

ЗАЯВА
на проведення державної оцінки медичних технологій

1. Інформація про заявника

Пфайзер Ейч.Сі.Пі. Корпорейшн
66 Гудзон бульвар Іст, Нью-Йорк, НЙ, 10001-2192, США
+38 050 560 01 39
Nataliia.datsiuk@pfizer.com

1¹. Інформація про виробника заявленого лікарського засобу.

Пфайзер Менюфекчуринг Дойчленд ГмбХ, Німеччина.

2. Дані щодо заявленого лікарського засобу:

1) Торговельна назва лікарського засобу

Торговельна назва лікарського засобу: **КСЕЛЬЯНЗ**

**2) Міжнародна непатентована назва або синонімічне найменування
Тофацитинібу цитрат (tofacitinib)**

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

Зареєстрована в Україні форма випуску. Діюча речовина: tofacitinib citrate; 1 таблетка, вкрита плівковою оболонкою, містить тофацитинібу цитрат у перерахунку на тофацитиніб 5 мг; допоміжні речовини: целюлоза мікрористалічна, лактози моногідрат, натрію кроскармелоза, магнію стеарат, Opadry® II White 33G28523.

Форма випуску, що готується до реєстрації в Україні. Діюча речовина: тофацитиніб; 1 таблетка пролонгованої дії містить тофацитинібу цитрат у перерахунку на тофацитиніб 11 мг; допоміжні речовини: сорбіт (Е 420), гідроксиетилцелюлоза, коповідон, магнію стеарат, целюлози ацетат, гідроксипропілцелюлоза, Opadry Pink 03K140024, Opacode Black.

4) форма випуску, що пропонується для включення до Національного переліку основних лікарських засобів та (або) переліків;

Для включення до позитивного переліку – Національного переліку основних лікарських засобів та (або) номенклатури (переліків, списків, реєстрів) пропонується форми випуску:

Зареєстрована в Україні форма випуску. Таблетки, вкриті плівковою оболонкою, по 5 мг, № 14: картонна коробка, що містить 1 блістер; по 14 таблеток у блістері. Таблетки, вкриті плівковою оболонкою, по 5 мг, № 56: картонна коробка, що містить 4 блістери; по 14 таблеток у блістері.

Форма випуску, що готується до реєстрації в Україні. По 7 таблеток пролонгованої дії, по 11 мг, у блістері, по 4 блістери у картонній коробці.

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

Лікарський засіб КСЕЛЬЯНЗ зареєстровано в Україні: Наказ МОЗ України від 20.07.2020 № 1637, зміни внесено Наказ МОЗ України від 31.07.2024 № 1350. Р/п UA/14485/01/01

6) фармакологічна дія лікарського засобу;

Тофацитиніб – потужний інгібітор янус-кіназ (JAK), які передають сигнали цитокінів та факторів росту, впливаючи на імунні клітини. Він запобігає фосфорилляції та активації STAT, модулюючи імунну відповідь через блокування JAK3 та JAK1. Лікування тофацитинібом супроводжується дозозалежними змінами кількості CD16/56+ клітин, В-лімфоцитів та зниженням рівня С-реактивного білка. Випробування показали його ефективність при анкілозуючому спондиліті та інших ревматологічних захворюваннях, а також підтвердили еквівалентність таблеток по 5 мг та пролонгованих 11 мг.

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

Лікарський засіб КСЕЛ'ЯНЗ відноситься до селективних імуносупресантів. КСЕЛ'ЯНЗ має код АТХ L04AA29.

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

Лікування дорослих пацієнтів з активним анкілозуючим спондилітом (АС), у яких не була досягнута належна відповідь на стандартну терапію (англ. conventional therapy). У цій популяції призначення препарату вперше розглядається для пацієнтів до 65 років.

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

Ревматоїдний артрит. Псоріатичний артрит. Виразковий коліт. Ювенільний ідіопатичний артрит (ЮІА). Анкілозуючий спондиліт: Тофацитиніб показаний для лікування дорослих пацієнтів із активним анкілозуючим спондилітом (АС), у яких не була досягнута належна відповідь на стандартну терапію.

10) спосіб застосування;

Зареєстрована форма випуску. Ксельянз застосовують перорально незалежно від прийому їжі. Таблетки ковтають цілими. Не можна роздавлювати, розламувати або жувати таблетки. Рекомендована доза препарату Ксельянз для дорослих та дітей з масою тіла більше 40 кг становить 5 мг 2 рази на день.

Форма випуску, що готується до реєстрації в Україні. Рекомендована доза – одна таблетка пролонгованої дії дозуванням 11 мг, яку приймають перорально 1 раз на добу щоденно; цю дозу не можна перевищувати. У разі застосування в комбінації з МТХ корекція дози не потрібна. Дозволяється переходити з тофацитиніб, таблетки, вкриті плівковою оболонкою, по 5 мг із застосуванням 2 рази на добу на тофацитиніб, таблетки пролонгованої дії по 11 мг із застосуванням 1 раз на добу й навпаки, наступного дня після останньої дози того чи іншого лікарського засобу. Застосовують під час їжі або незалежно від прийому їжі. Приймати цілими. Не можна роздавлювати, розламувати або жувати таблетки.

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.

У Національному переліку основних лікарських засобів передбачено розділ «Лікарські засоби для лікування захворювань суглобів», що підкреслює пріоритетність патологій суглобів для охорони здоров'я в Україні. АС, як неінфекційне захворювання, призводить до порушень здоров'я, які потребують подальшої реабілітації, і, відповідно, є пріоритетним напрямком для системи охорони здоров'я України.

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

Пропонуємо розширити доступ українських пацієнтів до ЛЗ нового класу (інгібітор JAK), який зможе ефективно застосовуватися при лікуванні активного анкілозуючого спондиліту у дорослих пацієнтів, – тофацитинібу, шляхом включення цього препарату до одного з позитивних переліків, який буде чинний на момент висновку з державної ОМТ -

до Національного переліку основних лікарських засобів та (або) переліків ЛЗ (номенклатур, списків, реєстрів), що закуповуються за кошти державного бюджету для виконання програм та здійснення централізованих заходів з охорони здоров'я та (або) з метою виконання регіональних цільових програм з охорони здоров'я, що повністю або частково фінансуються за рахунок коштів місцевих бюджетів.

Розділ 10 Досьє містить інформацію з обмеженим доступом (дані щодо спеціальної цінової пропозиції, економічні розрахунки). Інформація є комерційною таємницею виробника і має обмежений доступ для захисту його прав та запобігання можливій шкоді.

Анкілозуючий спондиліт (АС), М45 у МКХ-10, — хронічне захворювання осьового скелета, що без лікування призводить до ускладнень, інвалідизації, втрати працездатності, значного погіршення якості життя, смертності, збільшення витрат на медичну допомогу. Найбільшою незадоволеною потребою пацієнтів з АС в Україні є доступ до лікування, що модифікує перебіг хвороби. АС не входить до бюджетних програм МОЗ, тому пацієнти часто змушені купувати дороговартісні ліки самостійно. Через високу вартість хворобомодифікуючих ЛЗ більшість пацієнтів отримує лише підтримуюче лікування та страждає від ускладнень і тягаря хвороби.

Тофацитиніб, перший у своєму класі інгібітор JAK, продемонстрував ефективність у лікуванні АС, швидко покращуючи біль, рухливість, якість життя та продуктивність уже через 2 тижні. У дослідженнях фаз 2 і 3 пацієнти з активним АС, які мали недостатню відповідь на НПЗП, досягли швидкої та стійкої відповіді на тофацитиніб. Препарат показав вищу ефективність порівняно з плацебо, а ефект зберігався або посилювався з 16-го до 48-го тижня незалежно від попереднього застосування біологічних препаратів.

Застосування ЛЗ Ксельянз асоціюється з вищими показниками QALY порівняно з найкращою підтримуючою терапією (НПТ) завдяки кращій клінічній відповіді на тофацитиніб та потребує додаткових витрат у межах 3-5 ВВП на душу населення за 1 доданий QALY. Витрати можуть бути предметом обговорення з державним платником при закупівлі ЛЗ Ксельянз. Модель забезпечення препаратом демонструє прийнятний вплив на бюджет протягом перших 3х років, який може бути відкоригований після уточнення реальної чисельності пацієнтів. В умовах недосконалих статистичних даних, коли прогнозування епідеміологічних показників за допомогою методу лінійної регресії виконати неможливо, Заявником запропоновано рішення, яке полягає в покроковому забезпечення лікуванням популяції пацієнтів. Такий підхід є практичним інструментом для зменшення невизначеностей стосовно кількісного складу популяції.

У разі включення ЛЗ Ксельянз до позитивного переліку в Україні буде можливо започаткувати доступ українців з АС до принаймні одного хворобо-модифікуючого препарату. З огляду на патогенез захворювання, механізм дії ЛЗ та результати клінічних досліджень, включення препарату Ксельянз у позитивний перелік дозволить зменшити тягар хвороби, у тому числі тягар проблем, що не розглядалися в рамках даного досьє: вплив на інвалідизацію, продуктивність праці, соціальну активність та ментальне здоров'я пацієнтів з АС. Є підстави вважати, що пероральна форма препарату дозволить збільшити прихильність до належного застосування ЛЗ.

Фахівець з доступу до охорони здоров'я
(найменування посади уповноваженої особи заявника)

03 _____ р.
_____ Н. Дацюк
(підпис)
Ідентифікаційний код 2662742
Україна * М. Київ

