

**ЗАЯВА**  
**на проведення державної оцінки медичних технологій**  
**на лікарський засіб ТАКЗАЙРО (ланаделумаб),**  
**попередньо наповнений шприц по 300 мг,**  
**300 мг ланаделумабу у 2 мл розчину**

**1. Інформація про заявника:**

ТОВ «Такеда Україна» від імені Такеда Фармасьютікалз Інтернешнл АГ Ірландія Бренч на підставі Довіреності від 28 березня 2024 року.  
Адреса: 03110, м. Київ, вул. Солом'янська, 11  
Контактна особа заявника: Станіслав Макаров, stanislav.makarov@takeda.com, +380504679339

**1.1 Інформація про виробника заявленого лікарського засобу:**

Такеда Фармасьютікалз Інтернешнл АГ Ірландія Бренч.

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

**1) Торговельна назва лікарського засобу:** ТАКЗАЙРО.

**2) Міжнародна непатентована назва або синонімічне найменування** - ланаделумаб (lanadelumab).

**3) Склад лікарського засобу (діючі та допоміжні речовини):**

1 попередньо наповнений шприц містить по 150 мг: 150 мг ланаделумабу у 1 мл розчину;

1 попередньо наповнений шприц містить по 300 мг: 300 мг ланаделумабу у 2 мл розчину

допоміжні речовини: натрію гідрофосфат дигідрат; кислота лимонна, моногідрат; гістидин; натрію хлорид; полісорбат 80; вода для ін'єкцій.

**4) Форма випуску, що пропонується для включення до Національного переліку основних лікарських засобів та (або) переліків:** 1 попередньо наповнений шприц по 300 мг

**5) Відомості про державну реєстрацію заявленого лікарського засобу в Україні** - наразі лікарський засіб ТАКЗАЙРО проходить процедуру реєстрації в Україні.

**6) Фармакологічна дія лікарського засобу.** Ланаделумаб є повністю людським моноклональним антитілом (IgG1/κ-легкий ланцюг). Ланаделумаб пригнічує протеолітичну активність калікреїну в плазмі. Підвищена активність калікреїну в плазмі крові призводить до нападів ангіоневротичного набряку у пацієнтів зі спадковим ангіоневротичним набряком (далі – САН) через протеоліз високомолекулярного кініногену (high-molecular-weight-kininogen, HMWK) з утворенням розщепленого HMWK (сHMWK) і брадикініну. Ланаделумаб забезпечує стійкий контроль активності калікреїну в плазмі крові і, таким чином, обмежує вироблення брадикініну у пацієнтів з САН.

7) Фармакотерапевтична група лікарського засобу та код за анатомо-терапевтично-хімічною класифікацією. Препарати, що застосовуються при спадковому ангіоневротичному набряку. Інші гематологічні засоби. Код АТХ В06АС05.

8) Одне показання до медичного застосування, за яким подається заява: Препарат ТАКЗАЙРО призначений для рутинної профілактики повторних нападів спадкового ангіоневротичного набряку (САН) у пацієнтів віком від 12 років.

9) Показання до медичного застосування відповідно до інструкції для медичного застосування, затвердженої МОЗ, за наявності державної реєстрації лікарського засобу в Україні: відповідно до проекту інструкції, який було подано для реєстрації лікарського засобу - Препарат ТАКЗАЙРО призначений для рутинної профілактики повторних нападів спадкового ангіоневротичного набряку (САН) у пацієнтів віком від 12 років.

10) Спосіб застосування. Дорослі та підлітки віком від 12 до 18 років. Рекомендована початкова доза становить 300 мг кожні 2 тижні. У пацієнтів, у яких під час лікування напади стабільно відсутні, можна розглянути можливість зниження дози до 300 мг кожні 4 тижні.

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.

Ланадедумаб показаний для рутинної профілактики повторних нападів САН у пацієнтів віком від 12 років. САН – це рідкісне (орфанне) потенційно життєво-небезпечне генетично детерміноване захворювання, пов'язане з дефіцитом чи зниженням функції C1-INH (первинний імунodefіцит системи комплементу). САН (дефіцит інгібітора C1-естерази, далі - C1-INH) включено до Переліку рідкісних (орфанних) захворювань, що призводять до скорочення тривалості життя хворих або їх інвалідизації та для яких існують визнані методи лікування, затвердженого наказом МОЗ України від 27.10.2014 № 778<sup>1</sup>.

Лікування орфанних захворювань не було включено до Пріоритетних напрямів розвитку сфери охорони здоров'я на 2023-2025 роки, затверджених наказом МОЗ України від 07.10.2022 № 1832<sup>2</sup>.

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

САН - це рідкісне генетичне захворювання, яке проявляється епізодами шкірного або підслизового набряку, що найчастіше вражає шкіру, живіт і верхні дихальні шляхи. Згідно Всесвітньої алергологічної організації/ Європейської академії алергології та клінічної імунології<sup>3</sup> САН є серйозною глобальною проблемою охорони здоров'я для пацієнтів та їхніх родин. Частота нападів САН може варіюватися в широких межах; у деяких пацієнтів відбувається кілька нападів на рік, тоді як у інших - кілька нападів щомісяця. Напади САН проявляються оборотним набряком (ангіоневротичним набряком), що вражає шкіру або підслизову тканину на різних ділянках тіла. Зазвичай уражені ділянки включають кінцівки

<sup>1</sup> Наказ МОЗ України від 27.10.2014 № 778 «Про затвердження переліку рідкісних (орфанних) захворювань», <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/z1439-14#Text>

<sup>2</sup> Наказ МОЗ України від 07.10.2022 № 1832 «Про затвердження пріоритетних напрямів розвитку сфери охорони здоров'я на 2023 - 2025 роки», <https://zakon.rada.gov.ua/rada/show/v1832282-22#Text>

<sup>3</sup> The international WAO/EAACI guideline for the management of hereditary angioedema—The 2021 revision and update - Maurer – 2022, <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/full/10.1111/all.15214>

(наприклад, руки та ноги), шлунково-кишковий тракт, сечостатеву область, обличчя та верхні дихальні шляхи. Втім, обструкція дихальних шляхів через напади САН гортані може бути небезпечною для життя<sup>4</sup>.

Цільова популяція, що розглядається: дорослі та діти старше 12 років із САН 1 або 2 типу, з повторними нападами ангіоневротичного набряку (щонайменше 1 раз на місяць або більш часто), що потребують рутинної (довготривалої) профілактики таких нападів.

В Україні на момент підготовки досьє за досліджуванним показанням, зареєстровано лише лікарський засіб СІНРАЙЗ за МНН C1-inhibitor, plasma derived. СІНРАЙЗ вводиться виключно внутрішньовенно<sup>5</sup>. Він рекомендований затвердженим Стандартом медичної допомоги та включений по Постанови КМУ від 07.03.2022 № 216 з 2020 року. Даний лікарський засіб має внутрішньовенний спосіб введення, на відміну, ланаделумаб має підшкірну форму введення, що відіграє значну роль у прихильності до лікування пацієнтів із САН, які мають довгостроково застосовувати препарат.

Підшкірний шлях введення ланаделумабу з частотою 1 раз на 2 тижні (з можливістю введення 1 раз на 4 тижні) має суттєві переваги над внутрішньовенним шляхом введення C1-INH 2 рази на тиждень та покращить комплаєнс до лікування. Також підшкірний шлях введення є більш зручним для навчання пацієнтів та самостійного застосування лікарського засобу в домашніх умовах.

Основною метою застосування ланаделумабу, як довготривалої профілактики, є як зменшення загальної кількості та тяжкості ангіоневротичних набряків так і тягаря хвороби в цілому, а також досягнення повного контролю захворювання та нормалізація життя пацієнтів. Деталі оцінки визначеної популяції наведені у досьє.

Лікарський засіб ТАКЗАЙРО пропонується до включення до Переліку лікарських засобів, що закуповуються за кошти державного бюджету для виконання програм та здійснення централізованих заходів з охорони здоров'я, затвердженого Постановою КМУ № 216 «Деякі питання закупівлі лікарських засобів, медичних виробів та допоміжних засобів до них», а саме – «Медикаменти для громадян, хворих на первинні (вроджені) імунodefіцити та хворобу Кавасакі».

**Пункти 4—13 Досьє містять інформацію з обмеженим доступом (дані PERIODIC BENEFIT-RISK EVALUATION REPORT, дані щодо спеціальної цінової пропозиції, економічні розрахунки), тому ці пункти є конфіденційними.**

Керівник відділу з питань доступу до ринку  
та розвитку бізнесу ТОВ «Такеда Україна»



Станіслав Макаров

24 травня 2024 року

<sup>4</sup> [Long term prophylaxis for HAE with C1 inhibitor | JAA \(dovepress.com\)](https://www.dovepress.com/long-term-prophylaxis-for-hae-with-c1-inhibitor)

<sup>5</sup> [Державний реєстр лікарських засобів України \(drlz.com.ua\)](https://drlz.com.ua/)

