75 (95% CI 0,56-1,01) та середньої річної частоти суглобових кровотеч з 1,90 (95% CI 1,42-2,58) до 0,34 (95% CI 0,21-0,56). Під час терапії еміцизумабом не було зареєстровано жодної небезпечної для життя кровотечі.

На відміну від результатів дослідження HAVEN 2, дані реальної клінічної практики (van der Zwet et al., 2024) продемонстрували дещо вищу частоту пролікованих кровотеч (ABR 0,75 порівняно з 0,30 у HAVEN 2). Попри таку незначну розбіжність, досягнутий рівень гемостатичного контролю залишається високим і клінічно значущим, що не спростовує та не змінює попередньо сформованих висновків уповноваженого органу щодо клінічної ефективності та профілю безпеки еміцизумабу.

Таким чином, дані реальної клінічної практики (van der Zwet et al., 2024) підтверджують результати ефективності та безпеки еміцизумабу у дослідженнях HAVEN 1 (Oldenburg et al., 2017) та HAVEN 2 (Young et al., 2019), відповідно висновки уповноваженого органу щодо ключових параметрів ефективності (зокрема, вираженого зниження річної частоти пролікованих кровотеч) і сприятливого профілю безпеки застосування еміцизумабу для рутинної профілактики кровотеч у дітей з інгібіторною формою гемофілії А, залишаються незмінними.

3) дані щодо економічної доцільності в частині ефективності витрат використання лікарського засобу відповідно до рекомендованої шкали граничних значень інкрементального показника ефективності витрат в Україні

Відповідно до п.7 Порядку проведення державної ОМТ, затвердженого постановою КМУ від 23 грудня 2020 р. № 1300 (далі - Порядок), державна ОМТ за скороченою процедурою не передбачає проведення аналізу ефективності витрат та розрахунку інкрементального показника ефективності витрат (ICER) в Україні.

4) дані щодо результатів економічної доцільності в частині аналізу впливу на показники бюджету

Відповідно до п.7 Порядку, державна ОМТ за скороченою процедурою передбачає проведення аналізу впливу на показники бюджету в Україні.

Мета: оцінити вплив на бюджет лікарського засобу еміцизумаб для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дітей, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII.

Метод: аналіз впливу на бюджет з часовим горизонтом один рік. Аналіз проведений на підставі прямих медичних витрат на медичну технологію з

перспективи державного платника визначеної цільової популяції відповідно до даних, наданих у зверненні МОЗ України (відповідно до листа МОЗ України від 19.08.2026 № 03.4.0/45597/2-26).

Згідно з інформацією, викладеною у додатку до листа МОЗ від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26, для проведення розрахунків було використано закупівельну ціну за договором керованого доступу минулого періоду, що становить [REDACTED] без урахування ПДВ за 1 міліграм еміцизумабу.

Таблиця 1. Вхідні дані для аналізу впливу на бюджет

Параметр	Еміцизумаб	Антиінгібіторний коагулянтний комплекс
Склад діючих речовин	1) 1 флакон містить 30 мг/1 мл еміцизумабу 2) 1 флакон містить 150 мг/1 мл еміцизумабу	1) на 1 мл розчину: білок плазми людини 10-30 мг, активність шунтуюча інгібітори до Фактора коагуляції крові людини VIII 25 Од. 2) на 1 мл розчину: білок плазми людини 20-60 мг, активність шунтуюча інгібітори до Фактора коагуляції крові людини VIII 50 Од.
Форма випуску та дозування	1) розчин для ін'єкцій по 30 мг/1 мл; по 1 мл (30 мг) у флаконі, по 1 флакону в картонній коробці 2) розчин для ін'єкцій по 150 мг/1 мл; по 0,4 мл (60 мг); по 0,7 мл (105 мг); по 1 мл (150 мг) у флаконі, по 1 флакону у картонній коробці	1) порошок та розчинник для розчину для інфузій по 500 Од., порошок у флаконах; розчинник (вода для ін'єкцій) по 20 мл у флаконах; по 1 флакону з порошком у комплекті з 1 флаконом з розчинником та набором для розчинення і введення у коробці 2) порошок та розчинник для розчину для інфузій по 1000 Од.; порошок у флаконах; розчинник (вода для ін'єкцій) по 20 мл у флаконах; по 1 флакону з порошком у комплекті з 1 флаконом з розчинником та набором для розчинення і введення у коробці
Схема застосування	3 мг/кг 1 р./тиждень протягом 4 тижнів, в подальшому – підтримуюча доза: 1,5 мг/кг 1 р./тиждень або 3 мг/кг 1 р./2 тижні, або 6 мг/кг 1 р./4 тижні	1) профілактика: 70-100 Од/кг маси тіла через день для профілактики кровотеч у пацієнтів з високими титрами інгібіторів і частими кровотечами після невдалої індукції імунної толерантності (ІТ) або коли ІТ не розглядається. За необхідності дозу можна збільшити до 100 Од/кг маси тіла на добу або поступово зменшувати 2) лікування “на вимогу”: 100 Од/кг для помірних кровотеч 200 Од/кг для тяжких кровотеч
Ціна, грн	[REDACTED] *	20,18 грн/Од** ²⁶

*відповідно до додатку до листа МОЗ від 19.08.2026 № 03.4.0/45597/2-26 для проведення розрахунків було використано закупівельну ціну за договором керованого доступу минулого періоду без ПДВ

**ціна обрана відповідно до даних останнього завершеного тендеру за даними електронної системи публічних закупівель Prozorro станом на 2021 рік з огляду на те, що наразі

²⁶закупівельна ціна з останнього завершеного тендеру за даними електронної системи публічних закупівель Prozorro - договір про закупівлю від 23.11.2021: <https://prozorro.gov.ua/tender/UA-2021-11-05-005039-b>

антиінгібіторний коагулянтний комплекс закуповується за договором керованого доступу, відповідно до якого ціна є конфіденційною

Розрахунки було проведено відповідно до рекомендованих доз, зазначених в інструкціях для медичного застосування лікарських засобів, з урахуванням, що середня вага дитини – 30 кг. Вартість лікування усіма лікарськими засобами розраховано з математичним округленням необхідної кількості флаконів до цілого числа у бік збільшення.

Для розрахунку витрат на одного пацієнта інформацію щодо кількості кровотеч, що виникають на фоні профілактики еміцизумабом, препаратами шунтуючої дії та за умов відсутності профілактики, було використано за даними досліджень HAVEN 2 (Young et al., 2019²⁷) та NCT02476942 (Oldenburg et al., 2020²⁸) відповідно до висновку уповноваженого органу з державної оцінки медичних технологій за скороченою процедурою станом на 2024 рік²⁹ з огляду на відсутність оновлених даних щодо порівняльної клінічної ефективності еміцизумабу для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дітей, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII.

Відповідно до рекомендацій Робочої групи та виконавчого комітету Центру гемофілії Великобританії (UKHCDO)³⁰ та Медично-наукової консультативної ради Національного фонду боротьби з гемофілією (MASAC)³¹ для лікування епізодів кровотеч у пацієнтів, які отримували еміцизумаб, лікарським засобом “першої лінії” є ептаког-альфа активований (rFVIIa) у дозі 90 мкг/кг, зважаючи на високий ризик розвитку тромбозу при застосуванні вищих доз. Ціна на лікарський засіб ептаког-альфа активований для проведення розрахунків була отримана за даними останнього завершеного тендеру за даними електронної системи публічних закупівель Prozorro³².

Результати розрахунку витрат на одного пацієнта представлено у таблиці 2.

Таблиця 2. Витрати на рік лікування однієї дитини

Показник	Результати
Тривалість курсу лікування заявленим ЛЗ та компаратором, в тому числі очікувана кількість	Часовий горизонт тривалості курсу лікування - 1 рік

²⁷Young G, Liesner R, Chang T, Sidonio R, Oldenburg J, Jiménez-Yuste V, Mahlangu J, Kruse-Jarres R, Wang M, Uguen M, Doral MY, Wright LY, Schmitt C, Levy GG, Shima M, Mancuso ME. A multicenter, open-label phase 3 study of emicizumab prophylaxis in children with hemophilia A with inhibitors. Blood. 2019 Dec 12;134(24):2127-2138. doi: 10.1182/blood.2019001869. PMID: 31697801; PMCID: PMC6908828.

²⁸Oldenburg J, Shima M, Kruse-Jarres R, Santagostino E, Mahlangu J, Lehle M, Selak Bienz N, Chebon S, Asikanius E, Trask P, Mancuso ME, Jiménez-Yuste V, von Mackensen S, Levy GG. Outcomes in children with hemophilia A with inhibitors: Results from a noninterventional study. Pediatr Blood Cancer. 2020 Oct;67(10):e28474. doi: 10.1002/pbc.28474.

²⁹<https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2024/09/vysnovok-upovnovazhenogo-organu-z-derzhavnoyi-omt-za-skorochenoyu-proceduroyu-emicizumab-vid-22.08.24.pdf>

³⁰http://www.ukhcd.org/wp-content/uploads/2019/05/2018-Collins_et_al-2018-Haemophilia.pdf

³¹<https://www.bleeding.org/healthcare-professionals/guidelines-on-care/masac-documents/masac-document-268-recommendation-on-the-use-and-management-of-emicizumab-kxwh-hemlibrar-for-hemophilia-a-with-and-without-inhibitors>

³²закупівельна ціна з останнього завершеного тендеру за даними електронної системи публічних закупівель Prozorro - договір про закупівлю від 18.11.2025: <https://prozorro.gov.ua/uk/tender/UA-2025-10-29-013817-a>

Еміцизумаб для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дітей, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII, 18.09.2026

повторюваних курсів лікування	
Витрати на одного пацієнта при застосуванні заявленого ЛЗ, грн	1) Еміцизумаб для профілактики кровотеч: [REDACTED] 2) Еміцизумаб (профілактика кровотеч)+лікування 0,3 епізодів кровотеч “на вимогу” ептакогом-альфа активованим: [REDACTED]
Витрати на одного пацієнта із застосуванням компаратора, грн	1) Антиінгібіторний коагулянтний комплекс у дозі 100 ОД/кг - для профілактики кровотеч: 11 048 550,00 грн 2) Антиінгібіторний коагулянтний комплекс у дозі 100 ОД/кг - для профілактики кровотеч+лікування 21,1 кровотечі “на вимогу” ептакогом-альфа активованим: 12 159 465,00 грн 3) Антиінгібіторний коагулянтний комплекс - для лікування 19,4 епізодів кровотеч “на вимогу”: 1 761 714,00 грн - середня вартість на рік для помірних та тяжких кровотеч (усереднено між вартістю 1 174 476,00 грн - у дозі 100 ОД/кг для помірних кровотеч та 2 348 952,00 грн - у дозі 200 ОД/кг для тяжких кровотеч)*
Різниця у прямих витратах на заявлений лікарський засіб та компаратори на одного пацієнта, грн	[REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]

Примітка:

*якщо зробити припущення, що у пацієнта протягом року виникатимуть лише помірні кровотечі, які потребуватимуть лікування “на вимогу” антиінгібіторним коагулянтним комплексом, витрати на лікування одного пацієнта становитимуть 1 174 476,00 грн,
[REDACTED]

Відповідно до додатку до листа МОЗ України 19.08.2026 № 03.4.0/45597/2-26 кількість дітей з інгібіторною формою гемофілії типу А, яким призначено еміцизумаб, становить [REDACTED].

Аналіз впливу на бюджет у частині розрахунку витрат на лікарський засіб проведено на підставі прямих медичних витрат на лікарські засоби з перспективи державного платника, що представлено у таблиці 3.

Таблиця 3. Результати аналізу впливу на показники бюджету при використанні еміцизумабу та антиінгібіторного коагулянтного комплексу

	1 рік (діти)
Кількість пацієнтів	
Кількість пацієнтів дитячого віку, що можуть потребувати лікування	
Сценарій 1: уся когорта пацієнтів отримує заявлену медичну технологію - еміцизумаб	
Сценарій 2: уся когорта пацієнтів отримує медичну технологію порівняння - антиінгібіторний коагулянтний комплекс	
Витрати на всю популяцію пацієнтів, грн	
Сценарій 1: витрати на забезпечення усієї когорти пацієнтів заявленою медичною технологією - еміцизумаб (з урахуванням витрат, що виникають на фоні профілактики), грн	
• з них витрати на еміцизумаб, грн	
Сценарій 2: витрати на забезпечення усієї когорти пацієнтів медичною технологією порівняння - антиінгібіторний коагулянтний комплекс в режимі профілактики (з урахуванням витрат, що виникають на фоні профілактики), грн	
• з них витрати на антиінгібіторний коагулянтний комплекс, грн	
Сценарій 3: витрати на забезпечення усієї когорти пацієнтів медичною технологією порівняння - антиінгібіторний коагулянтний комплекс для лікування кровотеч “на вимогу”, грн	(в середньому для помірних та тяжких кровотеч)
при використанні еміцизумабу порівняно з профілактикою антиінгібіторним коагулянтним комплексом, грн	
при використанні еміцизумабу порівняно з лікуванням “на вимогу” антиінгібіторним коагулянтним комплексом помірних та тяжких кровотеч, грн	

Відповідно до проведеного аналізу встановлено, що використання еміцизумабу для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дітей, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII порівняно із профілактикою антиінгібіторним коагулянтним комплексом, а також порівняно із лікуванням “на вимогу” помірних та тяжких

кровотеч антиінгібіторним коагулянтним комплексом з урахуванням припущення, що вони виникатимуть протягом року з однаковою частотою. Варто зазначити, що проведений аналіз має певні обмеження, а саме - відсутність порівняльних даних щодо кількості кровотеч у дітей до 12 років, які виникають на фоні профілактики еміцизумабом, та тих кровотеч, які потребуватимуть лікування “на вимогу” антиінгібіторним коагулянтним комплексом у разі відсутності профілактики, та неможливість спрогнозувати кількість та тяжкість кровотеч, що виникатимуть у дітей у реальній клінічній практиці в Україні.

Результати змодельованого аналізу впливу на бюджет в Україні показали, що витрати на закупівлю еміцизумабу на рік за закупівельною ціною за договором керованого доступу минулого періоду без ПДВ (██████████), становлять ██████████ для однієї дитини та ██████████ для когорти пацієнтів (██████████). Відповідно до рекомендованої шкали оцінки впливу на бюджет щодо витрат на заявлений лікарський засіб в Україні на підставі даних державних витрат на лікарські засоби у 2025 році, встановлено, що при застосуванні еміцизумабу, вплив на бюджет на 1 рік буде ██████████

5) дані щодо коректності інформації про наявність або відсутність економічних та клінічних переваг застосування лікарського засобу порівняно з лікарським засобом або іншою медичною технологією порівняння (або його відсутності)

Відповідно до п.7 Порядку державна ОМТ за скороченою процедурою не передбачає проведення експертизи поданих заявником заяви і досьє, на підставі яких можна зробити висновок про коректність наданої інформації.

3¹. Рівень доданої клінічної користі заявленого лікарського засобу визначається уповноваженим органом для показання, за яким подано заяву, з урахуванням: клінічної значущості результатів для здоров'я, величини відносного ефекту, профілю безпеки та оцінки якості доказових даних

Відповідно до п.7 Порядку державна ОМТ за скороченою процедурою не передбачає визначення рівня доданої клінічної користі.

4. Рекомендації щодо включення (виключення) лікарського засобу до (з) Національного переліку основних лікарських засобів та (або) переліків, що закуповуються за кошти державного бюджету для виконання програм та здійснення централізованих заходів з охорони здоров'я, та (або) рекомендації щодо застосування для цілей охорони здоров'я лікарського засобу, оплата, закупівля або відшкодування вартості якого здійснюється з метою виконання

регіональних цільових програм з охорони здоров'я, що повністю чи частково фінансуються за рахунок коштів місцевих бюджетів, та (або) рекомендації щодо укладення або продовження дії (продлонгації) договорів керованого доступу та (або) інші рекомендації у разі необхідності ухвалення рішень в системі охорони здоров'я

Станом на 18.09.2026 відповідно до звернення МОЗ України від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26 проведено державну ОМТ за скороченою процедурою лікарського засобу еміцизумаб для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дітей, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII на виконання підпункту 7 пункту 8 Порядку проведення державної оцінки медичних технологій, затвердженого постановою Кабінету Міністрів України від 23.12.2020 № 1300 зі змінами (далі – Порядок). Відповідно до п.22 Порядку висновок уповноваженого органу має рекомендаційний характер.

За результатами державної ОМТ лікарського засобу еміцизумаб за скороченою процедурою встановлено:

Результати порівняльної клінічної ефективності (результативності), рівня доданої клінічної користі

Лікарський засіб еміцизумаб, як препарат, що впливає на коагуляцію, включений до 10 випуску Базового переліку основних лікарських засобів для дітей ВООЗ, 2025 року (WHO Model List of Essential Medicines for Children), що свідчить про його доведену ефективність.

За результатами досліджень HAVEN 1 (Oldenburg et al., 2017) та HAVEN 2 (Young et al., 2019) встановлено, що рутинна профілактика еміцизумабом у педіатричній популяції з інгібіторною формою гемофілії А забезпечує виражене зменшення частоти кровотеч порівняно з терапією лікарськими засобами шунтувальної дії “на вимогу” (0,4 vs 10,9 відповідно, RR 0,04, 95% CI: 0,005-0,314; HAVEN 1) та досягнення високого рівня контролю захворювання (ABR 0,3, 95% CI: 0,17-0,50; 77% пацієнтів без кровотеч, HAVEN 2). Інтраіндивідуальне порівняння свідчить про перевагу переходу з профілактики шунтувальними препаратами на еміцизумаб зі зниженням ABR на 79% у пацієнтів 12-18 років (з 15,7 до 3,3; $p < 0,001$) та на 99% у дітей до 12 років (з 21,1 до 0,3), що супроводжувалося клінічно значущим покращенням якості життя HRQoL (зміна середнього бала на -11,3 за Haemo-QoL-SF та -31,6 за Inhib-QoL) і зменшення кількості пропущених днів у школі чи дитячому садку (з 0,41 до 0,25).

Дані реальної клінічної практики (van der Zwet et al., 2024) також підтверджують статистично та клінічно значуще зниження середньої річної частоти пролікованих кровотеч (ABR) з 5,08 до 0,75 та середньої річної частоти суглобових кровотеч з 1,90 до 0,34.

Відповідно до п.7 Порядку державна ОМТ за скороченою процедурою не передбачає визначення рівня доданої клінічної користі.

Безпека застосування лікарського засобу

Лікарський засіб еміцизумаб, як препарат, що впливає на коагуляцію, включений до 10 випуску Базового переліку основних лікарських засобів для дітей ВООЗ, 2025 року, що свідчить про його сприятливий профіль безпеки.

Результати даних реальної клінічної практики (van der Zwet et al., 2024) підтверджують результати оцінки профілю безпеки еміцизумабу у дослідженні HAVEN 2 (Young et al., 2019), відповідно, висновки уповноваженого органу щодо сприятливого профілю безпеки еміцизумабу залишаються незмінними.

Результати ефективності витрат на заявлений лікарський засіб відповідно до рекомендованої шкали граничних значень інкрементального показника ефективності витрат

Державна оцінка медичних технологій за скороченою процедурою не передбачає проведення аналізу ефективності витрат та розрахунку інкрементального показника ефективності витрат (ICER) в Україні.

Результати аналізу впливу на показники бюджету відповідно до рекомендованої шкали оцінки впливу на бюджет

Використання еміцизумабу для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дітей, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII призводить до [REDACTED] порівняно із профілактикою антиінгібіторним коагулянтним комплексом, а також до [REDACTED] порівняно із лікуванням “на вимогу” помірних та тяжких кровотеч антиінгібіторним коагулянтним комплексом з урахуванням припущення, що вони виникатимуть протягом року з однаковою частотою.

Витрати на закупівлю еміцизумабу на рік для когорти пацієнтів ([REDACTED]) за закупівельною ціною за договором керованого доступу минулого періоду без ПДВ ([REDACTED]), становлять [REDACTED]. Відповідно до рекомендованої шкали оцінки впливу на бюджет щодо витрат на заявлений лікарський засіб в Україні на підставі даних державних витрат на лікарські засоби у 2025 році, встановлено, що при застосуванні еміцизумабу, вплив на бюджет на 1 рік буде [REDACTED]

Якість доказових даних

Прийнятна методологічна якість рандомізованого клінічного дослідження HAVEN 1 (Oldenburg et al., 2017).

Організаційні критерії

Гемофілія А внесена до Довідника рідкісних (орфанних) захворювань, затвердженого наказом МОЗ України від 15.01.2026 №60. Орфанні захворювання віднесені до пріоритетних напрямків розвитку сфери охорони здоров'я в Україні відповідно до наказу МОЗ України від 30 грудня 2025 року №1976 “Про затвердження пріоритетних напрямків розвитку сфери охорони здоров'я на 2026-2028 роки”.

Забезпечення доступу пацієнтів, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, до лікарських засобів, медичних виробів та продуктів спеціального

лікувального харчування є однією із складових «Плану заходів щодо реалізації Концепції розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, на 2021-2026 роки».

Застосування еміцизумабу не потребує додаткових організаційних змін у системі надання медичної допомоги.

Епідеміологічні показники щодо окремого захворювання: поширеності, захворюваності та смертності в Україні

Відповідно до додатку до листа МОЗ України від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26, станом на 2026 рік кількість дітей, хворих на гемофілію А з утворенням інгібіторів до фактора VIII, які потребуватимуть застосування еміцизумабу становить [REDACTED].

Враховуючи, що лікарський засіб еміцизумаб включений до 10 випуску Базового переліку основних лікарських засобів для дітей ВООЗ, 2025 року (WHO Model List of Essential Medicines for Children), що свідчить про його доведену клінічну ефективність та безпеку, рекомендації актуальних клінічних настанов і протоколів щодо рутинної профілактики епізодів кровотеч у дітей, хворих на гемофілію А з утворенням інгібіторів до фактора VIII, вищезазначені результати оцінки клінічної ефективності та безпеки, [REDACTED], а також враховуючи попередні рекомендації уповноваженого органу, які залишаються актуальними (висновок від 26.07.2024) рекомендовано продовжити застосування процедури договорів керованого доступу.

5. Інформація щодо строку дії висновку уповноваженого органу

Відповідно до п. 21 Порядку висновок уповноваженого органу стосовно відповідної медичної технології вважається чинним до моменту проведення нової державної оцінки медичної технології.