

ЛІКАРСЬКІ ЗАСОБИ ДЛЯ ЛІКУВАННЯ МУКОПОЛІСАХАРИДОЗІВ I, II, VI ТИПІВ НА ФАРМАЦЕВТИЧНОМУ РИНКУ УКРАЇНИ

В. М. Толочко, В. Ю. Адонкіна

Інститут підвищення кваліфікації спеціалістів фармації
Національного фармацевтичного університету, м. Харків, Україна
uef-ipksf@nuph.edu.ua

Як відомо, орфанні захворювання (ОЗ) – рідкісні вроджені чи набуті захворювання, що характеризуються тяжким, хронічним, прогресуючим перебігом. Термін «орфанні» означає хвороби, які зустрічаються не частіше, ніж один випадок на 2 тис. населення. Є ультраорфанні, один випадок яких фіксується на 30 тис. і навіть 50 тис. населення.

Проблема ОЗ в Україні визнана на державному рівні лише в 2014 році з прийняттям закону «Про внесення змін до Основ законодавства України про охорону здоров'я щодо забезпечення профілактики та лікування рідкісних (орфанних) захворювань» від 15.04.2014 р. № 1213-VII. І лише для деяких ОЗ були затверджені номенклатурні переліки лікарських засобів (ЛЗ) та продуктів лікувального харчування (наприклад для дітей, хворих на 9 нозологій) для централізованої закупівлі, за рахунок коштів державного бюджету. Треба відмітити, що фінансування цієї програми проводиться не у повному обсязі і тому хворі самі вимушені купувати собі ЛЗ.

Одним із захворювань, яке відноситься до групи ОЗ є мукополісахаридоз, що представляє собою групу вроджених порушень метаболізму, викликаних дефіцитом специфічних лізосомальних ферментів, що впливають на катаболізм глікозаміногліканів. Особливістю мукополісахаридозу як і усіх ОЗ є те, що вони невиліковні. Їх неможливо прогнозувати, лікувати профілактично і доводити до стадії ремісії. Складність полягає в тому, що вони лікуються довічно, а вартість лікування – надзвичайно висока. Тому метою роботи було проведення аналізу фармацевтичного ринку України ЛЗ для лікування мукополісахаридозу I, II, VI типів.

Аналіз ринку ЛЗ для лікування мукополісахаридозу проводили за даними системи дослідження «Фармстандарт» компанії «Моріон» за лютий 2017 року.

В ході проведення аналізу було встановлено, що на фармацевтичному ринку України, ЛЗ для лікування мукополісахаридозу I, II, VI типів представлені трьома міжнародними непатентованими назвами (МНН): Ларонідазою, Ідурсульфазою, Галсульфазою, всі ЛЗ закордонного виробництва. Саме ці ЛЗ є основними у лікуванні мукополісахаридозу, згідно з Уніфікованими клінічними протоколами первинної, вторинної (спеціалізованої) та третинної (високоспеціалізованої) медичної допомоги «Мукополісахаридоз I, II, VI типу» - Наказ МОЗ України № 90 від 23.02.2015 р.

Сьогодні в Україні у 15 пацієнтів у віці до 18 років та одного пацієнта у віці понад 18 років діагностовано мукополісахаридоз I типу, у 23 пацієнтів у віці до 18 років діагностовано мукополісахаридоз II типу та у 2 пацієнтів до 18 років – мукополісахаридоз VI типу. Згідно статистичних даних лише 10% хворих на мукополісахаридоз доживають до 5 річного віку. Тому розрахунок вар-

тості курсових доз проводили для пацієнтів 5 річного віку з середньою масою тіла 20 кг. (табл.).

Таблиця

Характеристики ЛЗ, які представлені на фармацевтичному ринку України, для лікування мукополісахаридозів I, II, VI типів

Категорія	Мукополісахаридоз I типу	Мукополісахаридоз II типу	Мукополісахаридоз VI типу
МНН ЛЗ, торгова назва і виробник	Ларонідаза, (Альдуразим, «Genzyme»)	Ідурсульфаз (Елапраза, «Shire HGT»)	Галсульфаз (Нагла зим, «BioMarin Pharmaceuticals»)
Форма випуску	Фл., по 500 од/5 мл (100 од/мл)	Фл., по 6 мг/3 мл (2 мг/мл)	Фл., по 5 мг/5 мл (1 мг/мл)
Вартість 1 фл.	17298,66	100218,81	43629,67
Стандартна доза і спосіб введення	0,58 мг/кг; внутрішньовенно	0,50 мг/кг; внутрішньовенно	1 мг/кг; внутрішньовенно
Частота введення	Щотижня	Щотижня	Щотижня
Кількість діючої речовини на 20 кг. ваги	11,6 мг.	10 мг	20 мг
Вартість лікування 1 хв. протягом 1 тижня, грн.	69194,64	167031,35	174518,68
Вартість лікування 1 хв. протягом 1 року, грн.	3598121,28	8685630,2	9074971,36

Таким чином, в ході проведеного аналізу було встановлено, що на фармацевтичному ринку України ЛЗ для лікування мукополісахаридозу представлені лише 3 МНН закордонного виробництва. Річна вартість лікування одного хворого до 5 років з масою тіла до 20 кг в залежності від типу захворювання, коштує в середньому від 3 до 9 млн. грн. на рік є не доступною навіть для сімей з високими доходами. Тому на державному рівні необхідно підвищити фізичну і економічну доступності цих ЛЗ для споживачів, шляхом створення переліку орфанних ЛЗ та встановлення граничного рівня постачальницько-збутової торгової націнки.