



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: галсульфаза

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 галсульфаза за показанням лікування пацієнтів з мукополісахаридозом VI типу була проведена за зверненням МОЗ України на виконання підпункту 7 пункту 8 Порядку проведення державної оцінки медичних технологій, затвердженого постановою Кабінету Міністрів України від 23.12.2020 №1300 (далі – Порядок), лист МОЗ України від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26.

У 2022 році уповноваженим органом було проведено ОМТ за скороченою процедурою лікарського засобу галсульфаза за показанням – лікування пацієнтів з

мукополісахаридозом VI типу (висновок уповноваженого органу від 01.09.2022).¹ Також у 2025 році на виконання підпункту 6 пункту 8 Порядку у зв'язку з продовженням дії договору керованого доступу (продлонгація), уповноваженим органом було проведено ОМТ за скороченою процедурою лікарського засобу галсульфаза за тим же показанням – лікування пацієнтів з мукополісахаридозом VI типу (висновок уповноваженого органу від 09.07.2025).²

2. Інформація про заявлений лікарський засіб:

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

Станом на 18.09.2026 р. в Державному реєстрі лікарських засобів:³

НАГЛАЗИМ, концентрат для розчину для інфузій, 1 мг/мл по 5 мл у флаконі, по 1 флакону в картонній коробці.

Виробник – АндерсонБрекон (ЮК) Лімітед, Велика Британія; Веттер Фарма-Фертігунг ГмбХ і Ко. КГ, Німеччина; БіоМарин Інтернешнл Лімітед, Ірландія.

Заявник – БіоМарин Інтернешнл Лімітед, Ірландія.

2) торговельна назва лікарського засобу:

НАГЛАЗИМ

3) міжнародна непатентована назва або синонімічне найменування:
Галсульфаза/Galsulfase

4) склад лікарського засобу (діючі та допоміжні речовини): 1 мл розчину містить 1 мг галсульфази; 1 флакон містить 5 мг галсульфази.

5) форма випуску: концентрат для розчину для інфузій.

6) спосіб застосування лікарського засобу:

Як і у разі наявності інших лізосомальних генетичних порушень, вкрай важливо, особливо за тяжких форм, розпочинати лікування якомога раніше, до появи необоротних клінічних проявів захворювання.

Лікування Наглазимом слід проводити під наглядом лікаря, який має досвід лікування пацієнтів з мукополісахаридозом VI типу або іншими спадковими метаболічними захворюваннями. Наглазим слід вводити у відповідних клінічних умовах, за наявності реанімаційного обладнання для надання невідкладної медичної допомоги.

Рекомендована доза галсульфази становить 1 мг/кг маси тіла один раз на тиждень у вигляді внутрішньовенної інфузії протягом 4 годин.

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

РП UA/13183/01/01, термін дії - необмежений з 30.10.2023.

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

Інші засоби, що впливають на травну систему та метаболічні процеси, ферменти. Код АТХ A16A B08.

¹<https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2022/09/3.-vysnovok-upovnovazhenogo-organu-z-derzhavnoi%CC%88-oczinky-medychnyh-tehnologij-zaskorochenoyu-proceduroyu-galsulfaza-vid-01.09.2022.pdf>

²<https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2025/07/vysnovok-upovnovazhenogo-organu-z-derzhavnoi-oczinky-medychnyh-tehnologij-zaskorochenoyu-proceduroyu-galsulfaza-vid-09.07.2025.pdf>

³<https://drlz.info/register/product/24809>

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

Державну оцінку медичних технологій (далі - ОМТ) проведено за скороченою процедурою за зверненням МОЗ України, що не передбачає подання заяви. У зверненні МОЗ (лист МОЗ України від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26) зазначено наступне показання: лікування пацієнтів з мукополісахаридозом VI типу (далі - МПС VI типу).

10) показання до медичного застосування відповідно до інструкції для медичного застосування, затвердженої МОЗ, за наявності державної реєстрації лікарського засобу в Україні:

Наглазим застосовують для довгострокової ферментної замісної терапії пацієнтів з підтвердженим діагнозом мукополісахаридозу VI типу (МПС VI; недостатність N-ацетилгалактозамін-4-сульфатази; синдром Марото – Ламі).

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 зверненні МОЗ зазначено, що на виконання підпункту 7 пункту 8 Порядку, МОЗ просить провести державну оцінку медичних технологій за скороченою процедурою щодо лікарського засобу галсульфаза за показанням лікування пацієнтів з МПС VI типу.

МПС VI типу включено до Переліку рідкісних (орфанних) захворювань, затвердженого наказом МОЗ України від 27.10.2014 № 778, зареєстрованого в Міністерстві юстиції України 13.11.2014 за № 1439/26216.⁴ У 2026 році наказом МОЗ України від 15.01.2026 № 60 затверджено Довідник рідкісних (орфанних) захворювань, до якого також включено мукополісахаридоз VI типу.⁵

В Україні Концепцію розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, на 2021-2026 роки схвалено розпорядженням Кабінету Міністрів України від 28.04.2021 № 377-р.⁶ Метою Концепції є зменшення смертності від рідкісних (орфанних) захворювань та підвищення якості життя пацієнтів шляхом забезпечення справедливого і рівного доступу до якісної медичної допомоги, зокрема до ефективних та безпечних лікарських засобів, медичних виробів, продуктів спеціального лікувального харчування та психологічного супроводу. На виконання Плану заходів щодо реалізації зазначеної Концепції наказом МОЗ України від 15.01.2026 №60 затверджено Довідник рідкісних (орфанних) захворювань, до якого включено, зокрема, мукополісахаридоз VI типу.⁷

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)

⁴<https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/z1439-14#Text>

⁵ <https://moz.gov.ua/uk/zatverdzheno-dovidnik-ridkisnih-orfannih-zahvoryuvan>

⁶<https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/377-2021-%D1%80#Text>

⁷ <https://moz.gov.ua/uk/zatverdzheno-dovidnik-ridkisnih-orfannih-zahvoryuvan>

МПС VI типу – це лізосомне захворювання накопичення з прогресуючим ураженням багатьох систем, пов'язане з дефіцитом арилсульфатази В, що призводить до накопичення дерматансульфату. Захворювання передається аутосомно-рецесивним шляхом і викликається мутаціями в гені ARSB, розташованому в 5 хромосомі (5q13-5q14). Повідомлялося про понад 130 мутацій ARSB, які спричиняли відсутність або знижену активність арилсульфатази В (ASB або N-ацетилгалактозамін 4-сульфатази) та переривання деградації дерматансульфату та хондроїтинсульфату.

Захворювання має широкий спектр симптомів та може мати як повільно прогресуючий, так і швидко прогресуючий перебіг. Характерні скелетні дисплазії: низький зріст, множинний дизостоз і дегенеративне захворювання суглобів. Швидко прогресуючі форми можуть мати початок від народження, підвищення рівня глікозаміногліканів у сечі (зазвичай >100 мкг/мг креатиніну), важкий множинний дизостоз, низький зріст і смерть до 2-го або 3-го десятиліття. Більш повільно прогресуюча форма була описана як така, що має пізній початок, помірне підвищення рівня глікозаміногліканів (зазвичай <100 мкг/мг креатиніну), легкий множинний дизостоз зі смертю на 4-му або 5-му десятилітті. Інші клінічні ознаки можуть включати захворювання клапанів серця, зниження функції легень, гепатоспленомегалію, синусит, середній отит, втрату слуху, апное уві сні, помутніння рогівки, захворювання зап'ястного каналу, пахові або пупкові грижі. Хоча інтелектуальний дефіцит, як правило, відсутній при МПС VI типу, симптоми з боку центральної нервової системи можуть включати компресію шийного відділу хребта, спричинену нестабільністю шийного відділу хребта, потовщення мозкових оболонок та/або кістковий стеноз, гідроцефалію, атрофію зорового нерва та сліпоту.⁸

Відповідно до міжнародної класифікації BOO3 МКХ-11 МПС VI типу має код 5C56.33 (5C56.3Y Other specified mucopolysaccharidosis).⁹

За актуальними даними відкритого джерела інформації про рідкісні захворювання Orphanet (останнє оновлення – червень 2026 року), поширеність МПС VI типу при народженні становить від 1 випадку на 43 261 до 1 випадку на 1 505 160 живонароджених.¹⁰

Відповідно до даних, наданих у додатку до листа МОЗ від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26, станом на 2026 рік кількість пацієнтів з МПС VI типу в Україні, що потребують застосування галсульфази становить [REDACTED].

2) дані щодо достовірності результатів порівняльної клінічної ефективності та безпеки заявленого лікарського засобу. Опис (представлення) зазначених результатів

Уповноваженим органом було проведено державну ОМТ за скороченою процедурою у 2022 та 2025 роках лікарського засобу галсульфаза для лікування пацієнтів з мукополісахаридозом VI типу.

У межах поточної державної ОМТ за скороченою процедурою у 2026 році проведено оновлений пошук галузевих стандартів у сфері охорони здоров'я

⁸<https://www.orpha.net/en/disease/detail/583?name=5C56.33&mode=icd11>

⁹<https://icd.who.int/browse11/l-m/en#/http%3a%2f%2fid.who.int%2fcd%2fentity%2f1596128696%2fmms%2fother>

¹⁰ <https://www.orpha.net/en/disease/detail/583?name=MPSVI&mode=name>

України. Нових або оновлених нормативних документів, які б змінювали підходи до лікування пацієнтів з МПС VI типу, не виявлено. Чинним залишається Уніфікований клінічний протокол первинної, вторинної (спеціалізованої) та третинної (високоспеціалізованої) медичної допомоги **“МУКОПОЛІСАХАРИДОЗ VI ТИПУ”**, затверджений наказом МОЗ України від 23.02.2015 № 90,¹¹ положення якого були детально представлені у висновках уповноваженого органу за 2022 та 2025 роки. Відповідно до протоколу, специфічним методом лікування МПС VI типу є ферментно замісна терапія (далі – ФЗТ) галсульфазою, яку рекомендовано розглядати з моменту встановлення діагнозу в межах комплексного ведення пацієнта. Ефективність терапії оцінюють за клінічними, функціональними та біохімічними показниками.

Лікарський засіб галсульфаза не включений до 18 випуску **Державного формуляра лікарських засобів** (наказ МОЗ України від 27.07.2026 № 1021).¹²

Уповноваженим органом повторно проведено пошук міжнародних клінічних настанов та рекомендацій наукових товариств щодо лікування пацієнтів з МПС VI типу. За результатами оновленого пошуку нових або оновлених рекомендацій, які б змінювали підходи до ФЗТ галсульфазою, не виявлено, раніше представлені рекомендації залишаються актуальними.

Відповідно до **Національного протоколу діагностики та лікування мукополісахаридозів, Франція, 2025 року (Protocole National de Diagnostic et de Soins (PNDS) Mucopolysaccharidoses)**,¹³ для пацієнтів з МПС VI типу рекомендовано застосування ФЗТ галсульфазою у дозі 1 мг/кг один раз на тиждень.

Також, відповідно до **міжнародних рекомендацій щодо ведення МПС VI типу: систематичні рекомендації, засновані на доказах і консенсусі, 2019 рік. Akyol, M.U., Alden, T.D., Amartino, H. et al. Recommendations for the management of MPS VI: systematic evidence- and consensus-based guidance. Orphanet J Rare Dis 14, 118 (2019)**,¹⁴ пацієнтам із МПС VI типу рекомендується якнайшвидше розпочати довготривалу ФЗТ галсульфазою у дозі 1 мг/кг/тиждень шляхом внутрішньовенної інфузії після підтвердженого діагнозу. Ступінь доказовості В (консенсус - 89%).

Актуальними також залишаються **Рекомендації щодо лікування МПС VI типу в рамках австралійської Програми “Ліки, що рятують життя”, 2024 року (Guidelines for the treatment of mucopolysaccharidosis type VI (MPS VI) through the Life Saving Drugs Program)**.¹⁵

Детальна інформація щодо критеріїв доступу до лікування галсульфазою, умов продовження терапії та підстав для припинення фінансування в межах австралійської Програми «Ліки, що рятують життя» була представлена у висновку уповноваженого органу за 2025 рік. У зв'язку з відсутністю змін у відповідних рекомендаціях у межах поточної державної ОМТ за скороченою процедурою зазначені положення повторно детально не наводяться.

¹¹https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2019/11/2015_90_ykpm_d_mpl_vi.pdf

¹² https://moz.gov.ua/storage/uploads/9a532cd0-2395-4782-914f-49d7307bfe24/dn_1021_27072026_dod.pdf

¹³https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2025-01/mucopolysaccharidoses_-_pn_ds_-_janvier_2025.pdf

¹⁴<https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-019-1080-y>

¹⁵<https://www.health.gov.au/sites/default/files/2024-09/life-saving-drugs-program-mucopolysaccharidosis-type-vi-mps-vi-guidelines.pdf>

У висновках уповноваженого органу за 2022 та 2025 роки зазначено, що компаратором є найкраща підтримуюча терапія (далі – НПТ). Станом на дату підготовки даного висновку з державної ОМТ за скороченою процедурою в Україні відсутні інші лікарські засоби ФЗТ для лікування пацієнтів з МПС VI типу, відповідно НПТ наразі залишається релевантним компаратором.

Результати клінічної ефективності та безпеки лікарського засобу галсульфаза у порівнянні з НПТ

Уповноваженим органом проведено оновлений пошук вторинних джерел доказових даних щодо порівняльної клінічної ефективності та безпеки галсульфази та НПТ. Пошук був проведений у базах даних PubMed, The Cochrane Library database.

Клінічне питання: вивчити клінічну ефективність та безпеку галсульфази в порівнянні з НПТ для лікування МПС VI типу у дорослих та дітей.

Популяція (P, population) – дорослі та діти з МПС VI типу.

Втручання (I, intervention) – галсульфаза.

Компаратор (C, comparator) – найкраща підтримуюча терапія.

Кінцеві точки (O, outcomes) – 12-хвилинний тест ходьби, 3-хвилинний підйом по сходах, 6-хвилинний тест ходьби, функція дихання, функція серця, екскреція глікозаміногліканів із сечею, побічні реакції.

Критеріями включення були систематичні огляди та/або мета-аналізи рандомізованих контрольованих досліджень, проспективних та ретроспективних обсерваційних досліджень з вивчення ефективності та безпеки галсульфази для лікування МПС VI типу. **Критеріями виключення були** дослідження фармакокінетики та фармакодинаміки, доклінічні дослідження, рандомізовані та нерандомізовані дослідження, відсутність представлених результатів, дослідження, опубліковані не англійською мовою.

Ключові слова пошуку: Mucopolysaccharidosis VI, MPS VI, Maroteaux–Lamy syndrome, Galsulfase, Naglazyme, N-Acetylgalactosamine-4-Sulfatase, rhASB, enzyme replacement therapy. Застосовувалися фільтри: Meta-Analysis, Systematic Review, full-text, English.

Після виключення дублікатів, вичитки заголовків та абстрактів, перевірки публікацій на відповідність визначеному клінічному питанню було відібрано 2 систематичні огляди *Brunelli et al., 2021*¹⁶ та *El Dib and Pastores, 2009*,¹⁷ які було проаналізовано уповноваженим органом раніше у 2022 та 2025 роках при проведенні державної ОМТ за скороченою процедурою. У систематичному огляді *Brunelli et al., 2021*, який уже був детально проаналізований уповноваженим органом у 2022 та 2025 роках, було включено одне рандомізоване плацебо-контрольоване дослідження *Harmatz et al., 2006*¹⁸ тривалістю 24 тижні. Застосування галсульфази у дозі 1 мг/кг один раз на тиждень порівняно з плацебо асоціювалося зі збільшенням дистанції 12-хвилинної ходьби на 92 м (95% CI 12-

¹⁶Brunelli MJunqueira, Atallah ÁN, da Silva EMK. Enzyme replacement therapy with galsulfase for mucopolysaccharidosis type VI. Cochrane Database of Systematic Reviews 2021, Issue 9. Art. No.: CD009806. DOI: 10.1002/14651858.CD009806.pub3.

¹⁷Regina P El Dib, Gregory M Pastores. A systematic review of new advances in the management of mucopolysaccharidosis VI (Maroteaux-Lamy syndrome): focus on galsulfase. *Biologics: Targets & Therapy* 2009;3 459–468.

¹⁸Harmatz P, et al. Enzyme replacement therapy for mucopolysaccharidosis VI: a phase 3, randomized, doubleblind, placebo-controlled, multinational study of recombinant human N-acetylgalactosamine 4-sulfatase (recombinant human arylsulfatase B or rhASB) and follow-on, open-label extension study. *Journal of Pediatrics* 2006;148(4):533-9.

172) та 6-хвилинної ходьби на 53 м (95% CI 16-90), а також зі зниженням рівня глікозаміногліканів у сечі (MD -227; 95% CI -264 – -190). Водночас статистично значущого покращення за тестом 3-хвилинного підйому сходами та показниками функції легень не встановлено, суттєвих відмінностей у профілі безпеки між галсульфазою та плацебо також не виявлено.

У систематичному огляді *El Dib and Pastores, 2009* оцінювали ефективність та безпеку галсульфази при МПС VI типу на основі двох досліджень (публікації *Harmatz, 2004; Harmatz, 2005; Harmatz, 2006*). Метааналіз не проводили через відмінності у порівнюваних втручаннях. Автори дійшли висновку про наявність обмежених доказів на користь застосування галсульфази та необхідність подальших досліджень через малу кількість доступних даних.

Отже, галсульфаза порівняно з плацебо покращує фізичну витривалість та знижує рівень глікозаміногліканів у сечі, не демонструючи статистично значущого впливу на функцію легень, профіль безпеки є подібним до плацебо, а достовірність доказів залишається низькою.

У рамках проведення даної державної ОМТ за скороченою процедурою уповноваженим органом додатково було проведено пошук первинних джерел доказових даних щодо клінічної ефективності галсульфази у пацієнтів з мукополісахаридозом VI типу. За результатами пошуку виявлено дві публікації з довгостроковими результатами спостереження за однією когортою пацієнтів: *Giugliani et al., 2014*,¹⁹ у якій представлені результати 10-річного спостереження, та *Quartel et al., 2018*,²⁰ у якій наведені результати 15-річного спостереження. У публікації *Quartel et al., 2018* представлені результати більш тривалого періоду спостереження за тією самою когортою пацієнтів, тому для оцінки довгострокових результатів використано дані саме з найдовшим доступним періодом спостереження.

Метою обсерваційного дослідження, що представлено в публікації *Quartel et al., 2018*, було оцінити довгострокову виживаність пацієнтів з МПС VI, які отримували галсульфузу, протягом 15-річного періоду спостереження та порівняти її з виживаністю ФЗТ-наївних пацієнтів.

До аналізу було включено 118 пацієнтів, з яких 104 отримували ферментну замісну терапію галсульфазою, а 14 пацієнтів не отримували ФЗТ (ФЗТ-наївні). Між порівнюваними групами спостерігалися відмінності у базових характеристиках. У загальній когорті середній вік становив 13,7 року (SD 9,7) у групі галсульфази та 19,7 року (SD 12,9) у групі ФЗТ-наївних пацієнтів; середній зріст – 114,3 см (SD 25,6) та 125,8 см (SD 29,7), а середній рівень глікозаміногліканів у сечі – 326,8 (SD 199,1) проти 250,2 (SD 206,0) мкг/мг креатиніну, відповідно. Автори зазначають, що нижчий вихідний рівень глікозаміногліканів та більший зріст у ФЗТ-наївних пацієнтів могли свідчити про менш тяжкий фенотип МПС VI у цій групі, незважаючи на їх старший вік.

За результатами довгострокового спостереження летальні випадки були зареєстровані у 25 із 104 пацієнтів (24%) у групі галсульфази та у 8 із 14 пацієнтів

¹⁹ <https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC4107078/pdf/nihms582299.pdf>

²⁰ <https://journals.sagepub.com/doi/10.1177/2326409818755800>

(57%) у групі ФЗТ-наївних пацієнтів. Аналіз виживаності продемонстрував статистично значущу асоціацію застосування галсульфази зі зниженням ризику смерті порівняно з відсутністю ФЗТ: HR 0,348 (95% CI: 0,156–0,776); $p=0,0050$. Середній вік на момент смерті становив 23,3 року у групі галсульфази та 21,0 року у групі ФЗТ-наївних пацієнтів, а середня тривалість виживання від початку спостереження до смерті – 8,9 та 5,8 року відповідно.

Дане обсерваційне дослідження, що представлено в публікації *Quartel et al., 2018*, демонструє загалом сприятливий профіль безпеки. Реакції, пов'язані з інфузією, є керованими, а серйозні побічні явища, пов'язані з лікуванням, трапляються рідко.

Таким чином, довгострокові обсерваційні дані *Quartel et al., 2018* свідчать, що у пацієнтів з МПС VI застосування галсульфази асоціюється з покращенням загальної виживаності порівняно з пацієнтами, які не отримували ферментну замісну терапію.

Отже, за результатами проведеного аналізу застосування галсульфази у пацієнтів з МПС VI має переваги порівняно з плацебо. За даними систематичних оглядів *Brunelli et al., 2021* та *El Dib and Pastores, 2009*, результати на користь галсульфази отримано щодо фізичної витривалості та зниження рівня глікозаміногліканів у сечі, показників функції легень, однак статистична значущість встановлена не для всіх оцінюваних показників.

Додаткові довгострокові обсерваційні дані *Quartel et al., 2018* свідчать, що у пацієнтів з МПС VI застосування галсульфази асоціюється з покращенням загальної виживаності порівняно з ФЗТ-наївними пацієнтами. Водночас на достовірність отриманих результатів можуть впливати обсерваційний дизайн дослідження, мала чисельність групи ФЗТ-наївних пацієнтів та наявність відмінностей у базових характеристиках між порівнюваними групами.

3) дані щодо результатів ефективності витрат відповідно до рекомендованої шкали граничних значень інкрементального показника ефективності витрат в Україні

Відповідно до п.7 Порядку, державна ОМТ за скороченою процедурою не передбачає проведення аналізу ефективності витрат та розрахунку інкрементального показника ефективності витрат (ICER) в Україні.

4) дані щодо економічної доцільності (ефективності витрат, аналізу впливу на показники бюджету) використання лікарського засобу

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

В рамках проведення державної ОМТ за скороченою процедурою уповноваженим органом відповідно до методології був проведений аналіз впливу на показники бюджету у частині розрахунку витрат на медичну технологію з часовим горизонтом один рік на підставі прямих медичних витрат на лікарський засіб з перспективи системи охорони здоров'я – державного платника.

Мета: оцінити модельний вплив на бюджет застосування лікарського засобу галсульфаза для лікування пацієнтів з МПС VI типу.

Метод: аналіз впливу на показники бюджету у частині розрахунку витрат з перспективи державного платника застосування лікарського засобу галсульфаза з часовим горизонтом один рік. Аналіз проведений на підставі прямих медичних витрат на лікарський засіб з перспективи державного платника визначеної цільової популяції пацієнтів відповідно до даних, наданих у зверненні МОЗ України (відповідно до листа МОЗ України від 19.08.2026 № 03.4.0/45597/2-26), що представлено у таблиці 1.

Згідно з інформацією, викладеною у додатку до листа МОЗ від 19.08.2026 № 03.4.0/45597/2-26, кількість пацієнтів з МПС VI типу, що потребують застосування галсульфази, станом на 2026 рік становить [REDACTED].

Відповідно 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] грн без урахування ПДВ за 1 флакон (концентрат для розчину для інфузій, 1 мг/мл; по 5 мл у флаконі; по 1 флакону в картонній коробці).

Згідно з інструкцією для медичного застосування доза лікарського засобу галсульфаза становить 1 мг/кг маси тіла щотижня шляхом внутрішньовенної інфузії. Розрахунок було проведено відповідно до інструкції для медичного застосування та з урахуванням того, що середня вага дорослого пацієнта становить 70 кг, а дитини – 30 кг. При розрахунках кількості флаконів галсульфази було застосовано математичне округлення до цілого числа у бік збільшення.

Таблиця 1. Аналіз витрат на одне введення та на річний курс застосування лікарського засобу галсульфаза для лікування пацієнтів з МПС VI типу на одного пацієнта

Параметр	Заявлена медична технологія	
Склад діючих речовин	1 мл розчину містить 1 мг галсульфази	
Форма випуску та дозування	концентрат для розчину для інфузій, 1 мг/мл; по 5 мл у флаконі; по 1 флакону у картонній коробці	
Схема застосування	1 мг/кг маси тіла	
Кратність застосування на рік	52 (1 раз/тиждень)	
Ціна за 1 флакон, грн	[REDACTED]	
	дорослі	діти
Кількість флаконів на 1 введення	14	6
Витрати на 1 введення, грн	[REDACTED]	[REDACTED]
Витрати на 1 пацієнта на 1 рік, грн	[REDACTED]	[REDACTED]

Отже, витрати на закупівлю лікарського засобу галсульфаза на річний курс лікування для одного пацієнта становитимуть орієнтовно [REDACTED] грн для дорослого та [REDACTED] грн для дитини за стандартизованим підходом.

Результати аналізу впливу на показники бюджету з часовим горизонтом в один рік при забезпеченні усієї когорти пацієнтів лікарським засобом галсульфаза наведено у таблиці 2. Розрахунки проведено за стандартизованим підходом (вага дорослого пацієнта – 70 кг, дитини – 30 кг).

Таблиця 2. Результати аналізу впливу на показники бюджету застосування лікарського засобу галсульфаза для лікування пацієнтів з МПС VI типу

Параметр	1 рік
Кількість пацієнтів, осіб	
Кількість пацієнтів, що можуть потребувати застосування лікарського засобу галсульфаза (за даними, наданими у додатку до листа МОЗ України від 19.08.2026 № 03.4.0/45597/2-26):	
- дорослі	
- діти	
Витрати на всю популяцію пацієнтів, грн	
Витрати на застосування лікарського засобу елосульфаза альфа та вплив на бюджет, грн:	
- дорослі	
- діти	

Результати модельного аналізу впливу на показники бюджету в Україні показали, що за умови застосування ціни за договором керованого доступу, що був укладений в минулий період, орієнтовні витрати на закупівлю лікарського засобу галсульфаза для лікування когорти пацієнтів з МПС VI типу () за усередненими значеннями ваги пацієнтів становитимуть грн на рік.

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 було встановлено, що при закупівлі лікарського засобу галсульфаза для лікування пацієнтів з МПС VI типу вплив на бюджет щодо витрат на заявлений лікарський засіб буде , за умови застосування ціни за договором керованого доступу, що був укладений в минулий період.

5) дані щодо коректності інформації про наявність або відсутність економічних та клінічних переваг застосування лікарського засобу порівняно з іншим лікарським засобом або іншою медичною технологією (або їх відсутності), надані заявником

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 не передбачає визначення рівня доданої клінічної користі заявленого лікарського засобу за скороченою процедурою.

4. Рекомендації щодо включення (виключення) лікарського засобу до (з) Національного переліку основних лікарських засобів та (або) номенклатур (переліків, списків, реєстрів), 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 галсульфаза для лікування пацієнтів з мукополісахаридозом VI типу (МПС VI типу), на виконання підпункту 7 пункту 8 Порядку проведення державної оцінки медичних технологій, затвердженого постановою Кабінету Міністрів України від 23.12.2020 № 1300 зі змінами.

Відповідно до п. 22 Порядку проведення державної оцінки медичних технологій, затвердженого постановою КМУ від 23.12.2020 № 1300, висновок уповноваженого органу має рекомендаційний характер.

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

За даними систематичних оглядів, що наведені в публікаціях *Brunelli et al., 2021, El Dib and Pastores, 2009*, до яких було включено дослідження за публікаціями *Harmatz, 2004; Harmatz, 2005; Harmatz, 2006*, галсульфаза покращує фізичну витривалість у пацієнтів із МПС VI, зокрема, за результатами тестів ходьби, та значно знижує рівень глікозаміногліканів у сечі зі статистичною значущістю порівняно з плацебо/НПТ.

Додаткові довгострокові обсерваційні дані *Quartel et al., 2018* свідчать, що у пацієнтів з МПС VI застосування галсульфази асоціюється з покращенням загальної виживаності порівняно з ФЗТ-наївними пацієнтами: частка летальних випадків становила 24% та 57% відповідно, а ризик смерті був статистично значущо нижчим у групі галсульфази (HR 0,348; 95% CI: 0,156–0,776; $p=0,0050$). Водночас на достовірність отриманих результатів можуть впливати обсерваційний дизайн дослідження, мала чисельність групи ФЗТ-наївних пацієнтів та наявність відмінностей у базових характеристиках між порівнюваними групами.

Як було зазначено вище, відповідно до п. 7 Порядку державна ОМТ за скороченою процедурою не передбачає визначення рівня доданої клінічної користі заявленого лікарського засобу.

Безпека застосування лікарського засобу

За даними наведених вище систематичних оглядів та обсерваційного дослідження, що представлено в публікації *Quartel et al., 2018*, суттєвих відмінностей у побічних реакціях між групами галсульфази та плацебо/НПТ при лікуванні пацієнтів із МПС VI типу не було виявлено, профілі безпеки були подібними.

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

Відповідно до п.7 Порядку, державна ОМТ за скороченою процедурою не передбачає проведення аналізу ефективності витрат та розрахунку інкрементального показника ефективності витрат (ICER) в Україні, а передбачає лише проведення аналізу впливу на показники бюджету в Україні.

Результати аналізу впливу на показники бюджету, витрати на заявлений лікарський засіб та порівняння із рекомендованою шкалою оцінки впливу на бюджет щодо витрат на заявлений лікарський засіб

Результати аналізу впливу на показники бюджету в Україні показали, що за умови застосування ціни за договором керованого доступу, що був укладений в минулий період ([REDACTED] грн без урахування ПДВ за 1 флакон), витрати на закупівлю лікарського засобу галсульфаза для лікування когорти пацієнтів з МПС VI типу у кількості [REDACTED] за усередненими значеннями ваги пацієнтів орієнтовно становитимуть [REDACTED] грн на рік. Вплив на бюджет щодо витрат на заявлений лікарський засіб буде [REDACTED].

Якість доказових даних

Під час проведення державної ОМТ за скороченою процедурою уповноваженим органом була проведена оцінка методологічної якості публікації *Brunelli et al., 2021* та *A El Dib and Pastores, 2009* за адаптованим листом оцінки SIGN 50 (Methodology Checklist 1: Systematic Reviews and Meta-analyses) та було встановлено, що вищезазначені публікації мають високу методологічну якість.

Організаційні критерії

Впровадження лікарського засобу галсульфази не потребує додаткових організаційних змін у системі надання медичної допомоги та маршруті пацієнта, оскільки зазначена медична технологія вже застосовується в Україні в межах існуючих підходів до лікування пацієнтів з МПС VI типу.

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

Відповідно до даних, наданих у додатку до листа МОЗ України від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26., станом на 2026 рік кількість пацієнтів з МПС VI типу в

Україні, що потребують застосування галсульфази становить [REDACTED].

Отже, враховуючи рекомендації актуальних клінічних настанов і протоколів, результати оцінки порівняльної клінічної ефективності та безпеки, [REDACTED], відсутність альтернативних лікарських засобів у Державному реєстрі лікарських засобів України, а також, беручи до уваги попередні рекомендації (висновки уповноваженого органу від 01.09.2022 та 09.07.2025), рекомендовано продовжити застосування процедури договорів керованого доступу для лікарського засобу галсульфаза (НАГЛАЗИМ) за показанням для лікування пацієнтів із мукополісахаридозом VI типу.

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.