

**ЗАЯВА**  
**на проведення Державної оцінки медичних технологій**

**1. Інформація про заявника:**

- 1) заявник – ТОВ «Рош Україна»
- 2) місцезнаходження: 03150, Київ, вул. Велика Васильківська, 139, 5-ий поверх
- 3) телефон: +38(044)29-888-33, факс: +38(044)29-888-34
- 4) e-mail: [serhiy.ksenzov@roche.com](mailto:serhiy.ksenzov@roche.com)

**1<sup>1</sup>. Інформація про виробника заявленого лікарського засобу.**

Виробник: Ф.Хоффманн-Ля Рош Лтд;  
Місцезнаходження виробника та його адреса місця провадження діяльності:  
Вурмісвег, 4303 Кайсераугст, Швейцарія

**2. Дані щодо заявленого лікарського засобу**

- 1) торговельна назва ЛЗ: ГЕМЛІБРА®(HEMLIBRA®)
- 2) міжнародна непатентована назва або синонімічне найменування:  
Еміцизумаб (Emicizumab)

**3) склад ЛЗ (діючі та допоміжні речовини):**

діюча речовина: еміцизумаб; 1 флакон містить 30 мг/1 мл або 60 мг/0,4 мл, або 105 мг/0,7 мл, або 150 мг/1 мл еміцизумабу; основні фізико-хімічні властивості: стерильна прозора рідина від безбарвного до злегка жовтуватого кольору без консервантів допоміжні речовини: L-гістидин, L-кислота аспарагінова, L-аргінін, полксамер 188, вода для ін'єкцій.

**4) форма випуску, що пропонується для включення:**

розчин для ін'єкцій. 1 флакон містить 30 мг/1 мл або 60 мг/0,4 мл, або 105 мг/0,7 мл, або 150 мг/1 мл еміцизумабу. По 1 флакону в картонній коробці

**5) відомості про державну реєстрацію заявленого ЛЗ в Україні:**

Реєстраційне посвідчення: UA/16914/01/01, UA/16914/01/02. Термін дії реєстраційного посвідчення на території України не обмежений. Наказ МОЗ: №149 від 29.01.2024.

**6) фармакологічна дія ЛЗ:**

препарат Гемлібра® зв'язує активовані фактор ІХ і фактор Х, відновлюючи недостатню функцію активованого фактора VIII, який є необхідним для ефективного гемостазу.

**7) фармакотерапевтична група ЛЗ та код за анатомо-терапевтично-хімічною класифікацією:** 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 В02В Х06.

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

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.

**9) показання до 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.

10) спосіб застосування лікарського засобу відповідно до інструкції для медичного застосування

Схема застосування	Гемлібра®
Спосіб введення	Препарат Гемлібра® застосовується тільки для підшкірного введення
Доза	Рекомендована навантажувальна доза становить 3 мг/кг маси тіла, що вводиться підшкірно один раз на тиждень протягом перших 4 тижнів. в подальшому – із застосуванням 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 6 мг/кг маси тіла один раз на чотири тижні
Частота дозування	Вибір підтримуючої дози має базуватися на тому, чому віддає перевагу спеціаліст, із урахуванням режимів, які можуть сприяти покращенню дотримання пацієнтом режиму лікування. Відповідно до вибраного режиму введення (1 раз на тиждень, 1 раз на 2 або 1 раз на 4 тижні), на рік потрібно 52, 26, або 13 введень
Середня тривалість курсу лікування	Профілактика лікарським засобом Гемлібра® (еміцизумаб) проводиться позитивно
Передбачуваний середній інтервал між курсами лікування (за необхідності)	n/a
Передбачувана кількість повторних курсів лікування (за необхідності)	n/a

11) наявність показань до медичного застосування лікарського засобу для використання під час надання медичної допомоги при захворюваннях та станах, що зазначені у пріоритетних напрямках розвитку сфери охорони здоров'я

Гемофілія А входить до переліку рідкісних (орфанних) захворювань, затвердженого наказом МОЗ України від 27.10.2014 № 778, зареєстрованого в Міністерстві юстиції України 13 листопада 2014 р. за № 1439/26216.

Гемофілія А, дефіцит фактору VIII (код за МКХ-10 D 66) входить до національного Переліку пріоритетних захворювань в Україні(версія 1.1., 2018).

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 (номенклатуру) 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.

Гемофілія А виникає внаслідок спадкової або набутої генетичної мутації, що призводить до дисфункції або дефіциту фактора VIII. Ген FVIII розташований на довгому плечі X -хромосоми в смузі q28. Гемофілія А успадковується за X-зчепленою рецесивною ознакою.

Згідно УКПМД «Гемофілія» та світових рекомендацій, профілактичне лікування - це стандарт терапії для пацієнтів з важкою формою гемофілії та для деяких пацієнтів з середньоважкою формою гемофілії. Профілактика гемофілії полягає в регулярному введенні терапевтичних препаратів, спрямованих на підтримання гемостазу для запобігання кровотеч, особливо крововиливів у суглоби, що призводять до артропатії та інвалідності. Профілактика повинна давати можливість хворим на гемофілію вести здоровий і активний спосіб життя, включаючи участь у більшості фізичних і соціальних заходів (вдома, в школі, на роботі), подібно до популяції здорових людей. Застосування терапії «на вимогу» факторами зсідання не слід вважати ефективним лікуванням гемофілії, оскільки воно не змінює природний перебіг хвороби, виникнення спонтанних кровотеч та розвиток пов'язаних з цим ускладнень. Наразі в Україні, більшість пацієнтів з важкою формою гемофілії А без наявності інгібітора до фактору VIII отримують профілактичне лікування у вигляді замісної терапії концентратами фактору VIII. При цьому, окремою категорією пацієнтів з гемофілією А, є пацієнти з утрудненим венозним доступом. За світовими літературними даними, серед пацієнтів з гемофілією, труднощі з венозним доступом зустрічаються у 36,7% людей, що живуть з Гемофілією А, що відповідно до даних реєстру Центру патології гемостазу НДСЛ ОХМАДИТ, на сьогоднішній день в Україні складає близько 238 хворих. Перебіг та прогноз гемофілії А в даній групі хворих не відрізняється від такого в загальній групі пацієнтів, але через утруднений венозний доступ та неможливість регулярного введення концентратів фактору VIII, такі пацієнти вимушені отримувати лише терапію на вимогу, що обумовлює появу в них усіх негативних наслідків захворювання, притаманних перебігу гемофілії у пацієнтів, які не отримують профілактику. Відповідно до рекомендацій УКПМД «Гемофілія А», в якості замісної (профілактичної) терапії першої лінії у пацієнтів з утрудненим венозним доступом, розглядається використання препаратів з підшкірним шляхом введення пацієнтам. На сьогоднішній день, в Україні, еміцизумаб - єдиний ліцензований нефакторний замінний препарат, з підшкірним шляхом введення.

Пропонуємо препарат Гемлібра® до внесення до номенклатурного переліку лікарських засобів, що закуповуватимуться за бюджетною програмою "Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру" за напрямком «Лікарські засоби для забезпечення дітей, хворих на гемофілію типів А або В або хворобу Віллебранда» та «Лікарські засоби для забезпечення дорослих, хворих на гемофілію типів А або В або хворобу Віллебранда» в т. ч. шляхом укладення договорів керованого доступу.

Пункти 10-13 досьє містять інформацію з обмеженим доступом, а саме - спеціальну пропозицію щодо вартості препарату Гемлібра®, тому дана інформація є конфіденційною.

*Експертне з огляду медичних неспеціаліст*  
 (найменування посади уповноваженої особи заявника)

*Г. Додаток*  
 (підпис)  
 "РОШ" *Григорівська А.М.*  
 (П.І.В. та прізвище, ім'я, по батькові)  
 Ідентифікаційний код  
 36691549



22 травня 2025 р.