

| ЗАЯВА на проведення державної оцінки медичних технологій | |
|--|---|
| 1. Інформація про заявника: | |
| найменування (прізвище, ім'я, по батькові) заявника; | ТОВ «Джонсон і Джонсон Україна» |
| місцезнаходження (місце проживання); | Україна, 01010, місто Київ, вул. Московська, будинок 32/2 |
| номер телефону (телефаксу); | +380444980888 |
| адреса електронної пошти. | RA-JNJRU-JNJUA-Recep@its.jnj.com |
| 2. Дані щодо заявленого лікарського засобу: | |
| торговельна назва лікарського засобу; | Спінраза |
| міжнародна непатентована назва або синонімічне найменування; | Нусінерсен |
| склад лікарського засобу (діючі та допоміжні речовини); | Діюча речовина: 1 мл містить 2,4 мг нусінерсену; 1 флакон по 5 мл містить 12 мг нусінерсену. Допоміжні речовини: натрію дигідрофосфат дигідрат, динатрію фосфат, натрію хлорид, калію хлорид, кальцію хлорид дигідрат, магнію хлорид гексагідрат, натрія гідроксид, хлороводнева кислота, вода для ін'єкцій |
| форма випуску, що пропонується для включення до <u>Національного переліку основних лікарських засобів</u> та (або) номенклатур (переліків, списків, реєстрів); | Розчин для ін'єкцій. |
| відомості про державну реєстрацію заявленого лікарського засобу в Україні; | Реєстраційне посвідчення № UA/17852/01/01 відповідно до наказу МОЗ України № 1768 від 20.08.2021, дійсне з 11.01.2020 по 11.01.2025 року |
| фармакологічна дія лікарського засобу; | антисмисловий олігонуклеотид, який збільшує частку транскриптів матричної РНК з включенням екзона 7 SMN2, зв'язуючись з інтронним сайленсером сплайсингу (intonic splice silencing site — ISS-N1), розташованим в інтроні 7 пре-мРНК гена SMN2. Зв'язуючись з ним, АСО витісняє фактори сплайсингу, які у нормі пригнічують його. Витіснення цих факторів призводить до збереження екзона 7 в мРНК SMN2, а отже після синтезу мРНК SMN2 може відбуватись її трансляція в білок SMN з повною довжиною ланцюга. |
| фармакотерапевтична група лікарського засобу та код за анатомо-терапевтично-хімічною класифікацією; | Інші препарати для лікування захворювань кістково-м'язової системи. Нусінерсен. Код АТХ: M09AX07 |
| одне показання до медичного застосування, за яким подається заява; | Препарат Спінраза (нісунерсен) показаний до застосування при СМА, спричиненою мутацією в хромосомі 5q. |
| показання до медичного застосування відповідно до інструкції для медичного застосування, затвердженої МОЗ, за наявності державної реєстрації лікарського засобу в Україні; | Препарат Спінраза (нісунерсен) показаний до застосування при СМА, спричиненою мутацією в хромосомі 5q. |
| спосіб застосування; | Терапію препаратом Спінраза повинен проводити лікар, який має досвід у лікуванні спінальної м'язової атрофії. Препарат |

| | |
|--|--|
| | <p>Спінраза призначений для інтратекального введення за допомогою люмбальної пункції. Рекомендована доза становить 12 мг (5 мл) на одне введення. Терапію препаратом Спінраза слід починати якомога раніше після встановлення діагнозу з 4 доз насичення у 0, 14, 28 та 63 день. Після цього один раз кожні 4 місяці слід вводити підтримувальну дозу.</p> |
| <p>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.</p> | <p>Препарат СПНРАЗА (нусінерсен) належить до рідкісних (орфанних) за показаннями, зазначеними у заяві, що визначає необхідність фінансування за принципом соціальної солідарності.</p> |
| <p>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 <u>пункти 4-13</u> досьє містять інформацію з обмеженим доступом, зазначити, які частини інформації в цих пунктах є конфіденційними та надати обґрунтування щодо конфіденційного характеру такої інформації</p> | <p>Спінальні м'язові атрофії (СМА) — група важких спадкових генетично-детермінованих захворювань, які характеризуються прогресуючою дегенерацією мотонейронів передніх рогів спинного мозку і призводять до прогресивного розвитку слабкості м'язів та їх атрофії. До певного етапу це захворювання вважалось невиліковним і дуже швидко прогресуючим. У 2007 р. Міжнародна конференція по стандартам лікування СМА опублікувала рекомендації по діагностиці та лікуванню цього захворювання, а також по ортопедичному, респіраторному і харчовому супроводу хворих, які широко використовують в усьому світі.</p> <p>Застосування цих методів потребує значних витрат, що складаються з частих госпіталізацій, невідкладних консультацій фахівців, коригуючих фізіотерапевтичних методів, ортопедичної допомоги, вентиляційної підтримки функції дихання. Слід зважати, витрати несе як суспільство так і родина. Приблизно у 96 % пацієнтів СМА спричинена мутацією гену SMN1, локалізованого у 5q хромосомі (делеція 5q). Більшість пацієнтів успадковують делецію гена SMN1 від своїх батьків.</p> <p>Популяція: Пацієнти з СМА II типу, спричиненою мутацією в хромосомі 5q.</p> <p>Пацієнти зі СМА II типу, спричиненою мутацією в хромосомі 5q. Український реєстр хворих на СМА підтримується Громадською організацією «Харківський благодійний фонд «Діти зі спінальною м'язовою атрофією», який фактично є єдиною подібною організацією в Україні, а за напрямками своєї діяльності та географією членів є загальнодержавним утворенням. Станом на квітень 2021 р. у реєстрі Фонду міститься запис про 244 пацієнта, з них 220 осіб із підтвердженим ДНК аналізом: СМА типу I — 24 хворих, СМА типу II — 151, СМА типу III — 45 осіб [1]. Нажаль, кількість пацієнтів із СМА змінюється надзвичайно динамічно із врахуванням фактору високої летальності в умовах відсутності забезпечення патогенетичної терапією, а також динамічного включення нових діагностованих пацієнтів та міграційних тенденцій пацієнтів із СМА до інших країн задля можливості отримання патогенетичної терапії.</p> <p>СМА типу II (проміжний) — дебют хвороби до 18-го місяця життя. Перші місяці життя дитина розвивається задовільно.</p> |

Пацієнти здатні сидіти, але не можуть стояти та ходити. Поступово настає регрес рухових навичок, згасають сухожилкові рефлекси, виникають м'язові атрофії, незначний тремор рук, фібриляція язика, різко знижується тонус м'язів. Психічний розвиток зазвичай відповідає нормі. Летальний кінець — у віці старше 2 років.

СМА відноситься до рідкісних (орфанних) захворювань. Нещодавно FDA та EMA (Європейське агентство з лікарських засобів) зареєструвало препарат СПНПАЗА (нусінерсен), який є першим препаратом патогенетичної терапії, що застосовується при СМА. На сьогодні СПНПАЗА (нусінерсен) є єдиним лікарським засобом, що зареєстровано в Україні для патогенетичної терапії СМА. На сьогодні для зміни перебігу СМА застосовується підтримувальна терапія, яка полягає у корекції симптомів і профілактиці ускладнень. Найнеобхідніші заходи включають забезпечення належної нутрицептивної підтримки, респіраторну підтримку, лікувальну фізкультуру і заходи, що проводяться на термінальних стадіях захворювання. СПНПАЗА (нусінерсен) — антисмисловий олігонуклеотид (АСО), який збільшує частку транскриптів матричної РНК з включенням екзона 7 SMN2, зв'язуючись з інтронним сайленсером сплайсингу, розташованим в інтроні 7 пре-мРНК гена SMN2. Зв'язуючись з ним, АСО витісняє фактори сплайсингу, які у нормі пригнічують його. Витіснення цих факторів призводить до збереження екзона 7 в мРНК SMN2, а отже після синтезу мРНК SMN2 може відбуватись її трансляція в білок SMN з повною довжиною ланцюга, що забезпечує збереження функції мотонейронів.

На сьогодні для зміни перебігу СМА застосовується підтримувальна терапія, яка полягає у корекції симптомів і профілактиці ускладнень. Найнеобхідніші заходи включають забезпечення належної нутрицептивної підтримки, респіраторну підтримку, лікувальну фізкультуру і заходи, що проводяться на термінальних стадіях захворювання. СПНПАЗА (нусінерсен) призначена для лікування всіх типів СМА та на сьогодні є єдиним лікарським засобом, що зареєстровано в Україні для патогенетичної терапії СМА.

Препарат нусінерсен пропонується для включення до Номенклатури лікарських засобів, медичних виробів та допоміжних засобів до них, що закуповуватимуться за бюджетною програмою, а також для закупівлі структурними підрозділами з питань охорони здоров'я обласних та Київської міської державних адміністрацій.

Встановлено, що застосування нусінерсену є більш ефективною, але дорожчою технологією порівняно зі стандартною терапією. Застосування препарату нусінерсен у пацієнтів із СМА II типу дозволяє досягнути підвищення Δ QALY 11,832. Інкрементальний коефіцієнт корисності витрат для нусінерсену порівняно зі стандартною терапією для СМА II типу становить 18 226 403,98 грн за QALY.

Препарат нусінерсен пропонується для включення до Номенклатури лікарських засобів, медичних виробів та

допоміжних засобів до них, що закуповуватимуться за бюджетною програмою, а також для закупівлі структурними підрозділами з питань охорони здоров'я обласних та Київської міської державних адміністрацій.

Сорошницька Т.В.
(найменування посади уповноваженої особи заявника)

(підпис)

20 р.