

ЗАЯВА
на проведення державної оцінки медичних технологій
на лікарський засіб ВОКСЗОГО

1. Інформація про заявника: БІОМАРИН ІНТЕРНЕТШНЛ ЛІМІТЕД

Адреса: 6-й поверх, 2 ГРАНД КАНАЛ СКВЕР, Дублін 2, Дублін, Ірландія

Контактна особа заявника: Лебега Оксана Андріївна, +380676913262, olebega@uihta.org.ua.

2. Дані щодо заявленого лікарського засобу:

1) торговельна назва лікарського засобу: ВОКСЗОГО.

2) міжнародна непатентована назва або синонімічне найменування: восоритид.

3) склад лікарського засобу (діючі та допоміжні речовини): восоритид.

4) форма випуску, що пропонується для включення до Національного переліку основних лікарських засобів та (або) переліків: порошок з розчинником для приготування розчину для ін'єкцій.

{Підпункт 4 пункту 2 із змінами, внесеними згідно з Постановою КМ № 1301 від 22.11.2022}

5) відомості про державну реєстрацію заявленого лікарського засобу в Україні: зареєстрований в Україні. Реєстраційні посвідчення: UA/21236/01/01, UA/21236/01/02 та UA/21236/01/03 затверджений наказом МОЗ: №498 від 13.04.2026. Термін дії реєстраційних посвідчень: з 13.04.2026 по 13.04.2031.

6) фармакологічна дія лікарського засобу: модифікований натрійуретичний пептид типу С (далі - CNP). У пацієнтів з ахондроплазією (далі – АХ) ендохондральний ріст кістки негативно регулюється через мутацію з посиленням функції рецептора 3 фактора росту фібробластів (далі - FGFR3)). Зв'язування восоритиду з рецептором натрійуретичного пептиду-В антагонізує подальші сигнали FGFR3 шляхом інгібування позаклітинних сигналорегульованих кіназ 1 і 2 шляху мітогенактивованої протеїнкінази на рівні серин/треонінової протеїнкінази швидкопрогресуючої фібросаркоми. Як наслідок, восоритид, як і CNP, діє як позитивний регулятор ендохондрального росту кістки, оскільки сприяє проліферації та диференціації хондроцитів.

7) фармакотерапевтична група лікарського засобу та код за анатомо-терапевтично-хімічною класифікацією: препарати для лікування захворювань кісток, інші препарати, що впливають на структуру кісток та їх мінералізацію. Код АТХ M05B X07.

8) одне показання до медичного застосування, за яким подається заява: лікування ахондроплазії (АХ) у пацієнтів віком від 4 місяців, у яких епіфізи не закриті. Діагноз АХ повинен бути підтверджений відповідним генетичним дослідженням.

9) показання до медичного застосування відповідно до інструкції для медичного застосування, затвердженої МОЗ, за наявності державної реєстрації лікарського засобу в Україні: лікування АХ у пацієнтів віком від 4 місяців, у яких епіфізи не закриті. Діагноз АХ повинен бути підтверджений відповідним генетичним дослідженням.

10) спосіб застосування: щоденно, п/ш. Рекомендована доза залежить від ваги пацієнта і приблизно дорівнює 15-30 мкг/кг. Дітям наймолодшого віку призначають вищу дозу. Дозування детально визначене у таблиці 1 досьє, що надається.

11) 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:

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 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. {Пункт 3 із змінами, внесеними згідно з Постановою КМ № 1301 від 22.11.2022}.

АХ є рідкісним, прогресуючим, хронічним, мультисистемним генетичним захворюванням, яке спричиняє інгібування ендохондрального окостеніння, що призводить до непропорційно низького зросту та порушення росту кісток, яке виникає та накопичується від народження і стає причиною цілого спектру важких та пожиттєвих інвалідизуючих симптомів із такими проявами як вкорочення проксимальних частин обох рук та ніг, характерними рисами обличчя, а також потенційно важкими ускладненнями. АХ обумовлена генетичним порушенням, а саме мутаціями в гені FGFR3 (G380R як одна із найпоширеніших мутацій)^{1, 2, 3}.

Основними характеристиками АХ є непропорційно низький зріст разом із непропорційністю тіла, коли пацієнти з АХ втрачають до 23 см зросту, порівняно із загальною популяцією протягом перших п'яти років життя⁴. Крім того, АХ характеризується мультисистемними ускладненнями, пов'язаними із затримкою росту ендохондральної кістки протягом життя: стеноз великого потиличного отвору, синдром раптової дитячої смерті та обструктивне апное сну у немовлят та дорослих. Більшість ускладнень можуть бути рецидивуючими або хронічно прогресуючими, такі як: оториноларингологічні, нейроортопедичні проблеми (кіфоз, стеноз хребтового каналу, genu varum, ожиріння, психологічні патології, хронічний біль та ін.). Біль виникає у третини підлітків та є прогресуючим у всіх дорослих з АХ^{5, 6, 7}. Для АХ характерний вищий ризик дитячої смертності, особливо в перші роки життя, та скорочення тривалості життя⁸.

Клінічні прояви АХ мають суттєвий негативний вплив на якість життя пацієнта. Низький зріст при АХ впливає на якість життя та функціональні здібності. Дослідження показали, що особи з АХ, мають нижчі середні бали за різними HRQoL інструментами (включаючи, QoLISSY та PedsQL)⁹. Крім того, мультисистемні супутні захворювання та ускладнення АХ впливають на кожен етап життя пацієнтів з АХ. Різноманітність супутніх захворювань та їх тяжкість пов'язані зі значним навантаженням на якість життя пацієнтів та осіб, які за ними доглядають.

Приблизно 250 000 людей у світі страждають від АХ^{10, 11}. В Україні існує незадоволена потреба у фармакологічному лікуванні АХ. За наявними даними, цільова популяція становить орієнтовно 158 пацієнтів, деталі щодо цього питання висвітлені у розділі 7 досьє, що надається.

¹ William A Horton. 2007, <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/17630040/>

² Penny J Ireland, 20214, <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/25053890/>

³ Janet M Legare 2026, <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/20301331/>

⁴ Andrea Merker 2018, <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/30070757/>

⁵ Julie E Hoover-Fong 2025, <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34949201/>

⁶ Jeanne M Pimenta 2023, <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37491331/>

⁷ Ravi Savarirayan 2025, <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/39757323/>

⁸ Julia Wynn 2007, <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/17879967/>

⁹ Melita Irving 2022, <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1098360022003185>

¹⁰ Richard M Pauli 2019, <https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC6318916/>

¹¹ William A Horton 2007, https://www.researchgate.net/publication/6208268_Achondroplasia

В минулі роки терапія АХ концентрувалася, в основному, на лікуванні ускладнень. Восоритид є першим і єдиним зареєстрованим в Україні хворобомодифікуючим препаратом для лікування АХ, який має масштабну і методологічно якісну програму клінічної розробки, яка складається з одnogрупового дослідження II фази у дітей віком > 5 років (111-202) з ескалацією дози для оцінки безпеки та його продовження (111-205); РКД II фази у дітей віком до 5 років (111-206) та його продовження (111-208); РКД III фази (111-301) з плацебо-контролем та його продовження (111-302), досліджень з реальної клінічної практики (RWE).

Дані клінічних досліджень демонструють статистично значуще збільшення річної швидкості росту (AGV) у дітей з АХ віком від 0 до <18 років, покращення стандартизованих показників зросту та пропорцій тіла без ознак прискорення дозрівання кісток; так у дітей у віці від 5 до 18 років через 52 тижні спостереження різниця в AGV між групою восоритиду та плацебо становила 1,57 см/рік (95% ДІ: 1,22–1,93; $p < 0,0001$); довгострокові дані подовжених досліджень доповнюють результати основних РКД та свідчать про збереження стійкого позитивного впливу на ріст при тривалому лікуванні. ЛЗ має сприятливий і стабільний профіль безпеки, що доведено при коротко- та довгостроковому застосуванні є загалом сприятливим та стабільним. Восоритид застосовується в дитинстві та забезпечує довгострокові та довічні переваги, полегшуючи вплив АХ на життя пацієнтів та їхніх сімей, опікунів та системи охорони здоров'я. Результати економічної оцінки демонструють додаткову клінічну користь застосування восоритиду порівняно з підтримувальною терапією. Важливим аспектом застосування восоритиду для лікування АХ є час початку терапії. Ранній початок лікування дає змогу використовувати періоди активного росту в дитячому віці та забезпечити максимально тривалий період терапії до закриття епіфізарних зон росту. Такий підхід узгоджується з сучасними міжнародними рекомендаціями щодо лікування АХ. Важливою умовою для призначення Восоритиду є генетичне підтвердження діагнозу.

Результати порівняльної клінічної оцінки представлені у Клінічному розділі досьє, що надається. Пункти 8, 9, 10 та 11 Досьє містять інформацію з обмеженим доступом (дані PSUR, дані щодо спеціальної цінової пропозиції, економічні розрахунки, клінічні дані, де про це зазначено). Визначена інформація знаходиться у володінні, користуванні та розпорядженні виробника, є його комерційно конфіденційною інформацією (комерційною таємницею). Обмежений доступ до вказаної інформації має на меті захист законних прав виробника та запобігання економічної та іншої шкоди виробнику (інформацію додано згідно зауважень первинної експертизи). Лікарський засіб восоритид пропонується включити до: Переліку 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, затвердженого Постановою КМУ від 07.03.2022 № 216¹², з метою покращення якості життя пацієнтів через досягнення клінічних результатів (збільшення зросту та швидкості росту, пропорційність, зменшення ускладнень, що буде сприяти їх функціональній та психосоціальній адаптації пацієнтів.

Директор ТОВ «Українська незалежна
агенція з оцінки медичних технологій»

Лебега Оксана Андріївна

28 серпня 2026 року

¹² Постанова КМУ від 07.03.2022 № 216, <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/216-2022-%D0%BF#n14>