

ЗАЯВА
на проведення державної оцінки медичних технологій

1. Інформація про заявника:

1) найменування (прізвище, ім'я, по батькові) заявника:

Носонович Олександр Олександрович

2) місцезнаходження (місце проживання):

01033, Україна, Київ, Жилианська 48-50А

3) номер телефону (телефаксу):

тел.+38443542000, факс +380443542001

4) адреса електронної пошти:

oleksandr.nosonovych@sanofi.com; kateryna.kovalchuk@sanofi.com

1¹. Інформація про виробника заявленого лікарського засобу.

Виробник.

ПАТЕОН ФРАНЦІЯ, Франція / PATHEON FRANCE, France.

Місцезнаходження виробника та його адреса місця провадження діяльності.

Бульвар де Шампарет 40, Бургун Жальє, 38300, Франція / 40 boulevard de Champaret, BOURGOIN JALLIEU, 38300, France.

2. Дані щодо заявленого лікарського засобу:

1) торговельна назва лікарського засобу:

САБРИЛ.

2) міжнародна непатентована назва або синонімічне найменування:

Vigabatrin.

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

Гранули для орального розчину:

діюча речовина: вігабатрин; 1 саше містить вігабатрину 500 мг;

допоміжні речовини: повідон К30 (E1201).

Таблетки, вкриті плівковою оболонкою:

діюча речовина: вігабатрин; 1 таблетка містить вігабатрину 500 мг;

допоміжні речовини: ядро таблетки: повідон К30 (E1201), целюлоза мікрокристалічна (E460), натрію карбоксиметилкрохмаль (тип А), магнію стеарат; плівкова оболонка: Опадри білий OY-S-7298 (гіпромелоза 15 мПас (E464), титану діоксид (E171), макрогол 8000).

4) форма випуску, що пропонується для включення до Національного переліку основних лікарських засобів та (або) номенклатур (переліків, списків, реєстрів):

- гранули для орального розчину, по 500 мг по 50 саше у картонній коробці, по 50 саше у картонній коробці зі стикером українською мовою;

- таблетки, вкриті плівковою оболонкою по 500 мг, № 100 (10x10): по 10 таблеток, вкритих плівковою оболонкою в блістері; по 10 блістерів в картонній коробці зі стикером українською мовою.

5) відомості про державну реєстрацію заявленого лікарського засобу в Україні:

Реєстраційне посвідчення UA/19774/01/01, UA/19774/02/01, Наказ МОЗ №1362 від 02.08.2024, термін дії реєстраційного посвідчення з 05.12.2022 по 05.12.2027.

6) фармакологічна дія лікарського засобу:

Вігабатрин блокує дію ферменту ГАМК-трансамінази, який розщеплює речовину в мозку під назвою ГАМК (гамма-аміномасляна кислота). ГАМК знижує електричну активність мозку. Блокування ферменту, який її розщеплює, збільшує кількість ГАМК у мозку, а отже, посилює її дію. Це допомагає пригнічувати аномальну електричну активність, яка призводить до інфантильних спазмів і парціальної епілепсії, і таким чином контролювати симптоми цих станів.

7) фармакотерапевтична група лікарського засобу та код за анатомо-терапевтично-хімічною класифікацією:

Протиепілептичні засоби. Код АТХ N03A G04. NERVOUS SYSTEM. ANTIPILEPTICS. ANTIPILEPTICS. Fatty acid derivatives. Vigabatrin. ATC code N03A G04.

8) одне показання до медичного застосування, за яким подається заява:

Застосування лікарського засобу Сабрил у якості монотерапії при інфантильних спазмах (синдром Веста), в т.ч. які викликані туберозним склерозом.

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

- Застосовувати в комбінації з іншими протиепілептичними лікарськими засобами для лікування пацієнтів з резистентною парціальною епілепсією, із вторинною генералізацією або без неї, у разі неефективності або поганої переносимості відповідних комбінацій лікарських засобів.
- Застосовувати як монотерапію при інфантильних спазмах (синдром Веста).

10) спосіб застосування:

Сабрил призначений для перорального застосування один або два рази на добу і може прийматися до або після їди. Таблетована лікарська форма не застосовується дітям до 6 років через ризик потрапляння до дихальних шляхів. Вміст саше слід розчинити у напої (вода, фруктовий сік або молоко) безпосередньо перед прийманням. Якщо після проведеного випробування лікування вігабатрином не забезпечується клінічно значуще поліпшення проявів епілепсії, це лікування не слід продовжувати. Застосування вігабатрину слід поступово припинити під постійним медичним наглядом. Монотерапія інфантильних спазмів (синдром Веста). Рекомендована початкова доза – 50 мг/кг/добу. За необхідності її можна титрувати протягом однотижневого періоду. Інші особливості застосування лікарського засобу зазначені на 9-10 ст. Досьє. Інформація щодо схеми застосування Сабрилу наведена у Таблиці 1.1 Досьє (9-10 ст.)

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:

Вігабатрин (Сабрил) не використовується при станах, що зазначені у пріоритетних напрямках розвитку сфери охорони здоров'я.

3. Коротка пропозиція щодо лікарського засобу:**1) опис захворювання (стану):**

Інфантильні спазми, або синдром Веста – форма епілепсії, яка зазвичай виникає у дітей віком до 1 року, переважно у віці 4-8 місяців, і проявляється у вигляді характерних спазмів: раптове коротке тонічне скорочення м'язів тулуба і кінцівок, тривалістю 0,5-2 с, яке може бути згинальним, розгинальним або змішаним. Інтенсивність спазмів може варіювати від невеликого кивка головою, до потужного скорочення тіла. Зазвичай спазми виникають серіями з кількох десятків з інтервалом 5-30 секунд, переважно під час прокидання або перед засинанням. Класичною для інфантильних спазмів вважається тріада симптомів, що включає епілептичні спазми, гіпсаритмію – специфічний ЕЕГ патерн, та затримку розвитку дитини. Найчастіше, серед встановлених причин розвитку інфантильних спазмів, визначають туберозний склероз (TSC) – рідкісне генетичне захворювання, внаслідок якого в багатьох органах і тканинах, в тому числі мозку, утворюються доброякісні пухлини

що призводить до його пошкодження. Вважається, що серед хворих на інфантильні спазми, приблизно у 7% причиною виникнення є TSC (посилання на використані джерела зазначені в Досьє).

2) цільова когорта пацієнтів:

Цільовою популяцією є діти з інфантильними спазмами, в тому числі етіологія виникнення яких пов'язана з туберозним склерозом. За даними міжнародних джерел, середній вік дітей на момент виникнення захворювання становить – 4-8 місяців, за деякими даними хлопчики хворіють дещо частіше за дівчат, однак, за даними мета-аналізу 2018 року, достовірної відмінності у співвідношенні хлопчиків/дівчат встановлено не було. Вважається, що інфантильні спазми виникають приблизно у 30% хворих на туберозний склероз (посилання на джерела зазначені в Досьє).

3) роль лікарського засобу в процесі лікування із зазначенням клінічного маршруту пацієнта у контексті використання запропонованого лікарського засобу:

Вігабатрин є препаратом першої лінії терапії при лікуванні інфантильних спазмів, та препаратом вибору у дітей з інфантильними спазмами, що були викликані туберозним склерозом, а також при ризику виникнення серйозних побічних реакцій пов'язаних із застосуванням стероїдів.

Відповідно до зазначеного в уніфікованому клінічному протоколі з первинної, екстреної, вторинної (спеціалізованої) і третинної (високоспеціалізованої) медичної допомоги “Епілепсії у дітей” від 2014 року (чинний), інфантильні спазми (синдром Веста) включено до переліку епілептичних синдромів з енцефалопатичним перебігом, які потребують діагностики та лікування у ЗОЗ, що надають третинну (високоспеціалізовану) медичну допомогу. Метою діагностики є встановлення як діагнозу, так і встановлення причин, що могли викликати розвиток захворювання. Етап діагностики включає: Консультація дитячого невролога; Збір анамнезу; Фізикальне обстеження; Лабораторні дослідження; ЕЕГ; Нейровізуалізація; Консультації з іншими спеціалістами.

Після встановлення діагнозу, відповідне лікування призначається дитячим неврологом у складі мультидисциплінарної команди за участю інших фахівців (за показаннями). У разі неуспішності застосування першої лінії терапії, лікарем визначається можлива подальша терапія.

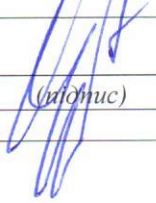
Діти з інфантильними спазмами потребують подальшого диспансерного спостереження із контролем побічних ефектів. Лікування має регулярно переглядатися для забезпечення своєчасної зміни терапії, яка є не досить ефективною або погано переноситься хворим. Частота диспансерних оглядів дитини визначається індивідуально (щонайменше 2 рази на рік). Схема клінічного маршруту надана на рис.1.1 ст. 16 Досьє.

Слід відмітити, що необхідним є мінімізація затримки до встановлення діагнозу і наступної затримки до початку лікування інфантильних спазмів, оскільки ранній початок терапії доведено позитивно впливає на довгострокові результати. Не надана своєчасно адекватна терапія інфантильних спазмів є значним прогностичним фактором подальшої резистентності до лікування і погіршення розвитку нервової системи.

4) перелік (номенклатура) або документ, до якого запропоновано включити заявлений ЛЗ. Зазначити розділ, до якого запропоновано включити заявлений ЛЗ:

Вігабатрин пропонується до включення до Національного переліку основних лікарських засобів, розділ V, Протисудомні/протиепілептичні засоби, та до подальшого включення до реімбурсації лікарських засобів за програмою медичних гарантій за напрямом “Розлади психіки та поведінки, епілепсія”, а також пропонується збереження вігабатрину в 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 із додаванням до наявних форм випуску додатково форми випуску «гранули для орального розчину».

Пункти 5-13 Досьє містять інформацію з обмеженим доступом, а саме: вартість препарату Сабрил (Вігабатрин) та дані звіту Wigabatryna (Sabril®) w zespole Westa. Analiza ekonomiczna (Додаток 3 до Досьє), враховуючи сенситивність відповідних даних.

Генеральний директор ТОВ «Санофі-Авентіс Україна» (найменування посади уповноваженої особи заявника)	 _____
10.02.2025 р.	