

ОЦІНКА ТЕХНОЛОГІЙ ОХОРОНИ ЗДОРОВ'Я



HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT

**Економічний аналіз витрат  
ресурсів охорони здоров'я  
на догляд та лікування  
пацієнтів дитячого віку  
із СМА типу I–III в Україні**

**СПЕЦІАЛЬНИЙ ВИПУСК**

**Червень 2021**



# Економічний аналіз витрат ресурсів охорони здоров'я на догляд та лікування пацієнтів дитячого віку із СМА типу I–III в Україні

М.А. Арістов<sup>1</sup>, к. мед. н., О.М. Мельничук<sup>1</sup>

<sup>1</sup> ТОВ «Академія оцінки технологій охорони здоров'я України», Київ

*Стаття написана за результатами аналізу витрат ресурсів охорони здоров'я на лікування та догляд за пацієнтами дитячого віку зі спінальною м'язовою атрофією типу I–III в Україні на замовлення ТОВ «Рош Україна»*

## Анотація

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.

Застосування методів догляду за пацієнтом 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 пацієнта.

## Мета роботи

Метою економічного аналізу було оцінити тягар витрат стандартної терапії для хворих на СМА типу I–III в умовах системи охорони здоров'я України.

## Матеріали та методи

За методом «тягаря витрат» (англ. cost-burden analysis) був проведений економічний аналіз застосування стандартної терапії у хворих на СМА типу I–III в умовах системи охорони здоров'я України. Були підраховані прямі та непрямі медичні та непрямі витрати. Встановлена частка хворих на СМА типу I–II, які помирають щорічно протягом горизонту дослідження, та частка хворих на СМА типу III, що втрачає здатність ходити. Проведений аналіз чутливості за ключовим параметром — виживаність пацієнтів. Дисконтування витрат проведене за ставкою 3 %. Був підрахований тягар витрат із поєднаної перспективи держави та родини пацієнта у 10-річному (для СМА типу I) та 20-річному (для СМА типу II–III) часовому горизонті.

## Результати та обговорення

Аналіз тягаря витрат терапії СМА для українського суспільства був проведений із поєднаної перспективи — державного бюджету витрат на догляд за пацієнтами із СМА та перспективи пацієнта/родини пацієнтів. Часовий горизонт був обраний тривалістю 10 і 20 років відповідно для СМА типу I і СМА типу II–III.

За рік лікування тягар витрат при СМА типу I становить 14374304,72 грн, при СМА типу II 39458252,10 грн, а при СМА типу III — 2943068,71 грн. Тягар витрат за курс лікування протягом усього часового горизонту становить відповідно 130507172,46; 606300327,01 і 44624412,33 грн.

Більшість досліджень загальної вартості захворювання в інших країнах проводяться за допомогою ретроспективного аналізу, використовуючи офіційні бази даних пацієнтів, медичні записи та опитувальники. За допомогою опитувальників серед іншого проводиться оцінка якості життя пацієнтів із СМА. На жаль в Україні такий підхід обмежений відсутністю даних офіційної статистики щодо захворювання на СМА та офіційного реєстру пацієнтів. Проведення подальших досліджень в Україні, в т. ч. неінтервенційних, вкрай важливе для детального аналізу всіх видів витрат суспільства та пацієнта/родини пацієнта на терапію СМА, в т. ч. із застосуванням інноваційних медикаментозних технологій охорони здоров'я

*Ключові слова. Спінальна м'язова атрофія типу I–III, тягар витрат, виживаність пацієнтів, аналіз чутливості, вплив на бюджет*

## Economic analysis of health resources cost of care of pediatric patients with SMA type I-III in Ukraine

M. Aristov<sup>1</sup>, MD, PhD, O. Melnychuk<sup>1</sup>

<sup>1</sup> LLC "Academy of Health Technology Assessment of Ukraine", Kyiv

## Summary

Spinal muscular atrophies (SMA) - group of heavy hereditary genetically determined diseases which are characterized by progressive degeneration of motoneurons of spinal cord and lead to progressive development of weakness of muscles and their atrophy.

The patient care requires significant costs, including frequent hospitalizations, urgent consultations with specialists, physiotherapy methods, orthopedic care, ventilatory support of respiratory function. It should be borne in mind that the costs are borne by both society and the family.

## Aim of the study

To assess the cost of standard therapy for patients with type I-III SMA in the health care system of Ukraine.

## Materials and methods

According to the cost-burden analysis method, an economic analysis of the use of standard patient's therapy CMA type I-III in the health care system of Ukraine was conducted. Direct and indirect medical and indirect costs were calculated. The proportion of patients with type I-II SMA who die annually during the study horizon and the proportion of patients with type III SMA who lose the ability to walk have been established. Sensitivity analysis was performed according to the key parameter — patient's survival. Cost discounting is carried out at a rate of 3 %. The burden of spending from the combined perspective of the state and patient's family in the 10-year (for SMA type I) and 20-year (for SMA type II-III) time horizon was calculated.

## Results and discussion

The analysis of the cost burden of SMA therapy for Ukrainian society was conducted from a combined perspective — the state budget as a potential source of funding and the patient / family. The time horizon was selected for 10 and 20 years, respectively, for SMA type I and SMA type II – III.

One year treatment cost of SMA type I is 14374304.72 UAH, SMA type II – 39458252.10 UAH, and for SMA type III – 2943068.71 UAH. The costs of the full course of treatment throughout the time horizon is respectively 130507172.46; 606300327.01 and UAH 44624412.33 UAH.

Most economical studies of the disease in other countries are conducted using retrospective analysis, official patient databases, medical records and questionnaires. Questionnaires are used, among other things, to assess the quality of life of patients with SMA. Unfortunately, in Ukraine this approach is limited by the lack of official statistics on the incidence of SMA and the official patents register. Further researches including non-interventional, are extremely important in Ukraine for a detailed analysis of all types of costs of society and the patient / family for the treatment of SMA, including the use of innovative medical technologies of health care.

*Key words: Spinal muscular atrophy type I-III, economical burden, patient survival, sensitivity analysis, budget impact.*

## Вступ

Нервово-м'язові захворювання — одна з найбільш великих груп спадкових захворювань нервової системи, яка характеризується значною генетичною гетерогенністю. Термін «спінальна м'язова атрофія» (СМА) є широким поняттям, яке об'єднує групу захворювань, що супроводжуються дегенерацією альфа-мотонейронів у спинному мозку і (або) у стовбурі головного мозку і характеризується переважно аутосомно-рецесивним типом успадкування [1]. Причиною хвороби у ~95 % хворих є гомозиготна делеція фрагмента довгого плеча 5 хромосоми від 1 смуги 11 ділянки до 3 смуги 13 ділянки (5q11.1–13.3), в інших хворих виявляється делеція цього фрагменту на одній і мутація на іншій хромосомі [2].

Наявність чи відсутність порушень в структурі інших генів лише впливає на важкість проявів хвороби. Ген SMN1 та його центромерна копія SMN2 кодує ідентичний білок — так званий «фактор виживання мотонейронів». Найпоширеніша форма СМА спричинена дефектом гену виживання мотонейронів 1 (SMN1), локалізованого в 5q11.2-q13.3. До цієї форми належить широкий спектр фенотипів, які класифікують у клінічні групи за віком дебюту захворювання та за максимальною досягнутою моторною функцією [3]. У 1994 р. Міжнародний консорціум із СМА затвердив класифікацію цього захворювання. Клінічні форми визначались на основі критеріїв порушень функцій руху та часу маніфестації захворювання [4].

Важливою особливістю СМА є великий спектр важкості клінічних проявів хвороби — від малосимптомних у дорослих до захворювань новонароджених з неминучим, донедавна, летальним прогнозом. СМА не супроводжується когнітивними порушеннями. Діти та підлітки з СМА мають нормальний

або високий загальний інтелект. Розрізняють декілька типів перебігу — СМА типу I (або хвороба Вердніга – Гоффмана) починається у віці до 6 міс, діти дуже слабкі вже в перші місяці життя, мають значні труднощі з диханням і ковтанням. Перебіг хвороби зазвичай ускладнюється дихальною недостатністю, яка розвивається до 2-х років життя, що часто є причиною ранньої дитячої смертності. СМА типу II дебютує в дитячому віці між 6 і 18 місяцями. Діти можуть сидіти без сторонньої допомоги, однак вони ніколи не ходять самостійно. Серед найбільш поширених ускладнень виділяють прогресуючий сколіоз, контрактури суглобів і анкілоз скронево-нижньощелепного суглобу. Поєднання сколіозу зі слабкістю міжреберних м'язів також може призвести до рестриктивної дихальної недостатності.

СМА типу III (хвороба Кугельберга – Валландера) має більш м'який перебіг, маніфестація захворювання після 18 місяців, пацієнти здатні сидіти, стояти, ходити. К. Zerres у 1995 р. запропонував розбити СМА типу III на дві підгрупи: **A** — з маніфестацією захворювання у віці до 3 років, і **B** — з початком захворювання у віці від 3 до 30 років. СМА типу IV починається у дорослому віці старше 30 років.

СМА типу I-III зустрічається в різних регіонах світу у популяціях з різною генетичною структурою. Середня поширеність усіх типів СМА становить 1 : 10000–20000 дітей або 1,2 на 100 тис. населення. Виключення становлять регіони, у яких описане виражене накопичення СМА. Частота носійства мутації в гені SMN1 оцінюється від 1 : 38 до 1 : 70. Незважаючи на такі високі показники носійства мутації, захворюваність набагато нижче, ніж мала би бути. Причиною цього може бути те, що генотип деяких плодів характеризується

співвідношенням копій генів SMN1/SMN2 як 0 : 0 (тобто білок SMN взагалі не синтезується), що, як відомо, в інших видів тварин призводить до смерті плоду [1]. За даними Українського реєстру хворих на СМА, який підтримується ГО «Харківський благодійний фонд «Діти зі спінальною м'язовою атрофією», станом на 01.01.2020 р. в реєстрі містилося 267 актуальних записів [5].

СМА це рідкісне захворювання і входить до національного Переліку рідкісних (орфанних) захворювань, що призводять до скорочення тривалості життя хворих або їх інвалідизації та для яких існують визнані методи лікування, затвердженого наказом Міністерства охорони здоров'я України від 27 жовтня 2014 року № 778 (із змінами).

В Україні, як і в інших країнах, метою медичної допомоги пацієнтам із СМА є підтримувальна/стандартна терапія, яка складається з комплексу заходів для забезпечення пацієнтів обладнанням для підтримки дихання, лікування загострень з боку легеневої системи, корекції порушень травної системи шляхом застосування зондового живлення; проведення гастростомії, ортопедичної підтримки тощо. Саме така поширена практика терапії СМА в Україні без специфічного медикаментозного лікування була обрана у якості стандартної терапії СМА.

Навантаження захворювання на родину та опікунів є багатомірним та включає: фінансове (респіраторне обладнання, візки, реабілітація, втрата роботи, тощо), фізичне (опікуни постійно забезпечують та підтримують свою дитину (наприклад, часто прокидаються вночі, щоб перевернути дитину), емоційне (усвідомлення того, що СМА є хворобою, яка загрожує життю, і що їхня дитина не матиме такого ж життя та можливостей, як інші діти, розлучення батьків) та соціальне (відчуження суспільства, стигматизація тощо).

## Мета дослідження

Метою дослідження було провести аналіз тягаря витрат ресурсів охорони здоров'я на лікування і догляд за пацієнтами дитячого віку із СМА типу I–III в Україні.

Для досягнення мети необхідно було проаналізувати рекомендації з обстеження загальних методів підтримувальної терапії та профілактики ускладнень при СМА типу I–III.

## Матеріали та методи

СМА — це комплексне захворювання, що по-різному впливає на людей. Оптимальний контроль перебігу хвороби потребує співпраці багатьох фахівців у сфері охорони здоров'я. Усі пацієнти, в яких діагностовано СМА, мають бути обстежені у спеціалізованій клініці з нейро м'язових захворювань та іншими відповідними спеціалістами. До них можуть належати фахівці з таких сфер: дихання (респіраторне лікування); харчування (гастроентерологія і дієтологія); стан кісток і м'язів (ортопедичне лікування); реабілітації (фізичні терапевти та лікарі-ерготерапевти) та інш.

Основну увагу для несидячих пацієнтів при виконанні клінічної оцінки стану слід приділяти фізикальному обстеженню. Оцінка дихальної недостатності (ДН) включає пульсоксиметрію та капнографію (концентрація  $\text{CO}_2$  під час видиху ( $\text{EtCO}_2$ ) або черезшкірний  $\text{CO}_2$  ( $\text{TcCO}_2$ ) коли пацієнт прокидається) і використання дослідження сну або пневмограми із записом  $\text{CO}_2$ , коли є навіть мінімальна підозра на гіповентиляцію. Дані літератури та думка експертів підтверджують, що використання дослідження сну для підтвердження аритмічного дихання або ДН у пацієнта є важливим для визначення потреби у не-

інвазивній або інвазивній вентиляції легень з позитивним тиском.

Як основний вид санації дихальних шляхів, яким необхідно забезпечити всіх несидячих пацієнтів, слід застосовувати мануальну терапію грудної клітки у поєднанні з механічною інсуфляцією/екссуфляцією (наприклад, апаратами Cough Assist® або VitalCough®).

Важливою складовою санації дихальних шляхів у несидячих пацієнтів є п/о відсмоктування за допомогою механічного аспіратора і катетера, яке слід використовувати у всіх пацієнтів з неефективним відкашлюванням. Неінвазивну вентиляцію легень (НИВ) треба застосовувати у всіх немовлят із симптомами захворювання, а також у несидячих пацієнтів до появи ознак ДН та для мінімізації деформації грудної клітки і полегшення диспное.

Якщо результати дослідження функції ковтання або антропологічні показники виявляють негативну динаміку, пацієнтам застосовують назеоюнальний зонд до моменту, коли буде можливість встановити шлунковий зонд з фундоплікацією за Ніссеном.

Мета фізіотерапії і реабілітації несидячих пацієнтів — зменшення негативного впливу скрутості суглобів, оптимізація функціональних здібностей, а також допомога пацієнтам при перебуванні в різних положеннях, наприклад, лежачи на спині, на боці або сидячи з підтримкою. Під час надання рекомендацій фізичний терапевт або лікар-ерготерапевт також мають забезпечувати навчання з догляду за пацієнтом.

Основну увагу пацієнтів з СМА типу II при оцінці клінічного стану слід приділяти фізикальному обстеженню разом із клінічною оцінкою функції відкашлювання. Всі пацієнти, здатні виконати спірометрію, мають виконувати її під час кожного візиту до лікаря. Мануальну терапію грудної клітки у поєднанні з механічною інсуфляцією/екссуфляцією слід проводити у всіх пацієнтів з неефективним відкашлюванням. Потреба у штучній вентиляції легень (ШВЛ) через трахеостому виникає рідше, ніж у несидячих пацієнтів, проте у деяких слабких сидячих пацієнтів дворівнева НИВ може бути недостатньою або неефективною. Основним завданням для сидячих пацієнтів є зменшення негативного впливу скрутих суглобів, збереження їхньої гнучкості та запобігання викривленню хребта (сколіозу), а також збереження діапазону рухів, що допомагає підвищити самостійність у повсякденній діяльності. Застосовуються допоміжні пристрої — корсети, ортези, шини, вертикалізатори. Слід постійно виконувати ЛФК, масаж, засоби для підтримання дихання і зменшення застою бронхіальної секреції. Це набуває особливої ваги під час гострих захворювань та перед оперативними втручаннями.

Необхідно приділяти увагу загальному споживанню калорій, рідини, макро- та мікроелементів враховуючи антропометричні показники та споживання їжі. Слід обмежити калорійність їжі у пацієнтів з надмірною масою тіла і максимально збільшити споживання необхідних речовин. Може бути позаканий аналіз харчової цінності їжі.

Легенева функція більшості ходячих пацієнтів із СМА типу III перебуває в межах норми із незначним погіршенням упродовж 4-річного періоду. Однак, клінічне обстеження пацієнтів має включати ретельну оцінку ефективності відкашлювання при інфекціях верхніх дихальних шляхів і симптомів апное чи гіповентиляції під час сну (хропіння, пробудження, ранковий головний біль, сонливість у денний час). Наявність будь-яких із цих проблем має бути основою для обстеження у пульмонолога із розглядом доцільності виконання дослідження функції зовнішнього дихання і дослідження під час сну.

**Таблиця 1. Ймовірність виживаності при застосуванні стандартної підтримувальної терапії**

		Рік																			
<b>СМА типу I</b>		<b>1</b>	<b>2</b>	<b>3</b>	<b>4</b>	<b>5</b>	<b>6</b>	<b>7</b>	<b>8</b>	<b>9</b>	<b>10</b>										
Виживаність, %		67	32	25,1	18	16,2	15	13,1	11,1	9,5	8										
<b>СМА типу II</b>		<b>1</b>	<b>2</b>	<b>3</b>	<b>4</b>	<b>5</b>	<b>6</b>	<b>7</b>	<b>8</b>	<b>9</b>	<b>10</b>	<b>11</b>	<b>12</b>	<b>13</b>	<b>14</b>	<b>15</b>	<b>16</b>	<b>17</b>	<b>18</b>	<b>19</b>	<b>20</b>
Виживаність, %		99,5	99	98,9	98,7	98,5	98	98	97,9	97,9	97,8	95	92,7	89	86	82,8	81,2	80	78,2	76,8	75,1

## Економічний аналіз витрат на лікування і догляд за пацієнтами дитячого віку із СМА типу I–III в Україні

Економічний аналіз застосування стандартної підтримувальної терапії у хворих дітей на СМА типу I–III в умовах системи охорони здоров'я України був проведений за методом «тягаря витрат» (англ. cost-burden analysis). Підраховані прямі медичні, немедичні та непрямі витрати. Встановлена частка хворих на СМА типу I–II, які помирають щорічно протягом горизонту дослідження, та частка хворих на СМА типу III, що втрачає здатність ходити. Показники смертності були розраховані із даних досліджень Zerres, 1995, та Zerres, 1997 упродовж періоду тривалості життя [6, 7] (табл. 1). Ймовірності виживаності для СМА типу I було прийнято протягом 10-річного горизонту (початок захворювання з 2 міс), для СМА типу II протягом 20 річного періоду (початок захворювання 18 міс). Для СМА типу III прийнято, що ймовірність смертності не відрізнялась від загальної популяції, вік дебюту захворювання був прийнятий у 9 років, ймовірності здатності ходити у хворих на СМА типу III (III b) упродовж 20-річного горизонту були запозичені з дослідження Zerres, 1995 [6] (табл. 2).

## Аналіз витрат методом «знизу догори» (англ. “bottom-up”)

Розраховано аналіз витрат на одного пацієнта за методом «знизу догори», при якому визначаються прямі й непрямі витрати за формулою:

$$\text{Загальні витрати (ЗВ)} = \text{DC} + \text{IC},$$

де:

DC — прямі витрати (англ. direct costs);

IC — непрямі витрати (англ. indirect costs).

До прямих витрат (DC) в аналізі ЗВ були включені: вартість діагностичних процедур, які супроводжують встановлення діагнозу, призначення і моніторинг терапії; вартість курсу терапії лікарськими засобами (ЛЗ); вартість підтримувальної терапії хворих; витрати на основні клінічні втручання; вартість немедичних витрат.

До непрямих витрат (IC) були віднесені виплати по інвалідності та втрати потенційного ВВП через вимушену відмову або втрату роботи опікунами через потребу у догляді за хворими.

Для проведення аналізу витрат перспектива платника була комплексною — вона складалась з бюджету охорони здоров'я центрального та локальних рівнів і витрат пацієнта/родини пацієнта, оскільки обрання однієї з перспектив не відображало б реальних витрат суспільства на лікування хворих на СМА.

Розрахунки прямих витрат на ЛЗ були проведені на основі даних інструкції для медичного застосування і міжнародних рекомендацій з урахуванням належної клінічної практики надання медичної допомоги хворим на СМА в Україні. Деякі дані були отримані в ході консультацій з практикуючими фахівцями охорони здоров'я та представниками пацієнтських організацій і громадських об'єднань, які опікуються проблемами хворих на СМА в Україні. Відомо, що наразі в Україні практики специфічного медикаментозного лікування СМА не є розповсюдженою.

Джерелом цін на ЛЗ слугував Реєстр оптово-відпускних цін на ЛЗ станом на 22.07.2020 р. [8].

В аналізі витрат було враховано, що кількість і кратність діагностичних процедур, консультацій фахівців, процедур підтримувального догляду упродовж хвороби пацієнта буде змінюватись і залежатиме, насамперед, від тривалості життя пацієнта. У розрахунках була врахована ймовірність виживаності пацієнта протягом часового горизонту дослідження.

До вартості підтримувального догляду були включені процедури і медичні вироби для надання догляду, які розраховані на основі рекомендацій з діагностики та лікування СМА [9, 10]. Зокрема, були підраховані витрати на медичний аспіратор, фізіотерапію/мануальну терапію грудної клітки, накладання коригуючої гіпсової пов'язки, щеплення проти грипу та пневмококової інфекції, коректор постави (для СМА типу II), вертикалізатор для дітей (для СМА типу II) і послуги медичної сестри (для СМА типу I). У розрахунках прийнята ймовірність проведення фізіотерапії при СМА типу I — 100 %, СМА типу II — 86,4 %, СМА типу III — 62,2 % [11].

До складу основних клінічних втручань при СМА були віднесені респіраторна допомога, гастроінтестинальна допомога та ортопедичний догляд [12]. Пацієнти із СМА типу I потребують інвазивної або допоміжної неінвазивної ШВЛ (постійної або тимчасової). Було зроблене логічне припущення, що лікування загострень буде відбуватись у стаціонарі та потребуватиме додатково рентгенографії органів грудної порожнини та інвазивної ШВЛ в умовах відділень реанімації та інтенсивної терапії. Витрати на транспортування пацієнта із загостренням дихальної системи підлягали обрахунку у вигляді вартості виклику реанімаційної бригади та її роботи протягом 1,5 год.

Згідно інформації, яка була отримана від харківського благодійного фонду «Діти зі спінальною м'язовою атрофією», у реаліях української системи охорони здоров'я родини хворих на СМА отримують від фонду апарати для ШВЛ, які згодом вони мають повернути і придбати власний апарат ШВЛ для використання у домашніх умовах. Крім апарату ШВЛ для постійної респіраторної підтримки дитини із СМА потрібні відкашлювач, відсмоктувач, генератор напруги для

**Таблиця 2. Ймовірності набуття здатності ходити при застосуванні стандартної підтримувальної терапії**

		Рік																			
<b>СМА типу III</b>		<b>1</b>	<b>2</b>	<b>3</b>	<b>4</b>	<b>5</b>	<b>6</b>	<b>7</b>	<b>8</b>	<b>9</b>	<b>10</b>	<b>11</b>	<b>12</b>	<b>13</b>	<b>14</b>	<b>15</b>	<b>16</b>	<b>17</b>	<b>18</b>	<b>19</b>	<b>20</b>
		<b>Ймовірність здатності ходити</b>																			
<b>III b, %</b>		100	100	100	100	99,5	99	98,5	98,5	98	97	96	95,2	94,8	94,1	93,1	92,2	91,5	90,9	89,9	89,0

**Таблиця 3. ЗВ при СМА з урахуванням виживаності**

Показник	СМА типу I	СМА типу II	СМА типу III
Діагностичні методи, грн	44916,04	345153,28	63385
Вартість ЛЗ, грн	22210,3	118768,17	94975,4
Підтримувальний догляд, грн	185680,14	1044466,30	751151,13
Основні клінічні втручання, грн	1649440,13	1168091,68	235472,75
Непрямі витрати, грн	154732,56	1984650,14	807504
Немедичні витрати, грн	26253,4	36281,4	9557,53
<b>Вартість на курс лікування, грн</b>	<b>2083232,57</b>	<b>4697410,96</b>	<b>1962045,81</b>
<b>Середня вартість року лікування, грн</b>	<b>208323,26</b>	<b>234870,55</b>	<b>98102,29</b>

забезпечення безперебійної роботи апарату ШВЛ (у разі відключення електричної напруги), реанімаційний мішок АМБУ та компресорний небулайзер. Водночас упродовж лікування стандартною терапією пацієнти зазнають 4,2 серйозних респіраторних подій на рік [13].

За літературними даними 67 % дітей хворих на СМА типу I потребують інвазивної чи неінвазивної ШВЛ, діти з СМА типу II у 22,7 %, з СМА типу III – 4,2 % [11]. Частота проведення гастростомії у пацієнтів із СМА типу I становить 34,8 % [9], СМА типу II – 13,6 %, СМА III – 2 % [11]. За даними опитування фахівців вартість сколіозної хірургії становить близько 278 200 грн (еквівалент 10 тис. дол. США) і проводиться в Україні у середньому у 8-річному віці та не включає вартість спінального імпланту, який родина пацієнта купує додатково.

До складу немедичних витрат, які застосовують при лікуванні хворих на СМА, були включені підгузки, ходунки, багатофункціональна коляска та функціональне ліжко, візок активного типу, що купують одноразово.

Пацієнти із СМА типу I потребуватимуть ходунки, коляску (візок) і функціональне ліжко (з ймовірністю 13,5 %), що будуть придбані протягом першого року життя, а починаючи з другого року щорічно будуть понесені витрати на підгузки [11].

Пацієнти із СМА типу II потребуватимуть ходунки, коляску (візок) та функціональне ліжко з першого року лікування з ймовірністю 45,5 % [11]. На шостому році життя 45,5 % пацієнтів потребуватимуть візок активного типу [11].

До складу непрямих витрат була включена державна соціальна допомога особам з інвалідністю з дитинства та дітям з інвалідністю (I група), до яких відносять пацієнтів з діагнозом СМА типу I–III.

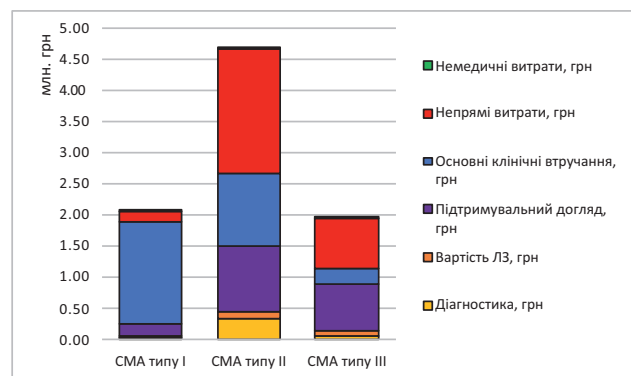
Водночас для розрахунку ЗВ для 1 року лікування було зроблене припущення, що пацієнт буде залишатись живим і отримуватиме відповідне лікування упродовж максимального періоду в межах часового горизонту. Отже, були розраховані витрати для першого року лікування та середні показники вартості для кожної зі складових структури витрат в межах аналізу ЗВ.

Протокол лікування хворих на СМА в Україні не затверджений, тому для визначення видів і кількості необхідних діагностичних процедур лабораторних досліджень і консультацій фахівців при встановленні діагнозу СМА та надання медичної допомоги пацієнтам були використані загальнодоступні опубліковані вітчизняні та міжнародні дані щодо відповідних процедур і консультацій при СМА типу I–III. Нагляд за пацієнтами проводить мультидисциплінарна група фахівців для комплексного вирішення питань і подальшого спостереження. Для цього залучаються такі фахівці, як педіатр, невролог, пульмонолог, ортопед, гастроентеролог, дієтолог, анестезіолог-реаніматолог, фахівці з ЛФК [14].

## Результати

Результати підрахунку ЗВ при застосуванні стандартної терапії у хворих на СМА з урахуванням виживаності і структура витрат наведені у табл. 3 і на рис. 1.

Загальна вартість на курс лікування для кожного типу СМА включала розмір щорічних витрат за кожною зі статей витрат, що будуть понесені з урахуванням виживаності пацієнтів протягом горизонту дослідження. Середня вартість 1 року лікування була вирахована шляхом ділення загальної вартості курсу лікування на кількість років в часовому горизонті для кожного з типів СМА (10 років для СМА типу I, 20 років для СМА типу II–III).



**Рис. 1. Структура витрат курсу лікування при СМА типу I–III з урахуванням ймовірності виживаності.**

Загальна вартість застосування стандартної терапії при СМА типу I становить у середньому 208323,26 грн/рік, при СМА типу II — 234870,55 грн/рік, а при СМА типу III — 98102,29 грн/рік.

У структурі ЗВ найбільшу частку становить вартість непрямих витрат і основні клінічні втручання, а найменшу — вартість ЛЗ та немедичні витрати.

Суттєво менший розмір витрат на стандартну терапію СМА типу I порівняно із терапією СМА типу II пояснюється вкрай низьким прогнозом виживаності для пацієнтів із СМА типу I. До другого року життя доживає не більш як 32 % дітей із СМА типу I, отже, фактичний розмір витрат для гіпотетичного пацієнта суттєво скорочується [6, 15]. Водночас, етичний аспект процесів прийняття рішень щодо забезпечення лікування пацієнтів з рідкісними захворюваннями, особливо тих, які мають спектр важких клінічних проявів та песимістичний прогноз щодо виживаності, вкрай важливий на всіх рівнях надання медичної допомоги.

## Аналіз чутливості. Аналіз ЗВ без урахування ймовірності виживаності

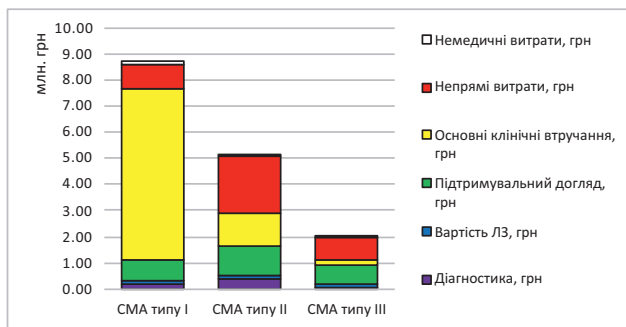
Аналіз чутливості був проведений для визначення повного об'єму витрат системи охорони здоров'я та українського суспільства на терапію хворих з СМА при оптимістичному про-

**Таблиця 4. ЗВ при СМА без врахування виживаності**

Показник	СМА типу I	СМА типу II	СМА типу III
Діагностика, грн	192972	377892	63385
Вартість ЛЗ, грн	103303,7	130442,8	94975,4
Підтримувальний догляд, грн	847885,97	1139966,14	751151,13
Основні клінічні втручання, грн	6507719,5	1241181,2	235472,75
Непрямі витрати, грн	926833,59	2189933,93	807504
Немедичні витрати, грн	142370,78	36641,61	9557,53
<b>Вартість на курс лікування, грн</b>	<b>8721085,54</b>	<b>5116057,66</b>	<b>1962045,81</b>
<b>Середня вартість 1 року лікування, грн</b>	<b>872108,55</b>	<b>255802,88</b>	<b>98102,29</b>

гнозі виживаності пацієнтів протягом визначеного часового горизонту дослідження. Ключовим параметром аналізу чутливості був обраний показник виживаності, який є головним пацієнт-орієнтованим критерієм. Було зроблене припущення, що пацієнт виживе упродовж часового горизонту тривалістю 10 років при СМА типу I і 20 років при СМА типу II, III. У такому випадку щорічні витрати системи охорони здоров'я, суспільства та родини пацієнта будуть більш сталими і враховуватимуть стан пацієнта щороку.

У таблиці 4 наведені результати проведеного аналізу ЗВ при застосуванні стандартної терапії у пацієнтів із СМА без врахування виживаності. Графічне зображення структури витрат наведено на рис. 2.

**Рис. 2. Структура витрат курсу лікування при СМА типу I–III без врахування ймовірності виживаності.**

Загальна вартість застосування курсу стандартної підтримувальної терапії при СМА типу I упродовж 10-річного часового горизонту складає 8721085,54 грн, при СМА типу II упродовж 20-річного часового горизонту — 5116057,66 грн, при СМА типу III — 1962045,81 грн.

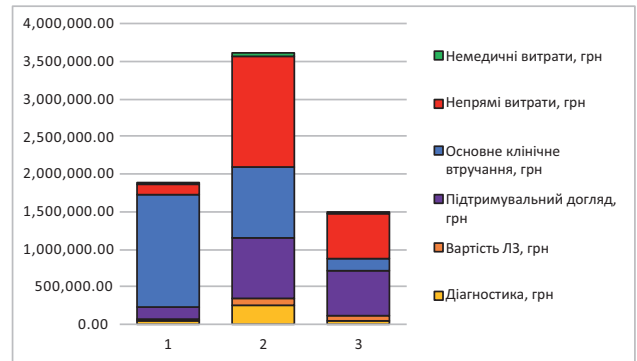
Вартість річного курсу стандартної терапії при СМА типу I складає у середньому 872108,55 грн/рік. При СМА типу II — 255802,88 грн/рік, при СМА типу III — 98102,29 грн/рік.

У структурі загальних витрат найбільшу частку становить вартість непрямих витрат і основні клінічні втручання, а найменшу — вартість ЛЗ і немедичні витрати.

Вкрай важкий клінічний перебіг СМА типу I більшою мірою екстраполюється у високі витрати на терапію захворювання, підтримувальний догляд, високе навантаження на систему охорони здоров'я та родини пацієнтів, порівняно із СМА типу II–III. У цьому аналізі не були оцінені такі нематеріальні витрати, як біль та страждання пацієнтів, пригнічений стан хворих і членів їх родини через захворювання, а також депресивні стани та потреба у психологічній допомозі батькам дитини із СМА. Поглиблені дослідження на таку тематику в українських реаліях необхідні та дозволили б у подальшому іншим дослідникам більш детально підрахувати загальносоціальний тягар захворювання.

### Дисконтування. Дисконтована ЗВ

З огляду на тривалий часовий горизонт аналізу (10 і 20 років), результати цього дослідження підлягали дисконтуванню. Дисконтування витрат проведено за ставкою 3 %. Був підрахований тягар витрат із перспективи держави та родини пацієнта у 10-річному (для СМА типу I) та 20-річному (для СМА типу II–III) часовому горизонті. Оцінені ускладнення та наслідки захворювання з точки зору витрат пацієнта і держави (табл. 5, рис. 3).

**Рис. 3. Структура дисконтованих витрат при СМА типу I–III.**

Загальна вартість лікування з врахуванням дисконтної ставки за 10 років при застосуванні стандартної терапії у пацієнтів із СМА типу I становить 1891408,30 грн., за 20 років

**Таблиця 5. Дисконтовані витрати з врахуванням виживаності пацієнтів (ставка дисконтування 3 %)**

Показник	СМА типу I	СМА типу II	СМА типу III
Діагностика, грн	40755,88	263278,22	47891,59
Вартість ЛЗ, грн	19974,66	89646,94	70649,71
Підтримуючий догляд, грн	167346,26	807447,05	587005,67
Основні клінічні втручання, грн	1505933,95	940206,46	175162
Непрямі витрати, грн	134245,61	1475014,68	600681,02
Немедичні витрати, грн	23151,94	33337,17	6090,42
<b>Вартість на курс лікування, дисконт, грн</b>	<b>1891408,30</b>	<b>3608930,52</b>	<b>1487480,41</b>



**Таблиця 6. Аналіз тягаря витрат**

Кількість пацієнтів	СМА типу I	СМА типу II	СМА типу III
	69	168	30
Тягар витрат на СМА, грн/рік	14374304,72	39458252,10	2943068,71
Тягар витрат на СМА, грн/ курс	130507172,46	606300327,01	44624412,33

застосування стандартної терапії у пацієнтів із СМА типу II складуть 3608930,52 грн., при застосуванні стандартної терапії у пацієнтів із СМА типу III – 1487480,41 грн.

У структурі загальних витрат найбільшу частку становить вартість непрямих витрат і основні клінічні втручання, а найменшу — вартість ЛЗ і немедицинські витрати.

## Аналіз тягаря витрат

Аналіз тягаря витрат терапії СМА для українського суспільства був проведений із поєднаної перспективи — державного бюджету у якості потенційного джерела фінансування порівнюваних технологій охорони здоров'я та перспективи пацієнта/родини пацієнтів. Часовий горизонт був обраний тривалістю 10 і 20 років відповідно для СМА типу I і СМА типу II–III.

Для проведення аналізу тягаря витрат була визначена цільова популяція пацієнтів із СМА, які потребують лікування стандартною терапією.

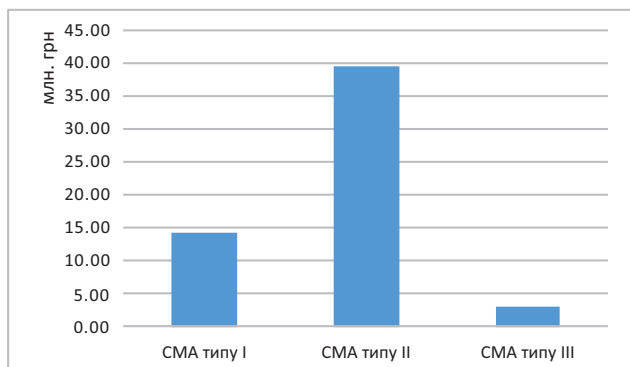
Офіційних статистичних даних щодо кількості пацієнтів із СМА в Україні не знайдено.

Згідно даних Українського реєстру хворих на СМА, який підтримується Громадською організацією «Харківський благодійний фонд «Діти зі спінальною м'язовою атрофією», станом на 01.01.2020 р. в Україні було зареєстровано 69 хворих на СМА типу I, 168 хворих на СМА типу II і 30 хворих на СМА типу III [16]. Оскільки в умовах відсутності офіційних статистичних даних щодо захворюваності та поширеності СМА в Україні неможливо визначити тенденцію щодо збільшення (або зменшення) таких хворих за останні роки, було зроблене припущення, що кількість пацієнтів у межах визначеного часового горизонту не зміниться (табл. 6).

Графічне зображення аналізу тягаря витрат на 1 рік та на повний курс лікування СМА типу I–III наведено на рис. 4 і 5.

## Обговорення

Спінальна м'язова атрофія відноситься до рідкісних хвороб ЦНС, зустрічається приблизно у 1 із 10 000 новонароджених і несе значний клінічний, психосоціальний та економічний тягарі. В Україні перелік рідкісних (орфанних) захворювань затверджений наказом МОЗ України від 27.10.2014 р. № 778 «Про затвердження переліку рідкісних (орфанних) захворювань». Відповідно до Основ законодавства України



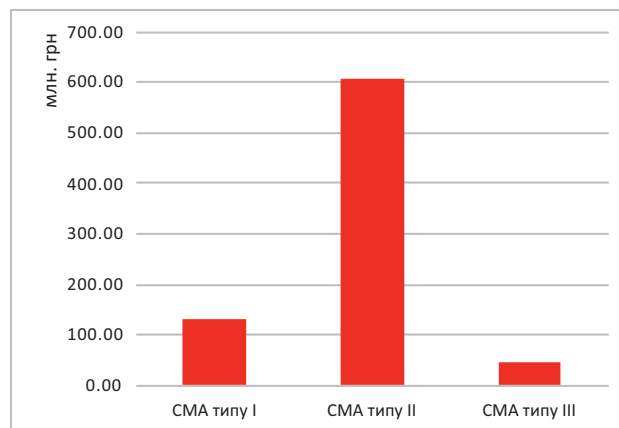
**Рис. 4.** Графічне відображення тягаря витрат на лікування СМА за 1 рік.

про охорону здоров'я: «Держава забезпечує заходи з профілактики рідкісних (орфанних) захворювань та організацію надання громадянам, які страждають на такі захворювання, відповідної медичної допомоги» [17]. На жаль висока вартість медичної допомоги і брак її фінансування з боку держави чинить істотний вплив на якість життя хворих на СМА і на сімейний бюджет їх родин. Проведений аналіз витрат на стандартну підтримувальну терапію СМА в Україні з поєднаної перспективи державного бюджету, місцевих бюджетів та бюджету пацієнта/родини пацієнта виявив надзвичайно високий рівень витрат на основні клінічні втручання, непрямі витрати, а також витрати на підтримувальний догляд.

Проведені аналізи витрат (використання ресурсів охорони здоров'я) в інших країнах аналогічно акцентують увагу на особливо високий рівень витрат при СМА типу I навіть порівняно з терапією СМА типу II–III. Так, в ретроспективному когортному дослідженні Tap, 2019 був проведений аналіз витрат ресурсів охорони здоров'я США для терапії пацієнтів із СМА без застосування специфічного медикаментозного лікування порівняно з витратами на здорових пацієнтів, подібних за віком, статтю та географією проживання. Виявлено, що витрати на терапію СМА типу I становлять у середньому 25 517 дол. США/міс порівняно із 742 дол. США/міс витрат на здорових пацієнтів. Терапія СМА типу II складає відповідно 6357 і 406 дол. США/міс, а терапія СМА типу III — 2499 і 188 дол. США/міс, відповідно [11].

В крос-секційному дослідженні Klug C., 2016 досліджували вартість захворювання (cost of illness — COI) СМА з перспективи пацієнта, його родини та загалом суспільства Німеччини. Оцінювали економічний тягар і якість життя, зумовлені станом здоров'я (HRQOL). Загальна вартість захворювання пацієнтів з СМА типу I склала 107 807 євро/рік, із СМА типу II — 90 267 євро/рік, із СМА типу III — 52 440 євро/рік. При цьому прямі витрати COI склали 54 721 євро/рік на 1 пацієнта, що у 14 разів вище, ніж середні витрати охорони здоров'я на 1 пацієнта в Німеччині [18].

В крос-секційному та ретроспективному дослідженні López-Bastida, 2017 аналізували економічний тягар та якість життя з поправкою на стан здоров'я пацієнтів із СМА та їх опікунів в Іспанії. Середні щорічні витрати на пацієнта сяга-



**Рис. 5.** Графічне відображення тягаря витрат на лікування СМА за курс.

ють 33 721 євро, серед яких 32,3 % складають прямі медичні витрати, а непрямі медичні витрати — 67,7%. Отримані результати аналізу свідчать, що витрати на СМА значно перевищують витрати суспільства на інші хронічні захворювання, зокрема, інсульт (27 711 євро, 2012 рік), хронічну серцеву недостатність (12 995–18 220 євро, 2012 рік) або ВІЛ/СНІД (17 300 євро, 2010 рік) [19].

В огляді, який був проведений в Шотландії з'ясовано, 79 % батьків дітей, хворих на СМА втрачають роботу або повинні переходити на неповний робочий день [20].

Більшість досліджень аналізу витрат, проведених в інших країнах, проводяться ретроспективно, використовуючи офіційні бази даних пацієнтів, медичні записи в лікувальних закладах та опитувальники. За допомогою опитувальників серед іншого проводиться оцінка якості життя пацієнтів із СМА. На жаль в Україні такий підхід обмежений відсутністю даних офіційної статистики щодо захворювання на СМА та реєстру пацієнтів. Проведення подальших досліджень в Україні, в т. ч. неінтервенційних, вкрай важливе для детального аналізу всіх видів витрат суспільства та пацієнта/родини пацієнта на терапію СМА, в т. ч. із застосуванням інноваційних медикаментозних технологій охорони здоров'я.

#### Висновки

Проведений аналіз тягаря витрат застосування стандартної терапії у пацієнтів із СМА типу I–III виявив, що тягар витрат при застосування стандартної терапії у пацієнтів із СМА типу I упродовж 1 року становитиме 14 374 304,72 грн, а упродовж курсу — 130 507 172,46 грн. з урахуванням дисконту. При СМА типу II тягар витрат складе 39 458 252,10 грн упродовж 1 року лікування та 606 300 327,01 грн упродовж курсу з дисконтом, а при СМА типу III — відповідно 2 943 068,71 і 44 624 412,33 грн. Проведений аналіз чутливості, який передбачав розрахунки без прогнозу виживаності пацієнта, виявив, що загальний тягар витрат на терапію СМА типу I складає 8 721 085,54 грн, на терапію СМА типу II — 5 116 057,66 грн, а терапію СМА типу III — 1 962 045,81 грн у розрахунок на 1 пацієнта.

#### ЛІТЕРАТУРА

1. Ю.А. Селивёрстов, С.А. Ключников, С.Н. Иллариошкин. Спинальные мышечные атрофии: понятие, дифференциальная диагностика, перспективы лечения. // Нервные болезни 3\*2015. <http://atm-press.ru>.
2. Wirth B. An Update of the Mutation Spectrum of the Survival Motor Neuron Gene (SMN1) in Autosomal Recessive Spinal Muscular Atrophy (SMA) [Text] / B. Wirth // Human Mutation. – 2000. – Vol. 15, Issue 3. – P. 228–237.
3. Mercuri E., Finkel R.S., Muntoni F. et al. Diagnosis and management of spinal muscular atrophy: Part 1: Recommendations for diagnosis, rehabilitation, orthopedic and nutritional care. // *Neuromuscular Disorders* 28 (2018) 103–115.
4. Наталія Олексіївна Афанасьєва. Спінальна м'язова атрофія (Spinal Muscular Atrophy). [ibis-birthdefects.org](http://ibis-birthdefects.org).
5. 020 CSMA Фонд Діти зі спінальною м'язовою атрофією. <https://csma.org.ua>.
6. Zerres K., Rudnik-Schonebom S. Natural History in Proximal Spinal Muscular Atrophy. *Arch neurol.* Vol 52, May 1995.
7. Zerres K., Rudnik-Schonebom S., Forrest E., Lusakowska A., Borkowska J., Hausmanowa-Petrusewicz I. A collaborative study on the natural history of childhood and juvenile onset proximal spinal muscular atrophy (type II and III SMA): 569 patients. *Journal of the Neurological Sciences* 146 (1997) 67–72.
8. <https://moz.gov.ua/reestr-optovo-vidpuskni-cin-na-likarski-zasobi>
9. Рекомендации по ведению пациентов и респираторной поддержке при спинальной мышечной атрофии (СМА) типов 1-3. Первое согласительное совещание Ассоциации «Семьи СМА» (Италия) Рим, Италия, 30-31 января 2015 г. Рекомендации по ведению пациентов и респираторной поддержке при спинальной мышечной атрофии (СМА) типов 1-3. От имени Ассоциации «Семьи СМА» (Италия): В. А. Сансоне, Ф. Рачча, Г. Оттонелло, А. Вяяелло, А. Бернарделлини и др.
10. РЦРЗ (Республиканский центр развития здравоохранения МЗ РК). Протокол №63 от «19» апреля 2019 года «Спинальные мышечные атрофии у детей» Одобрено Объединенной комиссией по качеству медицинских услуг Министерства здравоохранения Республики Казахстан. Джаксыбаева А. Х., Мырзалиева Б. Ж., Жумаханов Д. Б., Нурмагамбетова Б. К., Жетимкаринова Г. Е. 2020 MedElement \* [diseases.medelement.com](http://diseases.medelement.com).
11. Tan H., Gu T., Chen E., Puneekar R., Shieh P.B. Healthcare Utilization, Costs of Care, and Mortality Among Patients With Spinal Muscular Atrophy. *JHEOR* 2019; 6 (3): 185–195.
12. Cardenas J., Menier M., Heitzer M. D., Sproule D. M. High Healthcare Resource Use in Hospitalized Patients with a Diagnosis of Spinal Muscular Atrophy Type 1 (SMA1): Retrospective Analysis of the Kids' Inpatient Database (KID). *Pharmacoeconomics - Open* (2019) 3: 205–213.
13. Zuluaga-Sanchez S., Teynor M., Knight C., Thompson R., Lundqvist T., Ekelund M., Forsmark A., Vickers A.D., Lloyd A. Cost Effectiveness of Nusinersen in the Treatment of Patients with Infantile-Onset and Later-Onset Spinal Muscular Atrophy in Sweden. *Pharmacoeconomics* (2019) 37: 845–865.
14. Finkel R., Mercury E., Meyer O.H. et al. Diagnosis and management of spinal muscular atrophy: Part 2: Pulmonary and acute care; medications, supplements and immunizations; other organ systems; and ethics. *Neuromuscular Disorders* 28 (2018) 197–207.
15. Cost of Amyotrophic Lateral Sclerosis, Muscular Dystrophy, and Spinal Muscular Atrophy in the United States, Muscular Dystrophy Association, Final Report, The Lewin Group Inc., March 1, 2012.
16. А.В. Шатілло, В.М. Матюшенко, Спінальна м'язова атрофія: реалії та перспективи в Україні, УКР. МЕД. ЧАСОПИС, 1 (135), Т. 1 – I/II 2020, УДК 616.832-009.54.
17. Закон України від 19.11.1992р. №2801-XII «Основи законодавства України про охорону здоров'я».
18. Klug C., Schreiber-Katz O., Thiele S., Schorling E., Zowe J., Reilich P., Walter M.C. and Nagels K.H. Disease burden of spinal muscular atrophy in Germany *Orphanet Journal of Rare Diseases* (2016) 11: 58.
19. López-Bastida J., Peña-Longobardo L.M., Aranda-Reneo I., Tizzano E., Sefton M. and Oliva-Moreno J. Social/economic costs and health-related quality of life in patients with spinal muscular atrophy (SMA) in Spain. *Orphanet Journal of Rare Diseases* (2017) 12: 141.
20. Spinal Muscular Atrophy Support UK. Scottish Survey (Dec 2017 – Jan 2018) re: impact of 5q SMA and views on nusinersen. 2018. p. 1–29.





## УЖЕ ЗАРЕЄСТРОВАНО В УКРАЇНІ

Лікування спінальної м'язової атрофії (СМА)  
у пацієнтів віком від 2 місяців



Пероральний розчин  
зі смаком полуниці



Введення дозатором  
перорально або через  
зонд чи гастростому



Застосування  
перорально або через  
в домашніх умовах

**Література:** 1. Інструкція для медичного застосування лікарського засобу Еврісді. Наказ МОЗ України від 23.10.2020 № 2418. Реєстраційне посвідчення № UA/18405/01/01. 2. Belter L, et al. J Neuromuscul Dis. 2018;5(2):167-176. 3. Lipnick S, et al. PLoS One. 2019;14(3):e0213680. 4. Shababi M, et al. J Anat. 2014;224(1):15-28. 5. Kim J, et al. J Clin Invest. 2020;130(3):1271-1287. 6. Simone C, et al. Cell Mol Life Sci. 2016;73(5):1003-20. 7. Rudnik-Schöneborn S, et al. Muscle Nerve. 2010;42(1):144-7. 8. Hamilton G, Gillingwater T. Trends Mol Med. 2013;19(1):40-50. 9. Nery F, et al. Neurol Genet. 2019;5:e353. 10. Mercuri E, et al. Neuromuscul Disord. 2018;28(2):103-115. 11. Шатілло А. В., Матюшенко В. М. Український медичний часопис. – 2020. – № 1 / Т. 1. – С. 5-8. 12. Sivaramakrishnan M, et al. Nature Communications. 2017;8:1476. 13. Baranello G, et al. Presented at the International SMA Researcher Meeting in Anaheim, CA; June 27-30, 2019. CureSMA Oral Presentation. 14. Baranello G, et al. Presented at the World Muscle Society Virtual Congress; September 28 – October 2, 2020. WMS Poster. 15. Baranello G, et al. Presented at the European Respiratory Society Virtual Meeting; September 7-9, 2020. ERS Poster. 16. Servais L, et al. Presented at the Cure SMA Virtual Annual Conference; June 8-12, 2020. CureSMA Oral Presentation. 17. Servais L, et al. Presented at the World Muscle Society Virtual Congress; September 28 – October 2, 2020. WMS Poster #P271. 18. Mercuri E, et al. Presented at the International Scientific Congress on Spinal Muscular Atrophy in Krakow, Poland; January 25-27, 2018. SMA Europe Poster. 19. Mercuri E, et al. Presented at the International SMA Researcher Meeting in Anaheim, CA; June 27-30, 2019. CureSMA Oral Presentation. 20. Day JW, et al. Presented at the Cure SMA Virtual Annual Conference; June 8-12, 2020. CureSMA Oral Presentation. 21. Mercuri E, et al. Presented at the International Scientific & Clinical Congress on SMA in Evry, France; Feb. 5-7, 2020. SMA Europe Oral Presentation. 22. Poirier A, et al. Pharmacol Res Perspect. 2018;6(6):e00447. Published 2018 Nov 29.

**КОРОТКА ІНСТРУКЦІЯ** для медичного застосування лікарського засобу Еврісді (Evrysdi™) **Склад:** діюча речовина: рисдиплам (risdiplam); 1 пляшка містить 60 мг рисдипламу; 1 мл відновленого розчину містить 0,75 мг рисдипламу. **Лікарська форма.** Порошок для орального розчину. Код АТХ M09A X10. **Фармакологічні властивості.** Лікарський засіб Еврісді, порошок для орального розчину, містить рисдиплам, який є модифікатором сплайсingu попередника матричної РНК (пре-мРНК) гену, що кодує білок виживання мотонейронів 2 (SMN2). У клінічних дослідженнях Еврісді призводить до збільшення рівня білка SMN. Результати клінічних досліджень підтверджують ефективність препарату Еврісді для лікування СМА у пацієнтів віком від 2 місяців, а також доводять необхідність раннього початку лікування лікарським засобом Еврісді. **Показання.** Лікування спінальної м'язової атрофії (СМА) у пацієнтів віком від 2 місяців. **Протипоказання.** Відсутні. **Застосування у період вагітності або годування груддю.** Відсутні належні дані щодо ризику для розвитку, асоційованого із застосуванням препарату Еврісді вагітним. У дослідженнях на тваринах застосування рисдипламу при вагітності або в пренатальний період, так і протягом годування груддю призводило до негативного впливу на розвиток при клінічно значущій експозиції лікарського засобу або експозиції лікарського засобу, що перевищує клінічну. **Годування груддю.** Немає інформації щодо присутності рисдипламу в молоці людини, впливу на немовлят, які отримують годування груддю, або впливу на вироблення молока. Слід враховувати користь грудного вигодовування для розвитку та здоров'я, а також клінічну потребу матері у лікуванні препаратом Еврісді та будь-які потенційні побічні ефекти препарату Еврісді або основного захворювання матері на дитину, яка знаходиться на грудному вигодовуванні. Тестування на вагітність рекомендується жінкам дітородного віку до початку лікування препаратом Еврісді. Необхідно порадити жінкам дітородного віку застосовувати ефективну контрацепцію під час лікування препаратом Еврісді та протягом щонайменше 1 місяця після отримання останньої дози. **Безпліддя.** Чоловіки. Лікування препаратом Еврісді може порушувати фертильність у чоловіків. Пацієнти чоловічої статі можуть розглянути можливість збереження сперми до початку лікування. **Спосіб застосування та дози.** Лікарський засіб Еврісді необхідно приймати після його набору в оральний шприц. Якщо препарат Еврісді не прийнятий протягом 5 хвилин, слід звільнити оральний шприц від препарату і приготувати нову дозу. Лікарський засіб Еврісді приймають перорально один раз на добу після прийому їжі приблизно в один і той же час щодня. Якщо неовлята знаходяться на грудному вигодовуванні, препарат Еврісді необхідно приймати після кормління грудьми. Еврісді не слід змішувати з молочною сумішшю чи молоком. Після прийому Еврісді необхідно випити води, щоб переконатися, що препарат повністю проковтнувся. Якщо пацієнт не може ковтати і йому встановлено назогастральний зонд або гастростомічну трубку, Еврісді можна вводити через зонд/трубку. Після введення препарату зонд/трубку слід промити водою.

Таблиця 2. Режим дозування дорослим та дітям залежно від віку та маси тіла. Вік та маса тіла. Рекомендована добова доза

від 2 місяців до < 2 років	0,20 мг/кг
≥ 2 роки та маса тіла < 20 кг	0,25 мг/кг
≥ 2 роки та маса тіла ≥ 20 кг	5 мг

**Приготування орального розчину медичним фахівцем.** Лікарський засіб Еврісді у вигляді порошку повинен бути відновлений до орального розчину медичним фахівцем, який має відповідну кваліфікацію, перед відпуском пацієнту. **Побічні реакції.** Клінічні дослідження СМА із пізнім початком. Найбільш поширеними побічними реакціями були лихоманка, діарея та висипання. Клінічні дослідження СМА з інфантильним початком. Найбільш поширені побічні реакції були подібними до тих, що спостерігалися у пацієнтів із пізнім початком СМА в дослідженні 2. Крім того, повідомляли про наступні побічні реакції: інфекція верхніх дихальних шляхів, пневмонія, запор та блювання. **Термін придатності.** 24 місяці. **Умови зберігання.** Зберігати сухий порошок при температурі від 20 °C до 25 °C в оригінальній упаковці у недоступному для дітей місці. Зберігати відновлений оральний розчин в оригінальній пляшці бурштинового кольору з метою захисту від світла. Зберігати у холодильнику при температурі від 2 °C до 8 °C. Не заморожувати. Викинути будь-який невикористаний об'єм через 64 дні після відновлення. Зберігати пляшку у вертикальному положенні з щільно закритою кришкою. **Дата останнього перегляду** 23.10.2020.

**Категорія відпуску.** За рецептом.

Інформація наведена у скороченому вигляді. Перед застосуванням уважно ознайомтеся з Інструкцією для медичного застосування лікарського засобу Еврісді, затвердженою Наказом МОЗ України № 302 від 22.02.2021.

Матеріал підготовлено на замовлення (за сприянням) ТОВ «Рош Україна».

Повідомити про побічні явища під час лікування лікарським засобом ТОВ «Рош Україна» або поскаржитися на якість лікарського засобу ви можете за контактними реквізитами офісу або на електронну адресу: [ukraine.safety@roche.com](mailto:ukraine.safety@roche.com). Запит медичної інформації про лікарські засоби ТОВ «Рош Україна» ви можете надіслати на електронну адресу: [ukraine.medinfo@roche.com](mailto:ukraine.medinfo@roche.com).

Для розповсюдження/демонстрації/використання в рамках семінарів, конференцій, симпозіумів по медичній тематиці. Для розповсюдження співробітниками ТОВ «Рош Україна» під час зустрічей з спеціалістами охорони здоров'я.

ТОВ «Рош Україна», м. Київ, 04070, вул. П. Сагайдачного, 33. Тел.: +380 (44) 354 30 40, факс: +380 (44) 354 30 41. [www.roche.ua](http://www.roche.ua)

M-UA-00000411

**ІНФОРМАЦІЯ ДЛЯ ПРОФЕСІЙНОЇ ДІЯЛЬНОСТІ  
МЕДИЧНИХ І ФАРМАЦЕВТИЧНИХ ПРАЦІВНИКІВ**