ЗАТВЕРДЖЕНО

Рішення Черкаської обласної ради

від \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_ № \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

Обласна програма

„Забезпеченнялікування пацієнтів, хворих на спінальну м’язову атрофію“

на 2023-2025 роки

**1. Визначення проблеми, на розв’язання якої спрямована Програма**

Обласна програма „Забезпеченнялікування пацієнтів, хворих   
на спінальну м’язову атрофію“ на 2023-2025 роки (далі – Програма) розроблена  
з метою реалізації в Черкаській області державної політики у сфері охорони здоров’я, на виконання вимог законів України від „Про місцеве самоврядування в Україні“,„Основи законодавства України про охорону здоров’я“ (ст. 531), постанови Кабінету Міністрів України від 31.03.2015 № 160 „Про затвердження Порядку забезпечення громадян, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, лікарськими засобами та відповідними харчовими продуктами для спеціального дієтичного харчування“, наказів Міністерства охорони здоров’я України від 27.10.2014 № 778 „Про затвердження переліку рідкісних (орфанних) захворювань“, зареєстрованого в Міністерстві юстиції України   
13.11.2014 за № 1439/26216, від 17.12.2019 № 2498 „Про затвердження методичних рекомендацій з планування та розрахунку потреби в лікарських засобах, продуктах спеціального харчування та виробах медичного призначення, що закуповуються за рахунок коштів державного та місцевого бюджетів“(зі змінами), а також беручи до уваги міжнародні клінічні настанови, а саме: міжнародний протокол лікування спінальної м’язової атрофії (далі – СМА) „Diagnosis and managementofspinalmuscularatrophy“, NeuromuscularDisorders V. 28, Issue 2, February 2018, Pages 103-115; Issue 3, March 2018,   
Pages 197-207.

СМА – рідкісне, спадкове, нервово-м’язове захворювання, яке спричинене мутацією у гені SMN1 та призводить до втрати мотонейронів, а також атрофії м’язів, і, як наслідок, ранньої смерті. СМА має різні типи, які залежать від часу появи та рівня вираженості проявів захворювання.

Найважчим є І тип, при якому, як правило, тривалість життя обмежена   
2 роками. Діти з СМА І типу дуже слабкі уже в перші місяці життя, відчувають труднощі зі смоктанням, диханням і ковтанням, прогноз зазвичай негативний. Без лікування діти з цією формою захворювання частіше за все не доживають до 2 років.

СМА ІІ типу розпочинається в дитячому віці в проміжку між 6 і 12 місяцями. Пацієнти здатні сидіти, але не можуть стояти, ходити. Поступово настає регрес рухових навичок, згасають сухожилкові рефлекси, з’являються м’язові атрофії, тремор рук, фібриляція язика, тонус м’язів різко знижується. Найбільшою небезпекою при цьому типі СМА є слабкість дихальних м’язів. Протягом усього життя пацієнтів зі СМА ІІ типу потрібна пильна увага   
до дихальної функції і негайне реагування на інфекції. Медична допомога повинна включати особливі методи очищення дихальних шляхів від виділень   
та неінвазивну вентиляцію легень.

СМА ІІІ типу єм’яким видом захворювання, щопроявляється у віці від 18 місяців. Діти з цією формою хвороби деякий час мають змогу ходити самостійно, адже слабкість та атрофія м’язів прогресують повільно.

СМА ІV типу розпочинається у дорослому віці та характеризується помірним перебігом зі збереженням усіх функцій.Зазвичай ця форма захворювання не призводить до скорочення життя людини.

Частота виявлення СМА у новонароджених за світовою статистикою складає 1 на 10 000 живонароджених дітей. За даними медичної статистики,   
яка ведеться комунальним закладом„Черкаський обласний інформаційно-аналітичний центр медичної статистики“ Черкаської обласної ради,   
у Черкаській області у 2021 році народилось 6 911 дітей, з яких у трьох дітей генетично підтверджено СМА. Тобто у Черкаській області частота захворювання дітей на СМА негативно перевершила світову статистику  
(4,34о/ооо по області порівняно із світовою статистикою 1 о/ооо).

Станом 26.09.2023 у Черкаській області зареєстровано 12 пацієнтів, які страждають на СМА І, ІІ та ІІІ типів (8 дітей та 4 дорослих), діагноз яких підтверджено, в тому числі, лабораторно.

В Україні вже зареєстровано 2 лікарські засоби для лікування СМА, а саме: лікарський засіб „Спінраза“ (за міжнародною непатентованою назвою – nusinersen) талікарський засіб „Еврісді“ (за міжнародною непатентованою назвою – risdiplam).

Препарат „Спінраза“, зареєстрований відповідно до наказу Міністерства охорони здоров’я України від 11.01.2020 № 41„Про державну реєстрацію лікарських засобів, які зареєстровані компетентними органами Сполучених Штатів Америки, Швейцарії, Японії, Австралії, Канади, Європейського Союзу, та внесення змін до реєстраційних матеріалів“, реєстраційне посвідчення № UA/17852/01/01.

Ефективність застосування лікарського засобу „Спінраза“ доведена клінічними дослідженнями із включенням пацієнтів із СМА різних типів. Використання препарату дозволяє підвищити моторні функції (оцінені   
за відповідними клінічними шкалами для кожної вікової групи) та покращити якість життя пацієнтів зі СМА, знизити смертність, кількість госпіталізацій, продовжити час до госпіталізації та перманентної інвазивної вентиляції легень.

Лікарський засіб „Спінраза“ випускається в дозуванні 12 мг на 5 мл   
для інтратекального введення (безпосередньо в спинномозкову рідину)   
і схвалений для будь-якого віку та типів СМА без будь-яких обмежень.

Лікарський засіб„Еврісді“зареєстрований відповідно до наказу Міністерства охорони здоров’я України від 23.10.2020 № 2418„Про державну реєстрацію та внесення змін до реєстраційних матеріалів лікарських засобів, які зареєстровані компетентними органами Сполучених Штатів Америки, Швейцарської Конфедерації, Європейського Союзу“, реєстраційне посвідчення № UA/18405/01/01.

Ефективність та безпека лікарського засобу „Еврісді“ була доведена   
у багатоцентрових дослідженнях FIREFISH та SUNFISH, що охопили реальний спектр хворих зі СMA.

Препарат „Еврісді“ отримав від FDA (Food and DrugAdministration) cтатус Терапії Прориву для лікування хворих на СМА та статус PRIME (prioritymedicine), а також статус орфанного препарату від Європейської медичної агенції.

Зазначений лікарський засіб застосовується для лікування пацієнтів   
зі СМА незалежно від віку, типу СMA або фізичного стану.

Препарат випускається у формі сиропу, вживається один раз на день   
в домашніх умовах перорально.

Лікарські засоби „Спінраза“ та „Еврісді“ є препаратами постійної терапії, які пацієнти застосовують пожиттєво.

За інформацією Міністерства охорони здоров’я України, на сьогодні вже вдалося закупити за кошти державного бюджету України препарат „Еврівсді“ для лікування дітей, хворих на СМА. Ліки надаються пацієнтам безкоштовно.

Зазначений лікарський засіб можуть отримувати ті пацієнти,анамнез яких відповідає критеріям включення до державної програми (вік, тип хвороби тощо).

Проаналізувавши анамнези захворювань пацієнтів зі СМА, встановлено, що пацієнти Черкаської області не відповідають критеріям врахування потреби пацієнтів у лікарському засобі „Еврісді“, який закуплений за кошти Державного бюджету.

Враховуючи те, що зазначені лікарські засоби дуже дороговартісні   
і пацієнти або їх рідні, зазвичай не можуть придбати їх за власні кошти, актуальним залишається питання впровадження Програми, що передбачатиме забезпечення спеціальними лікарськими засобами тих пацієнтів зі СМА, які не відповідатимуть критеріям щодо забезпечення лікарським засобом „Еврівсді (рисдиплам)“ за кошти державного бюджету України, затвердженим наказом Міністерства охорони здоров’я України від 17.12.2019 № 2498 „Про затвердження методичних рекомендацій з планування та розрахунку потреби   
в лікарських засобах, продуктах спеціального харчування та виробах медичного призначення, що закуповуються за рахунок коштів державного та місцевого бюджетів“ (зі змінами). Закупівлю специфічного лікування планується здійснювати за рахунок коштів місцевих бюджетів.

**2.** **Мета Програми**

Метою Програми є реалізація державної політики щодо забезпечення лікуванням пацієнтів зі СМА, зниження дитячої смертності   
та інвалідизації дітей зі СМА, покращення якості та тривалості життя пацієнтів, які страждають на СМА.

**3.** **Основні завдання та заходи Програми**

Основними завданнями та заходами Програми є забезпеченнямедикаментозним лікуванням пацієнтів Черкаської області, які страждають   
на СМА лікарськими засобами, а також надання спеціалізованої допомоги таким пацієнтам та моніторинг за клінічними станами пацієнтів та ефективністю отриманого лікування.

Перевага у забезпеченні зазначеними лікарськими засобами надається пацієнтам, у яких захворювання підтверджено розгорнутим молекулярно-генетичним дослідженням та відповідно до лікарських призначень.

Основні завдання та заходи Програми наведені у Додатку 2 до Програми.

**4.** **Обсяги та джерела фінансування Програми**

Фінансування Програми здійснюватиметься за рахунок коштів державного бюджету, місцевих бюджетів області, а також інших джерел, незаборонених чинним законодавством.

Обсяг фінансування Програми визначатиметься щорічно, виходячи   
з фінансових можливостей відповідних місцевих бюджетів.

**5. Очікувані результати від реалізації Програми**

Виконання Програми дасть змогу знизити рівень дитячоїсмертності, зменшити рівень інвалідизації пацієнтів, хворих на СМА, продовжити тривалість та підвищити якість їх життя.

**6. Контроль за реалізацією заходів Програми**

Координація виконання Програми покладається на Управління охорони здоров’я Черкаської обласної державної адміністрації.

Контроль за використанням бюджетних коштів, спрямованих   
на забезпечення виконання заходів Програми, здійснюється виконавцями Програми відповідно до законодавства.

Виконавці Програми інформують Управління охорони здоров’я Черкаської обласної державної адміністрації про хід виконання Програми щорічно   
до 31 січня року наступного за звітним.

Узагальнену інформацію про хід та результати виконання Програми Управління охорони здоров’я Черкаської обласної державної адміністрації подає Черкаській обласній державній адміністрації та Черкаській обласній раді щорічно до 15 лютого, що настає за звітним роком.

Керуюча справами

виконавчого апарату

Черкаської обласної ради Наталія ГОРНА