Додаток

до ухвали міської ради

від \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_№\_\_\_\_

 "Додаток

Затверджено

ухвалою міської ради

від 25.05.2023 № 3155

МІСЬКА ПРОГРАМА

забезпечення лікарськими засобами дітей та дорослих із спінальною м’язовою атрофією (СМА)

**1. Загальні положення**

Міська програма забезпечення лікарськими засобами дітей та дорослих із спінальною м’язовою атрофією (СМА) (надалі – Програма) розроблена на основі Бюджетного кодексу України, Законів України "Про місцеве самоврядування в Україні", "Основи законодавства України про охорону здоров'я", "Про основи соціальної захищеності осіб з інвалідністю в Україні", 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 споживання", наказу Міністерства охорони здоров’я України (надалі – МОЗ 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, внесеними наказом МОЗ України від 25.01.2023 № 132, та передбачає забезпечення лікарськими засобами дітей та дорослих – мешканців Львівської міської територіальної громади (надалі – Львівської МТГ) із спінальною м’язовою атрофією (СМА).

Основними принципами, які  будуть застосовані при реалізації Програми, є адресність, доцільність, раціональність, індивідуальний підхід, доступність, відкритість, гуманність, комплексність та відповідальність за дотримання етичних і правових норм для всіх учасників процесу реалізації Програми.

Спінальна м’язова атрофія (СМА) – це важке, інвалідизуюче і небезпечне для життя орфанне захворювання, яке входить до переліку рідкісних (орфанних) захворювань, що призводять до скорочення тривалості життя хворих або їх інвалідизації та для яких є визнані методи лікування.

В Україні понад 200 дітей мають підтверджений діагноз СМА. Одна із рідкісних генетичних хвороб характеризується наростальною м’язовою слабкістю у всьому організмі. З віком вона призводить до порушення опорно-рухового апарату та зрештою приковує хворого до інвалідного візка та ліжка.

СМА є найбільш поширеною генетичною причиною смерті дітей. За статистикою ця хвороба вражає одного-двох немовлят з 10 тисяч новонароджених.

Наразі відомі чотири типи СМА, які розрізняють в залежності від віку, перших проявів та ступеня вираження симптомів.

СМА, тип І (синдром Вердніга-Гоффмана) – тяжкий – маніфестує у віці до 6 місяців, пацієнти не здатні сидіти, прогресуючий перебіг. Діагностується у перші дні/тижні життя. У хворої дитини різка гіпотонія м’язів, арефлексія, часті наявні бульбарні розлади. Без лікування діти з цим типом частіше за все не доживають до 2 років.

СМА, тип II – проміжний – дебют хвороби до 18 місяців, хронічний прогресуючий перебіг. Пацієнти здатні сидіти, але не можуть стояти та ходити. Поступово настає регрес рухових навичок, згасають сухожилкові рефлекси, з’являються м’язові атрофії, тремор рук, фібриляція язика, різко знижується тонус м’язів. Без лікування смертельний кінець настає у віці старше 2 років.

СМА, тип III (синдром Кугельберга-Веландера) – м’який – маніфестація захворювання після 18 місяців, хронічний прогресуючий перебіг. Поступово розвивається м’язова слабкість у проксимальних, а потім і у дистальних відділах кінцівок, наростають м’язові атрофії, пригнічуються сухожилкові рефлекси. Характерні "качача" хода, гіперлордоз поперекового відділу хребта, формування контрактур суглобів. Здатність ходити зберігається до 8-10 років і старше. Пацієнти доживають до дорослого віку.

СМА, тип IV (початок у дорослому віці).

Згідно з Міжнародними рекомендаціями та світовою клінічною практикою ведення пацієнтів із СМА полягає у використанні етіопатогенетичних лікарських засобів, які модифікують перебіг хвороби, та підтримуючої терапії (респіраторної підтримки, належного харчування, фізичної реабілітації тощо). Ефективність цих препаратів доведена у міжнародних клінічних дослідженнях, їх використання дозволяє достовірно знизити смертність, подовжити та покращити якість життя пацієнтів із СМА.

Одним із небагатьох лікарських засобів для лікування СМА є лікарський засіб за міжнародною непатентованою назвою (МНН) – рисдиплам, який значно розширює можливості терапії пацієнтів із СМА. Він має вагомі клінічні переваги та сприятливий профіль безпеки в лікуванні пацієнтів із СМА незалежно від віку, типу СMA або фізичного стану. Ефективність та безпека рисдипламу показана у міжнародних багатоцентрових клінічних дослідженнях. Він відповідає державним вимогам здійснення закупівлі лікарських засобів у випадках, визначених постановою Кабінету Міністрів України від 25.03.2009 № 333 "Деякі питання державного регулювання цін на лікарські засоби і вироби медичного призначення". Пероральний спосіб прийому рисдипламу є важливою перевагою з погляду зручності застосування та незалежності пацієнтів та їх сімей. Такий спосіб прийому не має ризиків та побічних реакцій, пов’язаних з парентеральним та інтратекальним шляхом введення, зменшує навантаження на медичних працівників. Особливо критичним є пероральний спосіб прийому для пацієнтів, що мають сколіоз, зрощення хребта, складності, пов'язані з інтратекальним введенням інших лікарських засобів тощо. Це єдиний лікарський засіб проти спінальної м’язової атрофії, яким можна самостійно лікуватися вдома.

Із січня 2023 року стартувала державна програма забезпечення лікарськими засобами пацієнтів із СМА. За державні кошти закуплено препарат Еврісді (за МНН – risdiplam) для безоплатного забезпечення пацієнтів із СМА, які відповідатимуть критеріям включення до програми (вік, тип хвороби тощо). Препарат за цією державною програмою до жовтня 2023 року був доступний лише для пацієнтів із СМА І типу з датою народження – починаючи із 01 січня 2018 року, а із 06 жовтня 2023 року – для всіх пацієнтів із СМА І типу не залежно від дати їх народження.

Водночас у Львівській МТГ постійно проживають ще четверо дітей із СМА ІІ типу, які із 2020 року, в рамках Міжнародної програми дореєстраційного доступу – співчутливого використання, реалізованої компанією Ф. Хоффманн-Ля-Рош Лтд (Швейцарія), безкоштовно забезпечувались цим препаратом та отримали результат – виражена позитивна динаміка стану пацієнта. Згідно із меморандумом дія Міжнародної програми дореєстраційного доступу – співчутливого використання завершилась влітку 2023 року. Окрім цього у Львівській МТГ проживає один пацієнт дорослого віку із СМА ІІ типу, життя якого підтримується препаратом рисдиплам.

Отже, без підтримки громади міста зазначена категорія дітей та дорослих залишиться без належного забезпечення лікарськими засобами, що неминуче призведе до розвитку ускладнень та погіршення стану їх здоров’я. Аби допомогти придбати ліки пацієнтам зі СМА, які не потрапляють під державну програму, Львівська міська рада підписала меморандум про співпрацю з фармацевтичною компанією "Рош Україна" на 2024 рік.

Зокрема, завдяки співпраці з компанією "Рош Україна", заклади охорони здоров’я Львівської МТГ візьмуть участь у програмі "Об'єднані заради здоров'я". Згідно з умовами Програми за кожну куплену за кошти бюджету Львівської міської територіальної громади упаковку препарату, компанія "Рош Україна" надасть додаткову упаковку лікарського засобу безкоштовно.

З огляду на зазначене є необхідність у прийнятті цієї Програми.

**2. Мета Програми**

2.1. Метою Програми є співучасть у реалізації державної політики щодо забезпечення медичною допомогою дітей та дорослих із СМА, зниження смертності та інвалідизації, покращення якості та тривалості життя дітей і дорослих із СМА.

**3. Завдання Програми**

3.1. Основними завданнями Програми є:

3.1.1. Забезпечення дітей та дорослих із СМА, мешканців Львівської МТГ, лікарським засобом рисдиплам.

3.1.2. Поліпшення стану здоров’я дітей та дорослих із СМА, мешканців Львівської МТГ, покращення їх якості життя та суспільної адаптації.

3.1.3. Своєчасність забезпечення лікарськими засобами дітей та дорослих із СМА, забезпечення доступу визначеної категорії мешканців Львівської МТГ до ефективних, безпечних і якісних лікарських засобів.

3.1.4. Зменшення соціальної напруги, пов’язаної з неспроможністю самостійного забезпечення громадян, які страждають на рідкісне (орфанне) захворювання лікарськими засобами.

**4. Критерії призначення та порядок забезпечення пацієнта**

**лікарським засобом**

4.1. Критерії, відповідно до яких рекомендовано враховувати потреби пацієнта у лікарському засобі рисдиплам – критерії призначення:

4.1.1. Пацієнт – дитина або дорослий, мешканець Львівської МТГ, які постійно проживають на території громади.

4.1.2. Пацієнт не забезпечується лікарським засобом рисдиплам за кошти державної програми.

4.1.3. Пацієнт має молекулярно-генетичне підтвердження ІІ типу діагнозу 5q-СМА.

4.1.4. Число копій гена SMN 2 складає 2 або 3 копії, а також наявність клінічних проявів ІІ типу СМА.

4.1.5. Відсутність потреби у постійній вентиляції легень (інвазивної вентиляції з трахеостомією або неінвазивної вентиляції легень більше 16 годин на день).

4.1.6. Відсутність поточного лікування лікарським засобом нусінерсен.

4.1.7. Відсутність протипоказань до застосування лікарського засобу рисдиплам.

4.1.8. Дотримання вимог із супроводу пацієнтів із СМА, до яких належать:

4.1.8.1. Оцінка показників розвитку моторної функції за моторними шкалами відповідно до функціонального стану пацієнта та його віку (первинна оцінка та кожні 6 місяців відповідно).

4.1.8.2. Шкала дитячої лікарні Філадельфії для визначення нервово-м'язових розладів у немовлят (Children's Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular Disorders (CHOP-INTEND).

4.1.8.3. Шкала Неврологічного обстеження немовлят за Хаммерсмітом (Hammersmith Infant Neurological Examination (NINE-2).

4.1.8.4. Оцінка рухової функції при нервово-м'язових захворюваннях (Motor Function Measure-32 items (MFM32/MFM).

4.1.8.5. Функціональна рухова шкала Хаммерсміт (Expanded Hammersmith Functional Motor Scale (HFMS/HFMS[E]).

4.1.8.6. Модуль для оцінки верхніх кінцівок (Revised Upper Limb Module (RULM).

4.1.8.7. Оцінка дихальних функцій (кожні 6 місяців).

4.1.8.8. Лабораторні тести (через один місяць від початку лікування і кожні наступні 6 місяців):

- тест на креатинін (Cr);

- тест азоту сечовини крові (BUN);

- функціональні проби печінки (LFT);

- загальний аналіз крові (CBC);

- мінеральна денситометрія (щорічно або за потреби);

- рентгенографія хребта (щорічно або за потреби).

4.2. Порядок забезпечення пацієнта лікарським засобом рисдиплам:

4.2.1. Безкоштовне забезпечення пацієнтів із СМА, мешканців Львівської МТГ, здійснюється:

4.2.1.1. Дітей – відокремленим підрозділом "Лікарня Святого Миколая" комунального некомерційного підприємства "Львівське територіальне медичне об’єднання "Багатопрофільна клінічна лікарня інтенсивних методів лікування та швидкої медичної допомоги" (надалі – ВП "Лікарня Св. Миколая" КНП "1 Територіальне медичне об’єднання м. Львова").

4.2.1.2. Дорослих – комунальним некомерційним підприємством "3-я міська поліклініка м. Львова" (надалі – КНП "3 МП м. Львова").

4.2.2. Для цього ВП "Лікарня Св. Миколая" КНП "1 Територіальне медичне об’єднання м. Львова" та КНП "3 МП м. Львова" здійснюють облік пацієнтів із СМА, відповідно до критеріїв призначення, визначених цією ухвалою.

4.2.3. Для взяття на облік пацієнта із СМА пацієнт, батьки дитини або їх законні представники подають до закладів охорони здоров’я, визначених у п. 4.2.1 цієї Програми такі документи:

4.2.3.1. Заяву про взяття на облік для забезпечення лікарським засобом.

4.2.3.2. Копію паспорта (ID-картки) або свідоцтва про народження (для осіб віком до 16 років).

4.2.3.3. Копію реєстраційного номера облікової картки платника податків з Державного реєстру фізичних осіб-платників податків або серії та номера паспорта (для фізичних осіб, які через свої релігійні переконання у встановленому порядку відмовилися від прийняття реєстраційного номера облікової картки платника податків та мають примітку у паспорті).

4.2.3.4. Копію довідки про реєстрацію місця проживання для дітей з інвалідністю (віком до 16 років) та осіб, паспорти яких не містять відомостей про реєстрацію місця проживання.

4.3. Днем звернення за лікарським засобом рисдиплам вважається дата подання заяви про взяття на облік разом з документами, зазначеними у підпунктах 4.2.3.1 – 4.2.3.4 цієї Програми, про що робиться запис у журналі реєстрації.

4.4. Пацієнт із СМА знімається з обліку та забезпечення лікарським засобом у разі:

4.4.1. Відсутності регулярних відвідувань лікуючого лікаря для дотримання Вимог з супроводу.

4.4.2. Відмови пацієнта або його батьків (опікунів) продовжувати лікування, у тому числі через відсутність ефекту від лікування.

4.4.3. Наявності серйозних побічних реакцій.

4.4.4. Невідповідності одному та більше Критеріям призначення.

4.4.5. Смерті пацієнта.

4.5. Контроль за відпуском лікарського засобу рисдиплам здійснюють відповідальні особи ВП "Лікарня Св. Миколая" КНП "1 Територіальне медичне об’єднання м. Львова" та КНП "3 МП м. Львова".

**5. Фінансування Програми**

5.1. Фінансове забезпечення Програми здійснюється за кошти, передбачені у бюджеті Львівської міської територіальної громади на відповідний рік, та кошти інших джерел, не заборонених законодавством України.

5.2. Не допускається скерування бюджетних коштів на здійснення завдань, не передбачених цією Програмою.

**6. Виконавці Програми**

6.1. Відповідальними виконавцями Програми є:

6.1.1. Комунальне некомерційне підприємство "Львівське територіальне медичне об’єднання "Багатопрофільна клінічна лікарня інтенсивних методів лікування та швидкої медичної допомоги".

6.1.2. Комунальне некомерційне підприємство "3-я міська поліклініка м. Львова".

**7. Очікувані результати**

7.1. Впровадження Програми надасть можливість:

7.1.1. Забезпечити права людини на достатній життєвий рівень, надання адресної підтримки дітям і дорослим із СМА.

7.1.2. Знизити рівень смертності населення.

7.1.3. Зменшити рівень інвалідизації пацієнтів, хворих на СМА.

7.1.4. Продовжити тривалість та підвищити якість життя пацієнтів із СМА.

**8. Контроль за виконанням Програми**

8.1. Координацію та контроль за виконанням Програми здійснює управління охорони здоров’я департаменту гуманітарної політики.

8.2. Інформація про виконання Програми подається в управління охорони здоров’я департаменту гуманітарної політики щоквартально до 5 числа місяця, наступного за звітним кварталом, згідно з додатком до цієї Програми.

8.3. Інформація про виконання цієї Програми розміщується на офіційному сайті Львівської міської ради та подається у публічний річний звіт про роботу структурних підрозділів міської ради перед громадськістю з дотриманням вимог законодавства України.

Секретар ради Маркіян ЛОПАЧАК

Віза:

Начальник управління

охорони здоров’я Марта МАТЮШКО