



ФЕДЕРАЛЬНОЕ ГОСУДАРСТВЕННОЕ АВТОНОМНОЕ УЧРЕЖДЕНИЕ
«НАЦИОНАЛЬНЫЙ МЕДИЦИНСКИЙ
ИССЛЕДОВАТЕЛЬСКИЙ ЦЕНТР ЗДОРОВЬЯ ДЕТЕЙ»
МИНИСТЕРСТВА ЗДРАВООХРАНЕНИЯ РОССИЙСКОЙ ФЕДЕРАЦИИ
(ФГАУ «НМИЦ здоровья детей» Минздрава России)

119991, Москва
Ломоносовский проспект, д.2, стр.1
ИНН 7736182930
КПП 773601001

Телефон: 8 499 134-30-83
Факс: 8 499 134-04-88
e-mail: info@nczd.ru
www.nczd.ru

Исх. № 88-2/24-515

« 19 » 06 2024 г.



№2-128395 от 20.06.2024

Директору Департамента
регулирования обращения
лекарственных средств и
медицинских изделий
Министерства здравоохранения
Российской Федерации

Е.М. Астапенко

Уважаемая Елена Михайловна!

В соответствии с письмом Департамента регулирования обращения лекарственных средств и медицинских изделий Минздрава России от 18.06.2024 № 25-7/5339 в целях организации защиты заявок субъектов РФ на централизованное лекарственное обеспечение на 2025 год в рамках исполнения постановления Правительства РФ от 26.11.2018 г. № 1416, направляем Вам запрашиваемую информацию согласно приложению.

С уважением,

Директор

А.П. Фисенко

АТИПИЧНЫЙ ГЕМОЛИТИКО-УРЕМИЧЕСКИЙ СИНДРОМ

Критерии назначения препарата экулизумаб:

1. Установленный консилиумом специалистов федерального лечебного учреждения диагноз Атипичного гемолитико-уремического синдрома (аГУС).
2. Наличие признаков тромботической микроангиопатии при исключении гемолитико-уремического синдрома, ассоциированного с шигатоксином (STEC), тромботической тромбоцитопенической пурпуры, отсутствия признаков системных заболеваний соединительной ткани, наследственных нарушений обмена кобаламина.

Актуальная версия программы расчета потребности:

Препарат назначается в соответствии с инструкцией.

При массе тела более 40 кг:

- Начальный цикл: 900 мг (3 флакона) препарата Экулизумаба 1 раз в неделю в течение первых 4 недель.
- Фаза поддерживающей терапии: 1200 мг (4 флакона) Экулизумаба на 5-й неделе, с последующим введением 1200 мг препарата каждые 14 дней \pm 2 дня.

При лечении детей аГУС и массой тела < 40 кг доза препарата Экулизумаб определяется в зависимости от массы тела ребенка:

Масса тела пациента	Начальный цикл	Фаза поддерживающей терапии
От 30 до менее 40 кг	600 мг 1 раз в неделю x 2	900 мг на 3 неделе; затем 900 мг каждые 2 недели
От 20 до менее 30 кг	600 мг 1 раз в неделю x 2	600 мг на 3 неделе; затем 600 мг каждые 2 недели
От 10 до менее 20 кг	600 мг 1 раз в неделю x 1	300 мг на 2 неделе; затем 300 мг каждые 2 недели
От 5 до менее 10 кг	300 мг 1 раз в неделю x 1	300 мг на 2 неделе; затем 300 мг каждые 3 недели

Предпочитаемые схемы лекарственной терапии и критериев переключения

Длительность применения препарата определяется консилиумом специалистов федерального лечебного учреждения с учетом молекулярно-генетического исследования

Требования к сопровождающей медицинской документации

Консилиум специалистов федерального лечебного учреждения с обоснованием назначения препарата и указанием длительности применения.

Подробная выписка из истории болезни с указанием антропометрических данных, актуальных результатов исследования маркеров активности тромботической микроангиопатии, результатах проведенных обследований в дебюте заболевания (STEC, Adamts13, уровень компонента C3, C4, антител к двупочечной ДНК, антител к фактору H компонента, результатов молекулярно - генетического исследования при наличии), дозе и дате последнего введения экулизумаба в случае начатой терапии.

МУКОВИСЦИДОЗ

Препарат Дорназа альфа (ампула 2,5мг/2,5 мл) для ингаляционного введения

1. Критерии назначения в 2025 году, согласно клиническим рекомендациям:

- установленный диагноз «муковисцидоз».
- стандартная доза 1 амп (2,5 мг/2.5 мл) ежедневно 1 раз в день, постоянно.
- превышает стандарт 2 амп (2,5 мг/2.5 мл) ежедневно 2 раза в день (распространенные бронхоэктазы; хронический полипозный риносинусит).

2. Расчет потребности (ориентировочный, так как количество больных меняется в течение года, препарат выдается строго по спискам, предоставляемым из субъектов РФ):

- стандартная доза (1 амп x 1 раз в день) = 365 дней x 1 амп = 365 ампул на 1 одного больного.

количество больных ориентировочно 4200 = 4200 ампул x 365 дней = 1.533.000 ампул (255.000 коробок).

- доза превышающая стандарт (1 амп x 2 раза в день) = добавить еще 1400 больных, которые получают по 2 амп в день = 511.000 ампул (85.166 коробок).

ИТОГО: 340.166 коробок дорназы альфа (2.041.000 ампул) (ориентировочный расчет).

3. Схемы терапии: ежедневно постоянно

- стандартная доза – по 1 амп в день
- превышает стандарт – по 2 амп в день

4. Сопровождающая медицинская документация:

Актуальная, не позднее 1 месяца, выписка из истории болезни для всех больных (на стандартной и превышающей стандарт дозе).

МУКОПОЛИСАХАРИДОЗ I ТИПА

Критерии назначения:

1. Характерная клиническая картина заболевания
2. Повышение гликозаминогликанов (ГАГ) в моче
3. Снижение уровня фермента альфа-L-идуронидазы в крови
4. Подтверждающие диагноз данные молекулярно-генетической диагностики (мутации в гене IDUA).

Расчет потребности:

Ларонидаза 100 ЕД/кг/введение один раз в неделю. Расчет на 52 недели.

Пример расчета:

1. Актуальный вес больного = 21 кг
2. 1 флакон Ларонидазы = 500 ЕД -5 мл
3. $21 \text{ кг} \times 100 \text{ ЕД/кг/введение} = 2100 \text{ ЕД} / 500 \text{ ЕД} = 4,2 \text{ флакона} = 5 \text{ флаконов на введение}$ (округление флаконов ВСЕГДА до большего числа!)
4. $5 \text{ флаконов} \times 52 \text{ введения} = 260 \text{ флаконов на 52 недели}$
5. $260 \text{ флаконов} \times 5 \text{ мл} = 1300 \text{ мл} - \text{годовая потребность.}$

Схема лекарственной терапии и критерии переключения:

1 раз в неделю внутривенно капельно длительно, непрерывно.

Переключение – нет. Решение вопроса об отмене/продолжении терапии Ларонидазой после трансплатации гемопоэтических стволовых клеток у пациентов с синдромом Гурлера осуществляется по решению и под контролем Федерального центра.

Требования по медицинской документации

- 1) Заключение врача (педиатр, генетик, невролог) сроком не более 3 месяцев, в котором указаны объективные данные, подтверждающие диагноз (клиническая картина заболевания, ГАГ мочи, энзимодиагностика, молекулярно-генетическая диагностика) и АКТУАЛЬНЫЙ ВЕС пациента (обязательно)
- 2) Эпикриз из Федерального Центра сроком не более 1 года (желательно)

МУКОПОЛИСАХАРИДОЗ II ТИПА

Критерии назначения:

1. Характерная клиническая картина заболевания
2. Повышение гликозаминогликанов (ГАГ) в моче
3. Снижение уровня фермента идуронат-2-сульфатазы в крови
4. Подтверждающие диагноз данные молекулярно-генетической диагностики (мутации в гене IDS).

Расчет потребности:

Идурсульфазы или Идурсульфазы бета 0,5 мг/кг/введение один раз в неделю. Расчет на 52 недели.

Пример расчета:

1. Актуральный вес больного = 25 кг
2. 1 флакон Идурсульфазы /Идурсульфазы бета = 6 мг - 3 мл
3. $25 \text{ кг} \times 0,5 \text{ мг/кг/введение} = 12,5 \text{ мг} / 6 \text{ мг} = 2,08 \text{ флакона} = 3 \text{ флакона на введение}$
(округление флаконов ВСЕГДА до большего числа!)
4. $3 \text{ флакона} \times 52 \text{ введения} = 156 \text{ флаконов на 52 недели}$
5. $156 \text{ флаконов} \times 3 \text{ мл} = 468 \text{ мл} - \text{годовая потребность.}$

Схема лекарственной терапии и критерии переключения:

1 раз в неделю внутривенно капельно длительно, непрерывно.

Переключение с одного препарата на другой осуществляется при выраженных инфузионных реакциях по решению и под контролем Федерального центра.

Требования по медицинской документации

1. Заключение врача (педиатр, генетик, невролог) сроком не более 3 месяцев, в котором указаны объективные данные, подтверждающие диагноз (клиническая картина заболевания, ГАГ мочи, энзимодиагностика, молекулярно-генетическая диагностика) и АКТУАЛЬНЫЙ ВЕС пациента (обязательно)
2. Эпикриз из Федерального Центра сроком не более 1 года (желательно)

МУКОПОЛИСАХАРИДОЗ VI ТИПА

Критерии назначения:

1. Характерная клиническая картина заболевания
2. Повышение гликозаминогликанов (ГАГ) в моче
3. Снижение уровня фермента N-ацетилгалактозамин-4-сульфатазы (арилсульфатазы В) в крови
4. Подтверждающие диагноз данные молекулярно-генетической диагностики (мутации в гене ARSB).

Расчет потребности:

Галсульфаза 1 мг/кг/введение один раз в неделю. Расчет на 52 недели.

Пример расчета:

1. Актуальный вес больного = 21 кг
2. 1 флакон Галсульфазы = 5 мг - 5 мл
3. $21 \text{ кг} \times 1 \text{ мг/кг/введение} = 21 \text{ мг} / 5 \text{ мг} = 4,2 \text{ флакона} = 5 \text{ флаконов на введение (округление флаконов ВСЕГДА до большего числа!)}$
4. $5 \text{ флаконов} \times 52 \text{ введения} = 260 \text{ флаконов на 52 недели}$
5. $260 \text{ флаконов} \times 5 \text{ мл} = 1300 \text{ мл} - \text{годовая потребность.}$

Схема лекарственной терапии и критерии переключения:

1 раз в неделю внутривенно капельно длительно, непрерывно.

Переключение – нет.

Требования по медицинской документации

1. Заключение врача (педиатр, генетик, невролог) сроком не более 3 месяцев, в котором указаны объективные данные, подтверждающие диагноз (клиническая картина заболевания, ГАГ мочи, энзимодиагностика, молекулярно-генетическая диагностика) и АКТУАЛЬНЫЙ ВЕС пациента (обязательно)
2. Эпикриз из Федерального Центра сроком не более 1 года (желательно)

ЮНОШЕСКИЙ АРТРИТ С СИСТЕМНЫМ НАЧАЛОМ

№ п/п	Лекарственный препарат (МНН, ЛФ, дозировка)	Критерии назначения, централизованнокупаемых лекарственных препаратов согласно действующим клиническим рекомендациям	Требования к сопровождающей медицинской документации	Предпочитаемые схемы лекарственной терапии	Критерии переключения	Актуальная версия программы расчета потребности
1	Тоцилизумаб, концентрат для приготовления раствора для инфузий 20 мг/мл	1. На любом этапе болезни при неэффективности НПВП и/или ГКС, и/или метотрексата, и/или лефлуномида, а также детям, ранее, не получавшим ГКС и/или иммунодепрессанты	Обязательным требованием является прикрепление документов для всех пациентов, включенных в заявку вне зависимости от итоговой потребности: 1. Выписного эпикриза из истории болезни давностью не более 6 мес., включающего: 1.1. Результаты клинического анализа крови давностью не более 6 мес. 1.2. Результаты биохимического анализа крови (С-реактивный белок, АСТ, АЛТ, билирубин, креатинин,	детям с массой тела ≥ 30 кг - в дозе 8 мг/кг/введение внутривенно 1 раз в 2 нед. детям с массой тела < 30 кг - в дозе 12 мг/кг/введение внутривенно 1 раз в 2 нед. В случае сохранения лекарственной ремиссии, задокументированной в выписном эпикризе из истории болезни, допустимо постепенное увеличение интервалов между введениями последовательно с 1 раза в 2 недели до 1 раза	Неэффективность и/или непереносимость ранее проводимой терапии (персистирование системных проявлений и/или персистирование артрита и/или недостижение пациентом 50% улучшения по критериям АКРпеди через 3 мес. или стадии неактивной болезни по критериям С. Wallace - через 6 мес от момента	Для автоматизированного расчета потребности в лекарственных препаратах используется электронный ресурс профильной некоммерческой организации «Ассоциация детских ревматологов» - «Анкета для пациентов с юношеским артритом с системным началом для оформления заявки на обеспечение лекарственными препаратами по программе 14-ти высокочатратных

			мочевина, ферритин) – давностью не более 6 мес.	в 12 недель. максимальная разовая доза 800 мг	инициации предшествующей терапии)	нозологий» (Анкета 14 ВЗН), расположенная по адресу: https://erk.aspirire-russia.ru/
2	Тоцилизумаб, раствор для подкожного введения 162 мг/0,9 мл		1.3. Результаты УЗИ органов брюшной полости, почек и мочевого пузыря, ЭХО-КГ – давностью не более 6 мес.	детям с массой тела ≥ 30 кг - в дозе 162 мг подкожно 1 раз в нед. детям с массой тела < 30 кг – в дозе 162 мг подкожно 1 раз в 2 нед.		
3	Канакинумаб, раствор для подкожного введения 150 мг/мл		1.4. Результаты ЭКГ – давностью не более 6 мес. 1.5. Результаты компьютерной томографии органов грудной клетки – давностью не более 6 мес. 1.6. Результаты реакции Манту и/или диаскинтеста – давностью не более 6 мес. 1.7. Консультацию офтальмолога – давностью не более 6 мес.	в дозе 4 мг/кг подкожно 1 раз в 4 нед. В случае сохранения лекарственной ремиссии, задокументированной в выписном эпикризе из истории болезни, допустимо постепенное увеличение интервалов между введениями последовательно с 1 раза в 4 недели до 1 раза в 8-12 недель максимальная разовая доза 300 мг		
4	Этанерцепт, раствор для подкожного введения 50 мг/мл	При парциальной неэффективности тоцилизумаба, канакинумаба, ритуксимаба в	2. Заполненная «Анкета для пациентов с юношеским артритом с системным началом для	в дозе 0,4 мг/кг/введение подкожно 2 раза в нед. или в дозе 0,8		

		сочетании с метотрексатом или лефлуномидом (при ремиссии системных проявлений)	оформления заявки на обеспечение лекарственными препаратами по программе 14-ти высокочастотных нозологий» в электронной системе.	мг/кг/введение 1 раз в нед. максимальная разовая доза 50 мг		
5	Этанерцепт, лиофилизат для приготовления для подкожного введения 10 мг, 25 мг	длительностью не менее года и рецидивирующем артрите на фоне последовательного назначения тоцилизумаба, канакинумаба, ритуксимаба в сочетании с метотрексатом или с лефлуномидом)		в дозе 0,4 мг/кг/введение подкожно 2 раза в нед. или в дозе 0,8 мг/кг/введение 1 раз в нед. максимальная разовая доза 50 мг		
6	Адалимумаб, раствор для подкожного введения 100 мг/мл			пациентам в возрасте ≥ 2 лет с массой тела 10 - 30 кг – 20 мг подкожно 1 раз в 2 нед. или пациентам с массой тела; >30 кг – 40 мг подкожно 1 раз в 2 нед. максимальная разовая доза 40 мг		