

**ЗАЯВА**  
**на проведення Державної оцінки медичної технології**

**1. Інформація про заявника:**

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

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

*Виробництво лікарського засобу (включаючи наповнення/первинне пакування), випробування контролю в процесі виробництва, випробування контролю якості при випуску та стабільності:*

Рош Діагностикс ГмбХ

Сандхоферштрассе 116, 68305 Маннхайм, Німеччина

*Вторинне пакування, випуск серії:*

Ф.Хоффманн-Ля Рош Лтд

Вурмісвег, 4303 Кайсераугст, Швейцарія

**2. Дані щодо заявленого лікарського засобу:**

- 1) торговельна назва ЛЗ: Піаскай® (Piasky®)
- 2) міжнародна непатентована назва або синонімічне найменування: Кровалімаб (Crovalimab)
- 3) склад ЛЗ (діючі та допоміжні речовини):

діюча речовина: кровалімаб. Один флакон об'ємом 2 мл містить 340 мг кровалімабу, що відповідає концентрації 170 мг/мл.

допоміжні речовини: L-гістидин, L-аспарагінова кислота, L-аргініну гідрохлорид, полоксамер 188, вода для ін'єкцій.

4) форма випуску, що пропонується для включення:

Розчин для ін'єкцій або інфузій у флаконі об'ємом 2 мл.

5) відомості про державну реєстрацію заявленого ЛЗ в Україні:

Реєстраційне посвідчення: UA/21017/01/01, Наказ МОЗ №1516 від 03.10.2025;

Термін дії реєстраційного посвідчення: з 03.10.2025 по 03.10.2030.

6) фармакологічна дія ЛЗ:

Кровалімаб — це рекомбінантне моноклональне антитіло на основі гуманізованого імуноглобуліну G1 (IgG1), яке специфічно зв'язується з компонентом 5 (C5) системи комплементу, пригнічуючи його розщеплення на C5a і C5b і таким чином запобігаючи утворенню мембраноатакуючого комплексу (МАК). Кровалімаб спричиняє інгібування активності термінальних компонентів комплементу. У пацієнтів з ПНГ кровалімаб пригнічує термінальний комплемент-опосередкований внутрішньосудинний гемоліз.

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

Фармакотерапевтична група: Антинеопластичні та імуномодулюючі засоби, Імуносупресанти, Інгібітори комплементу. Код АТХ: L04A J07

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

Лікування дорослих та дітей віком від 12 років з вагою 40 кг і більше з пароксизмальною нічною гемоглобінурією:

- у пацієнтів з гемолізом з клінічним(и) симптомом(и), що вказують на високу активність захворювання.

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

Піаскай® як монотерапія показаний для лікування дорослих та дітей віком від 12 років з вагою 40 кг і більше з пароксизмальною нічною гемоглобінурією (ПНГ):

- у пацієнтів з гемолізом з клінічним(и) симптомом(и), що вказують на високу активність захворювання;
- у пацієнтів, які клінічно стабільні після лікування інгібітором компонента комплементу 5 (C5) протягом щонайменше останніх 6 місяців.

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

| Схема застосування                                     | Піаскай®  |
|--|---|
| Спосіб введення  | Початкова навантажувальна доза вводиться шляхом внутрішньовенної інфузії. Наступні навантажувальні та підтримувальні дози вводяться шляхом підшкірної ін'єкції.   |
| Доза   | Дозування залежить від маси тіла пацієнта.<br><i>Пацієнтам з масою тіла від 40 кг до &lt;100 кг:</i> <ul style="list-style-type: none"> <li>• навантажувальна доза (внутрішньовенно): 1000 мг.</li> <li>• навантажувальна доза (підшкірно): 340 мг.</li> <li>• підтримувальна доза (підшкірно): 680 мг.</li> </ul> <i>Пацієнтам з масою тіла <math>\geq 100</math> кг:</i> <ul style="list-style-type: none"> <li>• навантажувальна доза (внутрішньовенно): 1500 мг.</li> <li>• навантажувальна доза (підшкірно): 340 мг.</li> <li>• підтримувальна доза (підшкірно): 1020 мг.</li> </ul> |
| Частота дозування                                      | <i>Навантажувальні дози:</i><br>Перша навантажувальна доза (внутрішньовенно) – День 1.<br>Чотири додаткові щотижневі навантажувальні дози (підшкірно) – Дні 2, 8, 15 та 22.<br><i>Підтримувальні дози:</i><br>Починаючи з Дня 29, вводяться кожні 4 тижні (підшкірно).<br>Схема дозування може іноді змінюватися протягом 2 днів від запланованого дня введення (за винятком Дня 1 та Дня 2)  |
| Середня тривалість курсу лікування                     | Лікарський засіб Піаскай® призначений для тривалого лікування   |
| Передбачуваний середній інтервал між курсами лікування | –   |
| Передбачувана кількість повторних курсів лікування     | –   |

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

Піаскай® (кровоалімаб) показаний для лікування пароксизмальної нічної гемоглобінурії, код за МКХ-10: D59.5. Зазначене захворювання належить до орфанних, отже, є пріоритетним напрямом для охорони здоров'я відповідно до Концепції розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, на 2021–2026 роки, ухваленою згідно з розпорядженням КМУ від 28.04.2021 № 377-р.

**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 досіє містять інформацію з обмеженим доступом, зазначити, які частини інформації в цих пунктах є конфіденційними та надати обґрунтування щодо конфіденційного характеру такої інформації:**

Пароксизмальна нічна гемоглобінурія (ПНГ) – це рідкісне, хронічне та виснажливе захворювання клональних гемопоетичних стовбурових клітин, яке найчастіше проявляється у молодому віці та зазвичай триває протягом усього життя пацієнта. Основними клінічними проявами ПНГ є гемолітична анемія, тромбози та дистонія гладкої мускулатури, а також у деяких випадках — недостатність кісткового мозку (панцитопенія). Тромботичні ускладнення спричиняють високий рівень летальності серед пацієнтів. Інгібітори комплементу C5 є стандартом терапії ПНГ з 2007 року у світі. За даними Орфанного центру ДУ «ННЦРМГО» кількість пацієнтів старших 12 років, вагою 40 кг та вище з високоактивним проявом ПНГ в Україні становить 53 особи.

Пропонуємо включити заявлений лікарський засіб до Переліку лікарських засобів, імунобіологічних препаратів (вакцин), медичних виробів (у тому числі медичного обладнання) та допоміжних засобів до них, що закуповуватимуться за бюджетною програмою «Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру» в т. ч. шляхом укладення договорів керованого доступу згідно з Порядком укладення, виконання, зміни та припинення договорів керованого доступу, затвердженого постановою Кабінету Міністрів України від 27.01.2021 р. № 61. Це дозволить створити передумови для подальшого доступу пацієнтів віком від 12 років, масою тіла 40 кг та вище, з високоактивним проявом класичної ПНГ (пацієнти, у яких наявні симптоми класичної ПНГ, що вказують на високу активність захворювання, незалежно від анамнезу переливання крові, та в яких рівень ЛДГ  $\geq 1,5$  ВМН) для лікування цього небезпечного для життя захворювання, згідно стандартів, прийнятих у світі.

Пункти 10–13 досіє містять інформацію з обмеженим доступом, а саме: спеціальну пропозицію щодо ціни препарату Піаскай®, тому зазначена інформація є конфіденційною.

Експерт з оцінки медичних технологій  
(найменування посади уповноваженої  
особи заявника)



Ходаківська А. М.

(Прізвище, ім'я, по батькові)

14 січня 2026 р.