

Протокол № 13
заседания Формулярной комиссии
Министерства здравоохранения Республики Казахстан
(в режиме Webex)

г. Нур-Султан

«23» августа 2021 год

Председествовал: Джусипов Бауржан Алишерович – заместитель Председателя Формулярной комиссии Министерства здравоохранения Республики Казахстан.

Участвовали: Сыздыкова Б.М., Адылканов Р.А., Даутбаев Е.К., Бидатова Г.К., Негай Н.А., Мирзахметова Д.Д., Раимкулова Г.У., Дурманова М.И., Кемайкин В.М., Ясыллов Е.А., Касымбекова С.Ж., Макалкина Л.Г. Алдиярова Н.Т., Байпакбаева Ж.Ж., Жангабылов Н.С., Мухамеджанова Г.Е., Дурманова А.К.

Приглашенные: Есбатырова Л.М. – и.о. руководителя Центра оценки технологий здравоохранения РГП на ПХВ «Республиканский центр развития здравоохранения» МЗ РК.

Секретарь: Дастан Ш.М.

Отсутствовали: Буркитбаев Ж.К. (совещание), Байсеркин Б.С., Дюсенов А.К., Ембергенова М.Х., Абдрахманов Р.З., Надыров К.Т. (совещание), Бекарисов О.С., Жунисов Е.А., Кулкаева Г.У., Боранбаева Р.З. (отпуск), Кипшакбаев Р.К. (командировка), Шамсивалиева К.А., Аденов М.М. (отпуск).

Повестка заседания:

1. Обсуждение лекарственных средств для лечения орфанных и других заболеваний.

Докладчик:

Есбатырова Л.М. – и.о. руководителя Центра оценки технологий здравоохранения РГП на ПХВ «Республиканский центр развития здравоохранения» МЗ РК.

Заседание открыл заместитель Председателя Формулярной комиссии Министерства здравоохранения Республики Казахстан – Джусипов Б.А.

Кворум для принятия решений Формулярной комиссией имеется (участвуют 18 человек, отсутствуют - 13 человек).

Джусипов Б.А.: На сегодняшнем заседании планируется рассмотреть вопросы по лекарственным средствам для лечения орфанных и других заболеваний, по которым Рабочий орган (РГП «РЦРЗ») Формулярной комиссии МЗ РК провел анализ.

По вопросу «Обсуждение лекарственных средств для лечения орфанных и других заболеваний» Есбатырова Л.М. доложила следующее:

На рассмотрение

1. 39 позиций ЛС, МИ и гигиен. средства;
2. 12 + 4 ЛС ЛС, МИ, питание при Эпилепсии;
3. 79 ЛС - СТ разница между утратившим силу и действующим приказами по орфанным ЛС;
4. 3 ЛС по обращениям: Касимерсен, Ланаделумаб, Рисдиплам;
5. 3 ЛС Выпавшие из Перечня АЛО в связи с отсутствием в КНФ: клофазимин, даклатасвир, баклофен

Правовая база формирования КНФ и Перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения

- Кодекс Республики Казахстан от 7 июля 2020 года № 360-VI ЗРК «О здоровье народа и системе здравоохранения»;
- Приказ и.о. Министра здравоохранения Республики Казахстан от 24 декабря 2020 года № КР ДСМ-326/2020 «Об утверждении правил формирования Казахстанского национального лекарственного формуляра, а также правил разработки лекарственных формуляров организаций здравоохранения»;
- Приказ Министра здравоохранения Республики Казахстан от 16 октября 2020 года № КР ДСМ-135/2020 «Об утверждении правил формирования перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения».

3

Порядок формирования Казахстанского национального лекарственного формуляра

Порядок формирования Казахстанского национального лекарственного формуляра включает в себя следующее:

1) подачу заявления производителя или его официального представителя в Республике Казахстан (далее – заявитель) в подведомственную организацию уполномоченного органа, в компетенцию которой входят вопросы проведения экспертизы, предусматривающей оценку данных о клинической безопасности и эффективности лекарственного средства, подтвержденных клинических исследованиях, а также в мета-анализах и (или) систематических обзорах (далее – Центр);

2) проведение Центром профессиональной экспертизы (30 рабочих дней);

3) подготовка Центром заключения по результатам профессиональной экспертизы для Формулярной комиссии уполномоченного органа в области здравоохранения (далее – Формулярной комиссии);

4) рассмотрение и принятие решения Формулярной комиссией на основании заключения по результатам профессиональной экспертизы;

5) формирование уполномоченным органом КНФ.

* 10. При включении в КНФ лекарственного средства применяемого для лечения социально значимого заболевания, перечень которых определяется в соответствии с [подпунктом 15.8\)](#) пункта 1 статьи 1 Кодекса, допускается рассмотрение Формулярной комиссией включения лекарственного средства в КНФ по инициативе уполномоченного органа, с подготовкой досье Центром в соответствии с требованиями [приложения 2](#) настоящих правил.

4

В ходе проведения профессиональной экспертизы Центром проводятся следующие исследования:

- 1) на предмет нахождения лекарственного средства в Государственном реестре лекарственных средств и медицинских изделий (далее - Реестр) и на предмет нахождения лекарственного средства в Перечне орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения (орфанных), определенном согласно пункту 3 статьи 177 Кодекса (далее - Перечень);
- 2) клинической эффективности лекарственного средства по зарегистрированным показаниям к применению, соответствующей соотношению уровней доказательности I и II и градаций рекомендаций A и B, по шкале разработанной Оксфордским Центром доказательной медицины в соответствии с приложением 4 к настоящим Правилам (далее - Шкала), подтвержденной результатами клинических исследований высокого методологического качества в казахстанских и международных признанных источниках;
- 3) безопасности лекарственного средства по зарегистрированным показаниям к применению, соответствующей соотношению уровней доказательности I и II и градаций рекомендаций A и B, по Шкале, подтвержденной результатами клинических исследований высокого методологического качества в казахстанских и международных признанных источниках;
- 4) по заболеваниям, являющимся зарегистрированными показаниями к применению лекарственного средства, уровню и структуре заболеваемости населения Республики Казахстан, по данным официальных электронных информационных ресурсов и информационных систем созданных согласно подпункту 30 статьи 7 Кодекса, а также опубликованных статистических сборников уполномоченного органа или эпидемиологических исследований;
- 5) на наличие в рекомендациях клинических протоколов Республики Казахстан;
- 6) на наличие в рекомендациях международных (европейских) клинических руководств и (или) клинических руководств, протоколов стран-членов Организации экономического сотрудничества и развития (ОЭСР);
- 7) на наличие в списке основных лекарственных средств Всемирной организации здравоохранения и (или) в Британском национальном лекарственном формуляре (в том числе для детей) и (или) компенсируемых списках и формулярах стран ОЭСР;
- 8) на наличие регистрации лекарственных препаратов в странах региона Международной конференции по гармонизации технических требований к регистрации лекарственных препаратов для медицинского применения (ИЧН) и (или) ОЭСР или регистрации по централизованной процедуре компетентным органом Европейского Союза, наличие процедуры переквалификации ВОЗ или включение в перечень ВОЗ переквалифицированных лекарственных средств, предназначенных для борьбы с ВИЧ, туберкулезом, гепатитом и другими болезнями;
9. Формулярная комиссия рассматривает представленное Центром заключение и оценивает соответствие лекарственного средства пунктам 1), 2), 3), 4) и одному из подпунктов 5), 6), 7), 8) пункта 7 настоящих Правил, с учетом которого принимается решение о включении лекарственного средства в ИНФ.

3

Порядок формирования перечня лекарственных средств для лечения орфанных заболеваний

10. Для включения лекарственных препаратов в перечень орфанных лекарственных средств субъектами обращения лекарственных средств, представителями организаций производителей лекарственных средств, субъектами здравоохранения, представителями ассоциаций и общественных объединений, физическими и юридическими лицами подаются предложения в уполномоченный орган.
11. Предложения с момента поступления в течение 3 рабочих дней направляются уполномоченным органом в Республиканскую государственную организацию, осуществляющую организацию сбора, обработки, хранения и анализа медицинских статистических данных о деятельности организаций здравоохранения, состоянии здоровья населения и лекарственном обеспечении (далее - Рабочий орган).
12. Рабочий орган проводит анализ предлагаемых лекарственных препаратов с подготовкой заключения, включающего следующую информацию:
 - 1) общее описание лекарственного препарата;
 - 2) сведения о регистрации лекарственного препарата на территории Республики Казахстан со статусом орфанного препарата (технология) или описание причин отсутствия регистрации в Республике Казахстан;
 - 3) общее описание орфанного заболевания, включенного в Перечень орфанных заболеваний, утвержденный в соответствии с пунктом 3 статьи 177 Кодекса или более узкого показания в рамках данного орфанного заболевания, при котором предлагается применение лекарственного препарата;
 - 4) детали регуляторного орфанного статуса за рубежом;
 - 5) обзор основных клинических исследований;
 - 6) сравнение с орфанными технологиями, зарегистрированными в Республике Казахстан с подтверждением значимой клинической или экономической выгоды.
13. Результаты анализа в виде заключения Рабочего органа направляются в уполномоченный орган для рассмотрения на заседании Формулярной комиссии (далее - ФК).

О ЗДОРОВЬЕ НАРОДА И СИСТЕМЕ ЗДРАВООХРАНЕНИЯ

Кодекс Республики Казахстан от 7 июля 2020 года № 360-VI ЗРК

Глава 20. ОКАЗАНИЕ МЕДИЦИНСКОЙ ПОМОЩИ ПРИ ОСНОВНЫХ НЕИНФЕКЦИОННЫХ ЗАБОЛЕВАНИЯХ

Параграф 2. Оказание медицинской помощи при орфанных заболеваниях

Статья 177. Оказание медицинской помощи при орфанных заболеваниях

3. Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения (орфанных) утверждается уполномоченным органом с учетом следующих критериев:

- 1) распространенность в Республике Казахстан;
- 2) необходимость в систематическом лечении, для проведения которого имеются разработанные и зарегистрированные на территории Республики Казахстан лекарственные средства (курабельные пациенты);
- 3) необходимость в систематическом лечении с применением лекарственных средств, которые разработаны и имеются в мире, но не зарегистрированы к применению на территории Республики Казахстан;
- 4) наличие заболеваний, для лечения которых в мире отсутствуют разработанные лекарственные средства;
- 5) необходимость оказания паллиативной медицинской помощи в связи с отсутствием радикальной терапии (инкурабельные пациенты).

7

Лекарственный препарат включается в Перечень орфанных лекарственных средств при наличии положительной рекомендации ФК и соответствии следующим критериям

- 1) лекарственный препарат предназначен для диагностики, профилактики или лечения одного или нескольких орфанных заболеваний согласно утвержденного перечня орфанных заболеваний (на момент подачи предложения);
- 2) лекарственный препарат зарегистрирован к применению на территории Республики Казахстан со статусом орфанного препарата (технологии) или не зарегистрирован к применению на территории Республики Казахстан;
- 3) лекарственный препарат предназначен для пациентов с заболеванием, для которого не существует удовлетворительных методов диагностики, профилактики, лечения или при наличии такого метода, данный лекарственный препарат будет приносить значительно большую пользу пациентам, страдающим таким заболеванием.

Пересмотр Перечня орфанных лекарственных средств проводится **один раз в три года** и (или) при появлении новых орфанных лекарственных средств.

8

**Критерии включения ЛС в проект КП
Приказ Министра здравоохранения Республики Казахстан от 12 ноября 2020 года №
ҚР ДСМ - 188/2020 «Об утверждении правил разработки и пересмотра клинических
протоколов»**

При включении ЛС в проект КП необходимо соблюдать следующие требования:

➤ Включение в клинический протокол незарегистрированных в Республике Казахстан лекарственных средств* допускается в следующих случаях:

1) включены в **Перечень орфанных заболеваний** и лекарственных средств для их лечения (орфанных), утвержденный приказом Министра здравоохранения Республики Казахстан от 20 октября 2020 года (зарегистрирован в Реестре государственной регистрации нормативных правовых актов Республики Казахстан под № 21479);

2) соответствуют одному из условий, предусмотренных в подпунктах 2), 3), 4), 6), 7), 8) пункта 7 Правил формирования **Казахстанского национального лекарственного формуляра**, а также правил разработки лекарственных формуляров организаций здравоохранения, утвержденных приказом исполняющего обязанности Министра здравоохранения Республики Казахстан от 24 декабря 2020 года № ҚР ДСМ-326/2020 (зарегистрирован в Реестре государственной регистрации нормативных правовых актов Республики Казахстан под № 21913)

➤ Включение в клинический протокол незарегистрированных в Республике Казахстан лекарственных средств не является основанием для возмещения в рамках гарантированного объема бесплатной медицинской помощи и в системе обязательного социального медицинского страхования.

№	МНН	Торговые наименования	Нозология	КП РК	Перечень орфанных ЛС	Перечень КНФ	Перечень АЛО	Перечень закупа ЕД	Примечание
1	Урсодезоксихолевая кислота	Урсофальк	Муковисцидоз		1		1		1. не является орфанным препаратом 2. Для включения в Перечень АЛО требуется заявка с ФЭИ
2	Адалimumаб	(Хумира)40 мг-0.4мл, п/к	1. Ювенильный идиопатический артрит; 2. псориатический артрит, активность умеренной степени; 3. Идиопатическая тромбоцитопеническая пурпура.	1			1		1. в КП "Ювенильный идиопатический артрит" "Псориатический артрит" представлен; Пересмотр КП "Идиопатическая тромбоцитопеническая пурпура" будет в 2021 году, препарат не рекомендуется. 2. Представлен как орфанный в РК; Представлен в Перечне АЛО при нозологиях "Анкилозирующий спондилит", "Псориаз", "Болезнь Крона" требуется заявка в перечень АЛО с ФЭИ
3	Алектиниб	Алеценза, капсула 150 мг	Онкологические заболевания		1		1	1	1. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС, рассмотрен ФК МЗ РК 03.07.2021 г 2. Решение ФК МЗ РК по включению в Перечень АЛО 2020 г 3. В Перечень ЕД после включения в Перечень АЛО
4	Аталурен	нет	Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна, вызванная делецией 48-50 экзонов в гене дистрофин.	1					Представлен в КП
5	Ацетилицтеин	Флуимцил для ингаляций	Стеноз гортани хронический канноленоситель	1			1	1	1. В КП представлен на стац.уровне 2. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД требуется заявка с ФЭИ
6	Вигабатрин	Сабрил, таблетка 500 мг	Эпилепсия			1	1	1	1. Для включения в КНФ не является орфанным ЛС (нет регистрации) 2. В Перечне АЛО представлен (за счет

									местного бюджета)
7	Голimumаб	раствор для подкожного введения 50 мг/0,5 мл шприцы одноразовые	1.Ювенильный идиопатический артрит 2.Псориатический артрит, активность умеренной степени		1		1		1. не является орфанным препаратом 2. Есть заявка за 2020 год для включения в нозологию "Ювенильный идиопатический артрит" По нозологии "Псориатический артрит" требуется заявка с ФЭИ
8	Голодирсен		Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна, вызванная делецией 48-50 экзонов в гене дистрофин.	1	1	1	1	1	1. В КП представлен 2. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС, 03.07.2021 г рассмотрен на ФК МЗ РК 3. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС в КНФ 4. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка
9	Дефлазакорт	таблетка 6 мг, 30 мг	Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна, вызванная делецией 48-50 экзонов в гене дистрофин.		1	1	1	1	1. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС 2. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС в КНФ, 03.07.2021 г рассмотрен ФК МЗ РК 3. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка
10	Диметилфумарат	Текфидера	Рассеянный склероз				1	1	1. Решение ФК МЗ РК о включении в Перечень АЛО 2. Представлен в проекте Перечня ЕД (согласно решению ФК)
11	Динутуксимаб	нет	Нейробластома	1	1	1	1	1	1. КП будет рассматриваться в 2021 году 2. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС 2. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС в КНФ 3. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка с ФЭИ
12	Зонисамид	Зонегран капсула 100 мг Актобе -25 мг	Эпилепсия			1	1	1	1. Для включения в КНФ требуется заявка – есть регистрация 2. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД требуется заявка с ФЭИ
13	Изотретиноин	Роаккутан	Злокачественное новообразование надпочечника				1		1. Представлен как орфанный препарат в РК(без указания нозологии) 2. Для включения в Перечень АЛО требуется заявка
14	Инфликсимаб	лиофилизированный порошок для внутривенного введения 100 мг	Ювенильный идиопатический артрит, псориатический артрит, активность умеренной степени				1		Для включения в Перечень АЛО требуется заявка с ФЭИ
15	Канакинумаб	Иларис (Канакинумаб), порошок для приготовления раствора для инъекций, 150 мг №1 флакон	Ювенильный идиопатический артрит, псориатический артрит, активность умеренной степени.	1	1		1	1	1. Не планируется пересмотр КП 2. Представлен как орфанный в РК 3. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка с ФЭИ
16	Кетоаналоги аминокислот				1	1	1	1	1. Не является орфанным препаратом 2. Для включения в КНФ требуется заявка 3. Для включения в Перечень

									АЛО и Перечень ЕД необходима заявка с ФЭИ
17	Клобазам	Фризиум 30 мг	Эпилепсия				1	1	В Перечне АЛО представлен (за счет местного бюджета)
18	Колистин (Колистиметат)	порошок для приготовления раствора для ингаляций 80 мг 1000000 ЕД	Муковисцидоз		1		1	1	1. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС 2. На рассмотрение для включения дополнительной лек формы в Перечень АЛО 3. При включении в Перечень АЛО, включится в Перечень ЕД
19	Лакосамид	Вимпат таблетка 50 мг	Эпилепсия				1	1	Не является орфанным препаратом (есть регистрация). Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка с ФЭИ
20	Месалазин	Пентаса 500мг Пентаса 1000 мг	Болезнь Крона А1L2 толстой кишки, тотальное поражение		1				не является орфанным препаратом
21	Метрелептин	Миалепта (Порошок для приготовления раствора для инъекций в комплекте с растворителем 3 мг №1)	Врожденная генерализованная липодистрофия Бирардинелли сейпа	1	1	1	1	1	1. нет КП 2. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС в КНФ и Орфанный Перечень 3. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка (нозологии в АЛО нет) с ФЭИ
22	Нусинерсен	Спинараза 2,4 мг/мл 5 мл	Спинальная мышечная атрофия, 1 тип				1	1	Будет вынесен на рассмотрение ФК МЗ РК в рамках поручения министра от 15.01.2021
23	Панкреатин	нет	Муковисцидоз		1				не является орфанным препаратом Есть регистрация
24	Перампанел	Файкомпа таблетка 6 мг	Эпилепсия			1	1	1	1. Для включения в КНФ не является орфанным ЛС (нет регистрации) 2. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка с ФЭИ
25	ПОЛИВИТАМ ИНЫ - нет данных	Аквадекс (Витамин К), желатиновая капсула	Муковисцидоз		1	1	1	1	Не является лекарственным средством
26	Понатиниб	45 мг	Хронический миелолейкоз		1	1	1	1	1. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС 2. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС в КНФ, рассмотрен ФК 03.07.2021 3. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка с ФЭИ
27	Преднизолон	нет	Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна, вызванная делецией 48-50 экзонов в гене дистрофин				1		Представлен в Перечне АЛО при нозологии "Мышечная дистрофия Дюшенна"
28	Преднизон	нет	Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна, вызванная делецией 48-50 экзонов в гене дистрофин				1		Для включения в Перечень АЛО требуется заявка

29	Стирипентол	500 мг	Синдром Драве		1	1	1	1	1. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС 2. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС в КНФ, рассмотрен ФК 03.07.2021 3. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка с ФЭИ
30	Сультиам	(Осполот) таблетка 200 мг	Эпилепсия			1	1	1	1. Для включения в КНФ не является орфанным ЛС (нет регистрации) 2. В Перечне АЛО представлен (за счет местного бюджета)
31	Тетракозактид	Синактен Дело	Эпилепсия			1	1	1	1. Для включения в КНФ не является орфанным ЛС (нет регистрации) 2. В Перечне АЛО представлен (за счет местного бюджета)
32	Тобрамицин	раствор для ингаляции 300 мг	1. Муковисцидоз 2. Врожденная бронхоэктазия	1			1	1	1. КП рассмотрится в 2021 году 2. В Перечне АЛО представлен при нозологии "Муковисцидоз"; Нозологии Q33.4 Врожденной бронхоэктазии нет в Перечне АЛО 3. В проекте Перечня ЕД представлен
33	Тоцилизумаб		1. КП - Болезни костно-мышечной системы 2. АЛО - Ювенильный идиопатический артрит, псориатический артрит, активность умеренной степени	1			1		1. В КП представлен рекомендуется 2. Для включения в Перечень АЛО требуется заявка с ФЭИ
34	Элтромбопаг 25 мг	нет	Идиопатическая тромбоцитопеническая пурпура. Ювенильный идиопатический артрит		1		1		1. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС 2. Для включения в Перечень АЛО требуется заявка с ФЭИ
35	Этеплирсен	Экзондис 51 для внутривенной инфузии 100 мг/2мл (50мг/мл), для внутривенной инфузии 500 мг/10мл (50мг/мл)	Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна, вызванная делецией 48-50 экзонов в гене дистрофин.	1			1	1	1. Представлен в КП 2. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД требуется заявка с ФЭИ
36	Этосуксимид	Суксилеп капсула 250 мг Пепнидан - 720 (Актобе)	Эпилепсия			1	1	1	1. Для включения в КНФ не является орфанным ЛС (нет регистрации) 2. В Перечне АЛО представлен (за счет местного бюджета)
37	ГИГИЕНИЧЕСКИЕ СРЕДСТВА	Защитный крем, очищающая пена, пена для ванны и т.д.	Буллезный эпидермолиз				1	1	Рассмотрение вопросов по включению Гигиенических средств не регламентированы НПА
38	МИ	Трахеостомическая трубка, пульсоксиметр, отсасыватель портативный и т.д.	Стеноз гортани хронический канюленоситель				1	1	Рассмотрение вопросов по включению МИ не регламентированы НПА

Результаты по КП

- По включению лекарственных средств в клинические протоколы РК было заявлено – **10 лекарственных средств**, из них:
 - 6 позиций ЛС представлены в КП РК:
 - Адалimumаб (Хумира)** 40 мг-0,4мл, п/к Болезни костно-мышечной системы M08.2 - в КПРК "Ювенильный идиопатический артрит (педиатрия)" (M08) (Одобрено ОКК МЗ РК от 03.05.2019 г Протокол №65) представлен Адалimumаб (мл), шприц разовый 0,4мл - 0,8мл флакон 0,2 мг-0,4 мл;
 - Тоцилизумаб** 200 мг и 80 мг в Болезни костно-мышечной системы - КПРК "Ювенильный идиопатический артрит (педиатрия)" (Одобрено ОКК МЗ РК от 03.05.2019 г Протокол №65) представлен; КПРК "Ревматоидный артрит" (Одобрено ОКК МЗСР РК от 29.09.2016 г Протокол №120) представлен концентрат 20 мг/мл, 80 мг/4 мл, 200 мг/10 мл приготовления раствора для внутривенного введения;
 - Амалдурен** КП РК "Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна Беккера" (Одобрено Объединенной комиссией по качеству медицинских услуг Министерства здравоохранения Республики Казахстан от «03» июня 2021 года Протокол №139) представлен;
 - Эмеллирсен**, для внутривенной инфузии 100 мг/2мл (50 мг/мл) КП РК "Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна Беккера" (одобрено ОКК МЗ РК от «03» июня 2021 года Протокол №139) представлен;
 - Голодирсен** КП РК "Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна Беккера" (одобрено ОКК МЗ РК от «03» июня 2021 года Протокол №139) представлен;
 - Ацетилицистеин для ингаляций** при стенозе гортани- КПРК "Стеноз гортани у детей" (Утверждено на Экспертной комиссии по вопросам развития здравоохранения МЗ РК протокол №6 от 05.05.2014 г) Категория МКВ: Стеноз гортани (J38.6) Разделы медицины: Оториноларингология детская, Педиатрия, Хирургия детская - на стационарном уровне аэтиллицистеин внутрь до 2-х лет по 0,05г, до 6 лет по 0,1г до 14 лет по 0,2г, старше 14 лет по 0,4-0,6г;
 - 3 позиции ЛС планируется пересмотр КП РК в 2021 году (КП исключен в перечень приоритетных тем КП на 2021 год:
 - Тобрамацин**, раствор для ингаляции 300 мг при Врожденной бронхоктазии- КП РК "Врожденные пороки развития легких у детей" (Утверждено на Экспертной комиссии по вопросам развития здравоохранения МЗ РК Протокол № 10 от «04» июля 2014 года);
 - Динутуксимаб** - КП РК "Нейробластома у детей" (Одобрено ОКК МЗСР РК от 13.07.2016 г Протокол №7);
 - Ацетилицистеин для ингаляций** при стенозе гортани- КПРК "Стеноз гортани";
 - Адалimumаб (Хумира)** 40 мг-0,4мл, п/к в **Идиопатическая тромбоцитопеническая пурпура не рекомендуется** – КП «Идиопатическая тромбоцитопения у детей» (пересмотр 2016); КП «Идиопатическая тромбоцитопения у беременных» (пересмотр 2014 г).
 - 1 позиция ЛС не планируется пересмотр (в перечень приоритетных тем КП на 2021 год КП не представлен):
 - Канакинумаб (Иларис)**, порошок для приготовления раствора для инъекций, 150 мг №1 флакон КПРК "Ювенильный идиопатический артрит (педиатрия)" (Одобрено ОКК МЗ РК от 03.05.2019 г Протокол №65);
 - 1 позиция ЛС - нет клинического протокола РК:
 - Метрелептин** - Врожденная генерализованная липодистрофия Бирардинелли-Сейла

* Согласно Приказу МЗ РК от 14.07.2020 от 12 ноября 2020 года «Об утверждении перечня патентов и исключительных прав на лекарственные средства»

Результаты по орфанному статусу

- По включению лекарственных средств в Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств (орфанных) для их лечения было заявлено – **16 лекарственных средств**, из них:
 - 6 позиций ЛС не являются орфанными лекарственными средствами
 - Урсодезоксихолевая кислота;
 - Месалазин (ТН Пентаса 1000 мг; 500 мг);
 - Панкреатин;
 - Голimumаб, раствор для подкожного введения 50 мг/0,5 мл шприцы одноразовые;
 - Кетоаналоги аминокислот (ТН Кетостерил);
 - Аквадекс, желатиновая капсула
 - 1 позиция ЛС представлен как **орфанное ЛС в РК** (Канакинумаб);
 - 9 позиций ЛС вынесено на рассмотрение ФК МЗ РК, из них принято решение **исключить 6 позиций ЛС** (Элтромбопаг; Дефлазакорт; Колициметат; Понатиниб; Голодирсен; Спиринентол), по 3 позициям ЛС **рекомендовано рассмотреть** возможность включения заболевания в Перечень орфанных заболеваний (Метрелептин (ТН Миалепта), порошок для приготовления раствора для инъекций в комплекте с растворителем 3 мг №1; Динутуксимаб; Алектиниб (ТН Алеценза), капсула 150 мг).

13

№	МНН	Торговые наименования	Ноология	Решение ФК МЗ РК
В Перечень орфанных лекарственных средств согласно приказу Министра здравоохранения Республики Казахстан от 20 октября 2020 года № КР ДСМ - 142/2020				
1	Алектиниб	Алеценза, капсула 150 мг	Онкологические заболевания	рекомендовано рассмотреть возможность включения заболевания в Перечень орфанных заболеваний
2	Голодирсен		Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна, вызванная делецией 48-50 экзонов в гене дистрофин.	Решено включить в Перечень
3	Дефлазакорт	таблетка 6 мг, 30 мг	Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна, вызванная	Решено включить в Перечень

			делецией 48-50 экзонов в гене дистрофин.	
4	Динутуксимаб	нет	Нейробластома	рекомендовано рассмотреть возможность включения заболевания в Перечень орфанных заболеваний
5	Колистин (Колистиметат)	порошок для приготовления раствора для ингаляций 80 мг 1000000 ЕД	Муковисцидоз	Решено включить в Перечень
6	Метрелептин	Миалепта (Порошок для приготовления раствора для инъекций в комплекте с растворителем 3 мг №1)	Врожденная генерализованная липодистрофия Бирардинелли - Сейпа	рекомендовано рассмотреть возможность включения заболевания в Перечень орфанных заболеваний
7	Понатиниб	45 мг	Хронический миелолейкоз	Решено включить в Перечень
8	Стирипентол	500 мг	Синдром Драве	Решено включить в Перечень
9	Элтромбопаг 25 мг	нет	Идиопатическая тромбоцитопеническая пурпура. Ювенильный идиопатический артрит	Решено включить в Перечень

Результаты в КНФ

- По включению лекарственных средств в **Казахстанский национальный лекарственный формуляр** было заявлено – **14 лекарственных средств**, из них:
 - **5 позиций ЛС** не зарегистрированы на территории РК - не являются орфанными лекарственными средствами: Вигабатрин; Перампанел; Сультамид; Тетракозактид; Этосуксимид);
 - **2 позиции ЛС** зарегистрированы на территории РК, не являются орфанными ЛС – требуется заявка согласно Правилам формирования КНФ (Зонисамид, Кетоаналоги аминокислот);
 - **1 позиция ЛС** не является лекарственным средством - Аквадекс (Витамин К), желатиновая капсула;
 - **6 позиций ЛС** вынесены на рассмотрение ФК МЗ РК для включения в КНФ под «орфанным» статусом. Решено **включить 4 позиции ЛС в КНФ** под статусом «орфанного» ЛС (Голодирсен, Дефлазакорт, Понатиниб, Стирипентол), по **2 позициям ЛС** рекомендовано рассмотреть возможность включения заболевания в Перечень орфанных заболеваний (Динутуксимаб, Метрелептин).

17

№	МНН	Торговые наименования	Нозология	Решение ФК МЗ РК
В Казахстанский национальный лекарственный формуляр				
1	Голодирсен		Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна, вызванная делецией 48-50 экзонов в гене дистрофин.	Решено включить в КНФ под статусом «орфанного» ЛС

2	Дефлазакорт	таблетка 6 мг, 30 мг	Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна, вызванная делецией 48-50 экзонов в гене дистрофин.	Решено включить в КНФ под статусом «орфанного» ЛС
3	Динутуксимаб	инъекция	Нейробластома	рекомендовано рассмотреть возможность включения заболевания в Перечень орфанных заболеваний
4	Метрелептин	Миалепта (Порошок для приготовления раствора для инъекций в комплекте с растворителем 3 мг №1)	Врожденная генерализованная липодистрофия Бирардинелли сейпа	рекомендовано рассмотреть возможность включения заболевания в Перечень орфанных заболеваний
5	Понатиниб	45 мг	Хронический миелолейкоз	Решено включить в КНФ под статусом «орфанного» ЛС
6	Стирипентол	500 мг	Синдром Драве	Решено включить в КНФ под статусом «орфанного» ЛС

Результаты

- По включению лекарственных средств в Перечень лекарственных средств и медицинских изделий для бесплатного и (или) льготного амбулаторного обеспечения отдельных категорий граждан Республики Казахстан с определенными заболеваниями (состояниями) (Перечень АЛО) было заявлено – 35 позиций лекарственных средств и медицинских изделий.
- По включению лекарственных средств в Перечень закупа лекарственных средств и медицинских изделий было заявлено – 26 позиций лекарственных средств и медицинских изделий.
- В настоящее время Правила формирования Перечня АЛО не регламентированы нормативными правовыми актами. Проект Приказа Правил формирования Перечня АЛО разработан и вывешен на сайте открытых НПА (для обсуждения). Все позиций будут рассмотрены ФК МЗ РК после утверждения Правил.
- Согласно правил Формирования Перечня закупа ЛС и МИ, ЛС средства включаются в Перечень закупа в случае решения ФК включить ЛС в Перечень АЛО при наличии утвержденной предельной цены.

19

ПЕРЕЧЕНЬ АЛО БЫЛО ЗАЯВЛЕНО – 35 ПОЗИЦИЙ ЛС; МИ И ГИГИЕН СРЕДСТВ

№	МНН	Торговые наименования	Нозология	КП РК	Перечень орфанных ЛС	Перечень КНФ	Перечень АЛО	Перечень закупа ЕД	Примечание
1	Урсодезоксихолевая кислота	Урсофальк	Муковисцидоз		1		1		1. не является орфанным препаратом 2. Для включения в Перечень АЛО требуется заявка с ФЭИ

2	Адалимуаб	(Хумира)40 мг-0.4мл, п/к	1.Ювенильн й идиопатическ ий артрит; 2.псориатичес кий артрит, активность умеренной степени; 3.Идиопатиче ская тромбоцитопе ническая пурпура.	1			1		1. в КП "Ювенильный идиопатический артрит" "Псориатический артрит" представлен; Пересмотр КП "Идиопатическая тромбоцитопеническая пурпура" будет в 2021 году, препарат не рекомендуется. 2.Представлен как орфанный в РК п.73 L04AB04 Адалимуаб; Представлен в Перечне АЛО при нозологиях "Анкилозирующий спондилит", "Псориаз", "Болезнь Крона" требуется заявка в перечень АЛО с ФЭИ
3	Ацетилцистеин	Флуимицил для ингаляций	Стеноз гортани хронический канюленоситель	1			1	1	1. В КП представлен на стац.уровне 2.Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД требуется заявка с ФЭИ Представлен как орфанный препарат в РК п.89 R05CB01 Ацетилцистеин
4	Голимуаб	раствор для подкожного введения 50 мг/0,5 мл шприцы одноразовые	1.ЮИА 2.Псориатиче ский артрит, активность умеренной степени		1		1		1. не является орфанным препаратом 2. Есть заявка за 2020 год для включения в нозологию "Ювенильный идиопатический артрит" По нозологии "Псориатический артрит" требуется заявка с ФЭИ
5	Диметилфумарат	Текфидера	Рассеянный склероз				1	1	1. Решение ФК МЗ РК о включении в Перечень АЛО 2.Представлен в проекте Перечня ЕД (согласно решению ФК) Представлен как орфанный препарат в РК п.87 N07XX09 Диметилфумарат
6	Изотретиноин	Роаккутан	Злокачественное новообразование надпочечника				1		1.Представлен как орфанный препарат в РК(без указания нозологии) 2.Для включения в Перечень АЛО требуется заявка Есть регистрация
7	Инфликсимаб	лиофилизированный порошок для внутривенного введения 100 мг	ЮИА, псориатическ ий артрит, активность умеренной степени				1		Для включения в Перечень АЛО требуется заявка с ФЭИ Представлен как орфанный ЛС в РК
8	Нусинерсен	Спинараза 2,4 мг/мл 5 мл	Спинальная мышечная атрофия, 1 тип				1	1	Представлен как орфанный ЛС в РК п.84
9	Преднизолон	нет	Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна, вызванная делецией 48-				1		Представлен в Перечне АЛО при нозологии "Мышечная дистрофия Дюшенна" Представлен как орфанный ЛС в РК 21 N02AB06 Преднизолон

			50 экзонов в гене дистрофин						
10	Преднизон	нет	Прогрессирующая МД Дюшенна				1		Для включения в Перечень АЛО требуется заявка Нет регистрации
11	Тобрамицин	раствор для ингаляции 300 мг	1.Муковисцидоз 2.Врожденная бронхоэктазия	1			1	1	1.КП рассмотрится в 2021 году 2. В Перечне АЛО представлен при нозологии "Муковисцидоз"; Нозологии Q33.4 Врожденной бронхоэктазии нет в Перечне АЛО 3. В проекте Перечня ЕД представлен 4. Представлен как орфанный препарат в РК п. 22 J01GB01 Тобрамицин
12	Тоцилизумаб		1.КП - Болезни костно-мышечной системы 2. АЛО - ЮИА, псориатический артрит, активность умеренной степени	1			1		1. В КП представлен рекомендуется 2.Для включения в Перечень АЛО требуется заявка с ФЭИ 4. Представлен как орфанный препарат в РК 75 L04AC07 Тоцилизумаб
13	ГИГИЕНИЧЕСКИЕ СРЕДСТВА	Защитный крем, очищающая пена, пена для ванны и т.д.	Буллезный эпидермолиз				1	1	Рассмотрение вопросов по включению Гигиенических средств не регламентированы НПА
14	МИ	Трахеостомическая трубка, пульсоксиметр, отсасыватель портативный и т.д.	Стеноз гортани хронический канюленоситель				1	1	Рассмотрение вопросов по включению МИ не регламентированы НПА
15	Алектиниб	Алеценза, капсула 150 мг	Онкологические заболевания		1		1	1	1. 03.07.2021 на ФК МЗ РК рассмотрен: рекомендовано рассмотреть возможность включения заболевания в Перечень орфанных заболеваний 2. Решение ФК МЗ РК по включению в Перечень АЛО 3. В Перечень ЕД после включения в Перечень АЛО
16	Вигабатрин	Сабрил, таблетка 500 мг	Эпилепсия			1	1	1	1.Для включения в КНФ не является орфанным ЛС (нет регистрации) 2. В Перечне АЛО представлен (за счет местного бюджета)
17	Голодирсен		Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна, вызванная	1	1	1	1	1	1. В КП представлен 2.03.07.2021 г. заседание ФК: - решено включить в Орфанный перечень ЛС; - решено включить в КНФ под статусом «орфанного»

			делецией 48-50 экзонов в гене дистрофин.						ЛС; 3. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС в КНФ 4. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка
18	Дефлазакорг	таблетка 6 мг, 30 мг	Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна, вызванная делецией 48-50 экзонов в гене дистрофин.		1	1	1	1	1.2.03.07.2021 г. заседание ФК: - решено включить в Орфанный перечень ЛС; - решено включить в КНФ под статусом «орфанного» ЛС; 2. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС в КНФ 3. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка
19	Динутуксимаб	нет	Нейробластома	1	1	1	1	1	1. КП будет рассматриваться в 2021 году 2. 03.07.2021 г рассмотрен ФК МЗ РК: - рекомендовано рассмотреть возможность включения заболевания в Перечень орфанных заболеваний; - рекомендовано рассмотреть возможность включения заболевания в Перечень орфанных заболеваний; 2. На рассмотрение ФК как орфанное ЛС в КНФ 3. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка с ФЭИ
20	Зонисамид	Зонегран капсула 100 мг Актобе - 25 мг	Эпилепсия			1	1	1	1. Для включения в КНФ требуется заявка, зарегистрирован в РК; 2. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД требуется заявка с ФЭИ
21	Канакинумаб	Иларис (Канакинумаб), порошок для приготовления раствора для инъекций, 150 мг №1 флакон	Ювенильный идиопатический артрит, псориатический артрит, активность умеренной степени.	1	1		1	1	1. Не планируется пересмотр КП 2. Представлен как орфанный в РК п. 76 L04AC08 Канакинумаб 3. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка с ФЭИ
22	Кетоаналоги аминокислот				1	1	1	1	1. Не является орфанным препаратом 2. Для включения в КНФ требуется заявка 3. Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка с ФЭИ
23	Клобазам	Фризиум 30 мг	Эпилепсия				1	1	В Перечне АЛО представлен (за счет местного бюджета)
24	Колистин (Колистиметат)	порошок для приготовления раствора для ингаляций 80 мг	Муковисцидоз		1		1	1	1.03.07.2021 г. рассмотрен ФК МЗ РК: Решено включить в Перечень - порошок для приготовления раствора для ингаляций 80 мг 1000000 ЕД; В КНФ уже представлен со статусом "орфанный"

		1000000 ЕД							2. На рассмотрение для включения дополнительной лек формы в Перечень АЛО 3. При включении в Перечень АЛО, включится в Перечень ЕД
25	Лакосамид	Вимпат таблетка 50 мг	Эпилепсия				1	1	Срок регистрации истек 26.05.2017 Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка с ФЭИ
26	Метрелептин	Миалепта (Порошок для приготовления раствора для инъекций в комплекте с растворителем 3 мг №1)	Врожденная генерализованная липодистрофия Бирардинелл и сейпа	1	1	1	1	1	1.нет КП 2.03.07.2021 рассмотрен ФК: - рекомендовано рассмотреть возможность включения заболевания в Перечень орфанных заболеваний; - рекомендовано рассмотреть возможность включения заболевания в Перечень орфанных заболеваний; 3.Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка (нозологии в АЛО нет) с ФЭИ
27	Перампанел	Файкомпа таблетка 6 мг	Эпилепсия			1	1	1	Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка с ФЭИ
28	ПОЛИВИТАМИНЫ - нет данных	Аквадекс (Витамин К), желатиновая капсула	Муковисцидоз		1	1	1	1	Не является лекарственным средством
29	Понатиниб	45 мг	Хронический миелолейкоз		1	1	1	1	1.03.07.2021 рассмотрен ФК: - Решено включить в Перечень; - Решено включить в КНФ под статусом «орфанного» ЛС. 2.На рассмотрение ФК как орфанное ЛС в КНФ 3.Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка с ФЭИ
30	Стирипентол	500 мг	Синдром Драве		1	1	1	1	1.03.07.2021 рассмотрен ФК: - Решено включить в Перечень; - Решено включить в КНФ под статусом «орфанного» ЛС. 3.Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД необходима заявка с ФЭИ
31	Сультнам	(Осполот) таблетка 200 мг	Эпилепсия			1	1	1	1.Для включения в КНФ не является орфанным ЛС (нет регистрации) 2. В Перечне АЛО представлен (за счет местного бюджета)
32	Тетракозактид	Синактен Депо	Эпилепсия			1	1	1	1.Для включения в КНФ не является орфанным ЛС (нет регистрации) 2. В Перечне АЛО представлен (за счет местного бюджета)

33	Элтромбопаг 25 мг	нет	Идиопатическая тромбоцитопеническая пурпура. Ювенильный идиопатический артрит		1		1		1.03.07.2021 рассмотрен ФК: - Решено включить в Перечень Орфанных ЛС; 2. Для включения в Перечень АЛО требуется заявка с ФЭИ
34	Этеплирсен	Экзондис 51 для внутривенной инфузии 100 мг/2мл (50мг/мл), для внутривенной инфузии 500 мг/10мл (50мг/мл)	Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна, вызванная делецией 48-50 экзонов в гене дистрофин.	1			1	1	1. Представлен в КП 2. Представлен как орфанн ЛС в РК п. 86 М09АХ06 Этеплирсен Для включения в Перечень АЛО и Перечень ЕД требуется заявка с ФЭИ
35	Этосуксимид	Суксилеп капсула 250 мг Пепнидан - 720 (Актобе)	Эпилепсия			1	1	1	1. Для включения в КНФ не является орфанным ЛС (нет регистрации) 2. В Перечне АЛО представлен (за счет местного бюджета)

ПЕРЕЧЕНЬ АЛО БЫЛО ЗАЯВЛЕНО – 35 ПОЗИЦИЙ ЛС; МИ И ГИГИЕН СРЕДСТВ

Итого:

- **11 позиций ЛС** представлены в Орфанном Перечне ЛС: Адалimumаб; Ацетилцистеин; Диметилфумарат; Изотретиноин; Инфликсимаб; Нусинерсен; Преднизолон; Тобрамицин; Тоцилизумаб; Канакинумаб; Этеплирсен;
- **9 позиций ЛС рассмотрены** на ФК МЗ РК 03.07.2021 г: Алектиниб; Голодирсен; Дефлазакорт; Динутуксимаб; Колистин (Колистиметат); Метрелептин; Понатиниб; Стирипентол; Элтромбопаг 25 мг;
- **8 позиций ЛС ПЭП(при эпилепсии)- отдельно рассматриваются:** Вигабатрин; Зонисамид; Клобазам; Лакосамид; Перампанел; Сультиам; Тетракозактид; Этосуксимид;
- **5 позиций ЛС, МИ и ГС: ГИГИЕНИЧЕСКИЕ СРЕДСТВА;** Урсодезоксихолевая кислота; МИ; Кетоаналоги аминокислот; поливитамины (не ЛС)- **не орфанные;**
- **1 позиция ЛС** (Голimumаб) заявка есть в ЮИА в Перечень АЛО;
- **1 позиция ЛС** – Преднизон (нет регистрации).

Н02АВ07 Преднизон/ Prednisone

Регистрация в РК - нет;

ЕНФ (2021) и ЕНФ для детей (2021) – не представлено;

Орфа.нет – не указан орфанный статус;

EMA – не представлено;

FDA – не является орфанным препаратом в США; зарегистрированы PREDNISONE таблетки 5 мг, 10 мг, 20 мг;

ВОС – не представлено;

МКР - ЕМГ Быва Рабков «Мышечная дистрофия» (от 23.03.2021) не представлено. *Медико-лечение мышечной дистрофии Muscular Dystrophy Treatment & Management Update: Aug 17, 2020 Author: Gene T. Do, MD; Chief Editor: Jeffrey D Thomson, MD*

Некоторые агенты показали себя многообещающими в лечении мышечной дистрофии Дюшенна (МД). Основой терапии были стероиды, однако отсутствие пролонгированной эффективности и сопутствующие побочные эффекты более высоких доз стероидов ограничивают их использование. Дефлазалорт, селективное промоторное преднизолоид, может обладать терапевтической эффективностью с меньшим количеством побочных эффектов. Глюкокортикоидными препаратами поддерживают значительно более высокие уровни МД интерстициальной мышечной массы.

Преднизон (Deltasone, Prednisone Intenze, Duven) проявляет положительные эффекты при лечении МД Дюшенна в дозах от 0,75 мг / кг / день до 1,5 мг / кг / день. Считается, что терапевтические эффекты определяются поданными курсами гидрокортизона. Терапия в гидрокортизон выгоды. Ответ на терапию может длиться не более нескольких месяцев, а побочные эффекты (например, быстрое увеличение веса, остеопороз, гипоплазия и задержка роста) ограничивают его использование. *National Institutes of Health (NIH)* – Глюкокортикоиды, такие как преднизон или дефлазалорт, которые были одобрены Управлением по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) для лечения МДД в 2017 году. Исследования показывают, что системное лечение преднизолоном может увеличить силу мышц и дыхательную функцию и замедлить прогрессирование слабости у МД. <https://www.nichd.nih.gov/health/topics/muscular-dystrophy/condition/f/treatment>

The Cochrane Library – 1 CO; 75 КИ. CO (Corticosteroids for the treatment of Duchenne muscular dystrophy. Ezzat, Mathews, Ruth Bazzington, Thierry Kuntze, Fatima Lichi, Adnan Y Malik. Intervention Review 5 May 2016

https://www.cochrane.org/rev/5/5/cochrane-10.1002/14651858.cd009726_wb4_6.WhighlightsAbstract=mainview%7Ccd009726%7Ccd009726%7Cprednisone%7Cdeflazacort 12 КИ (667 участников) и 2 новые тестовые КИ для включения. В это обобщение были включены 6 РКК, а также опубликованные данные исследования и опубликованные результаты исследования. Некоторые важные исследования остаются неиспользованными, и не все опубликованные исследования предоставляют полные данные об исходах. Первичная оценка исхода в одном результате РКК дефлазалорта (n = 28) в качестве оценки исхода использовалась увеличение продолжительности передвижения, но данных было недостаточно для того, чтобы сделать вывод. Вторичные критерии оценки результатов: мета-анализ показал, что короткий курс стероидов (0,75 мг / кг / день преднизон или преднизолол) улучшал мышечную силу и функцию по сравнению с плацебо в течение шести месяцев (экономическая оценка качества по результатам четырех РКК).

PubMed по ключевому слову поиска «Prednisone» с ограничением по типу публикации: систематический обзор, мета-анализ и РКК за последние 10 лет 8 публикаций.

КП РК «Прогрессирующая мышечная дистрофия Дюшенна/Беккера» (от 03.06.2021 г Протокол №139) НЕ ПРЕДСТАВЛЕН.

Глюкокортикоидная терапия: препараты - преднизолон, дефлазалорт. Это метод симптоматического лечения, позволяющий замедлить утрату мышечной силы и функций, уменьшить риск развития ортопедических осложнений, стабилизирующий функциональные состояние легких и сердца.

27

Н02АВ07 Преднизон/ Prednisone таблетка

1	Общее описание ЛП	Глюкокортикоиды для системного применения, в чистом виде глюкокортикоиды
2	ГР РК причина отсутствия регистрации/ орфанный	нет
3	Орфанное заболевание в РК	Мышечная дистрофия Дюшенна (МДД)
4	Орфанный статус из рубрики	Не является орфанным
5	Обзор КИ	The Cochrane Library – 1 CO; 75 КИ. CO (Corticosteroids for the treatment of Duchenne muscular dystrophy. Ezzat, Mathews et al (2016) PubMed по ключевому слову поиска «deflazacort» с ограничением по типу публикации: систематический обзор, мета-анализ и РКК за последние 10 лет найдены 3 публикации, указаны 3
6	Регистрируемые аналоги в РК	1-я линия: Преднизолол, Дефлазалорт Морфолино-литическое лечение; Этепирсен (с подтвержденной мутацией гена DMD, которая поддается пропуску экзона 51 для лечения мальчиков старше 5 лет); Аталурен (с подтвержденной «оносенс-мутацией в гене DMD у амбулаторных пациентов в возрасте 2 лет и старше)
	Орфанный перечень ЛС	п. 21 Н02АВ06 Преднизолол
	Перечень АЛО	39. G71.0 Мышечная дистрофия Дюшенна Все категории, состоящие на диспансерном учете Все стадии Аталурен, гранулы для пероральной суспензии M09AX03

Джусипов Б.А.: После обсуждения вопроса членами Формулярной комиссии предлагается ставить на голосование вопрос:

- «**Включение лекарственного средства «Преднизон» в Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения»:**

Прошу голосовать. Кто ЗА? Против? Воздержался?

Членами Формулярной комиссии принято **РЕШЕНИЕ:**

НЕ ВКЛЮЧАТЬ лекарственное средство «Преднизон» в Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения» (Решение ПРИНЯТО большинством голосов, ВОЗДЕРЖАЛИСЬ Джусипов Б.А., Касымбекова С.Ж., Мирзахметова Д.Д.).

ЛС при эпилепсии

Протокольное поручение 08.06.2021		
	Код АТХ	МНН
1	H01AA	Адренкортикоидный гормон (АКТГ)
2	H01AA02	Тетракозактид
3	L01XE10 L04AA18	Эверолимус (есть регистрация)
4	N03AD01	Этосуксимид
5	N03AG04	Вигабатрин
6	N03AX03	Сультнам
7	N03AX15	Зонисамид (есть регистрация)
8	N03AX18	Лакосамид (срок регистрации истек в 2017 г)
9	N05BA09	Клобазам
10	N05CD08	Мидазолам
11	N03AX22	Перампанел
12	N03AX17	Стирипентол

Протокольное поручение от 15.01.2021		
	Код АТХ	МНН
1	N03AG06	Тиагабин, таблетка
2	N03AF03	Руфинамид таблетка;
3	N03AF03	Фенитоин, таблетка
4	N03AX16	Прегабалин (есть регистрация в РК)

28

Джусипов Б.А.: После обсуждения вопроса членами Формулярной комиссии предлагается ставить на голосование вопросы:

- «Рекомендовать включение противоэпилептических препаратов (за исключением зарегистрированных препаратов: Эверолимус, Зонисамид, Прегабалин) в Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения, в случае включения редких форм Эпилепсии в Перечень орфанных заболеваний решением ОКК МЗ РК»:

Прошу голосовать. Кто ЗА? Против? Воздержался?

Членами Формулярной комиссии принято **РЕШЕНИЕ:**

«Рекомендовать включение противоэпилептических препаратов (за исключением зарегистрированных препаратов: Эверолимус, Зонисамид, Прегабалин) в Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения, в случае включения редких форм Эпилепсии в Перечень орфанных заболеваний решением ОКК МЗ РК» (Решение принято **ЕДИНОГЛАСНО**).

- «Рекомендовать включение лекарственного средства Клобазам в Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения при нозологии Синдром Драве»:

Прошу голосовать. Кто ЗА? Против? Воздержался?

Членами Формулярной комиссии принято **РЕШЕНИЕ:**

«Рекомендовать включение лекарственного средства Клобазам в Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения при нозологии Синдром Драве» (Решение принято ЕДИНОГЛАСНО).

Об утверждении перечня орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения (орфанных)
Приказ Министерства здравоохранения Республики Казахстан от 20 октября 2020 года № КР ДСМ - 142/2020.
Зарегистрирован в Министерстве юстиции Республики Казахстан 22 октября 2020 года № 21479

62 нозологии	92 позиции лекарственных средств (73 МНН из старого приказа+ 19 новые ЛС)
---------------------	--

~~Об утверждении Перечня орфанных (редких) заболеваний
Утративший силу
Приказ Министерства здравоохранения и социального развития Республики Казахстан от 22 мая 2015 года № 370. Зарегистрирован в Министерстве юстиции Республики Казахстан 30 июня 2015 года № 11511. Утратил силу приказом Министерства здравоохранения Республики Казахстан от 20 октября 2020 года № КР ДСМ - 142/2020 (вводится в действие до истечения десяти календарных дней после дня его первого официального опубликования)~~

~~Об утверждении перечня орфанных препаратов
Утративший силу
Приказ Министерства здравоохранения и социального развития Республики Казахстан от 29 мая 2015 года № 432. Зарегистрирован в Министерстве юстиции Республики Казахстан 30 июня 2015 года № 11494. Утратил силу приказом Министерства здравоохранения Республики Казахстан от 20 октября 2020 года № КР ДСМ - 142/2020 (вводится в действие по истечении десяти календарных дней после дня его первого официального опубликования)~~

59 нозологии	197 позиции лекарственных средств, 149 МНН без дубликатов
--------------------------------	---

29

На рассмотрение разница между приказами

43 МНН	11 – орфанный статус в МКР	36 МНН	2 - орфанный статус в МКР
	17- на рассмотрение		11 – на рассмотрение
	13- не рекомендуется		19- не рекомендуется
	2 – понатиниб, стирепентол		4- ромиплостим (представлен в КНФ с орфанным статусом), элтромбопаг, колистин, натализумаб

79 МНН

По 43 МНН

АТХ код	Фармакологическая группа/ МНН	АТС/DD ВОЗ код АТХ	АТС/DDD ВОЗ МНН /состав	Орфанный от 20.10.2020 г № КР ДСМ - 142/2020	КНФ от 18.05.2021 г № КР ДСМ - 41	ОРФАННЫЕ ЛС Приказ № 432 (от 29.05.2015 г № 432) УТРАТИЛ СИЛУ	Примечание
A16AB01	Аглглюцепаза	A16AB01	alglucerase	нет	нет	п.28 Аглглюцепаза Другие сфинголипидозы	Не рекомендуется

A16AB 11	Талиглуцераза альфа	A16AB 11	taliglucerase alfa	нет	нет	п.28 Талиглуцераза альфа Другие сфинголипидозы	на рассмотрение
A16AX 05	Цинка ацетат	A16AX 05	zinc acetate	нет данного МНН Необходимо отметить, что нозология представлена п.42 Нарушения обмена меди Болезнь Менкеса, болезнь Вильсона (болезнь Вильсона-Коновалова, гепатолентикулярная дегенерация) Болезни эндокринной системы, расстройства питания и нарушения обмена веществ E 83.0	нет	п. 31 Цинка ацетат при Нарушения обмена меди Болезнь Менкеса, Болезнь Вильсона (болезнь Вильсона-Коновалова, гепатолентикулярная дегенерация) E 83.0	орфанный при болезни Вильсона Необходимо отметить, что нозология представлена п.42 Нарушения обмена меди болезнь Вильсона (болезнь Вильсона-Коновалова) E 83.0
A16AX 06	Миглюстат	A16AX 06	miglustat	нет данного МНН Необходимо отметить, что нозология представлена п. 39 Другие сфинголипидозы Болезнь Фабри(-Андерсон), болезнь Гаучера (болезнь Гоше), болезнь Краббе, болезнь Ниманна-Пика (тип А, В, С), синдром Фабера, метахроматическая лейкодистрофия, недостаточность сульфатазы (множественная сульфатазная недостаточность) Болезни эндокринной системы, расстройства питания и нарушения обмена веществ E 75.2	нет	п.28 Миглюстат Другие сфинголипидозы	орфанное лекарство в США и Европе для лечения пациентов с болезнью Ниманна-Пика типа С и болезни Гоше 1 типа Необходимо отметить, что нозология представлена п. 39 Другие сфинголипидозы E 75.2

A16AX 10	Элиглустат	A16AX 10	eliglustat	нет данного МНН. Необходимо отметить, что нозология представлена п. 39 Другие сфинголипидозы. Болезнь Фабри(-Андерсон), болезнь Гаучера (болезнь Гоше), болезнь Краббе, болезнь Нимана-Пика (тип А, В, С), синдром Фабера, метахроматическая лейкодистрофия, недостаточность сульфатазы (множественная сульфатазная недостаточность) Болезни и эндокринной системы, расстройства питания и нарушения обмена веществ E 75.2	нет	п.28 Элиглустат Другие сфинголипидозы	Элиглустат- это орфанное лекарство в США и Европе для лечения пациентов с болезнью Гоше I типа. Необходимо отметить, что нозология представлена п. 39 Другие сфинголипидозы E 75.2
A16AX 12	Триентин дигидрохлорид	A16AX 12	trientine	нет данного МНН. Необходимо отметить, что нозология представлена п.42 Нарушения обмена меди Болезнь Менкеса, болезнь Вильсона (болезнь Вильсона-Коновалова, гепатолентикулярная дегенерация) Болезни эндокринной системы, расстройства питания и нарушения обмена веществ E 83.0	нет	п.31 Триентин дигидрохлорид Нарушения обмена меди Болезнь Менкеса, Болезнь Вильсона (болезнь Вильсона-Коновалова, гепатолентикулярная дегенерация) E 83.0	орфанный в США, Европе и Японии. Орфанный при Болезни Вилсона. Необходимо отметить, что нозология представлена п.42 Нарушения обмена меди болезнь Вильсона (болезнь Вильсона-Коновалова) E 83.0
A16AX 17	Трихептанонин	A16AX 17	trihexanoin	нет	нет	п.38. Трихептанонин Синдром дефицита Glut 1 у детей Синдром дефицита транспорта глюкозы Glut I G 93.4	на рассмотрение

B02AB 02	Альфа1 антитрип син	B02AB 02	alfa1 antitry psin	нет данного МНН Перечне орфанных заболеваний представлен п.45Нарушения обмена белков плазмыДефицит- 1- антитрипсина, бис - альбуминемияБолезни эндокринной системы, расстройства питания и нарушения обмена веществЕ 88.0	нет	п.34 Очищенны й человеческ ий альфа- 1- антитрипс ин Нарушени я обмена белков плазмыДе фицит б-1- антитрипс ина,бис - альбумине мияЕ 88.0	на рассмотрениев Перечне орфанных заболеваний представлен п.45Нарушения обмена белков плазмыДефицит- 1- антитрипсина, бис - альбуминемияБо лезни эндокринной системы, расстройства питания и нарушения обмена веществЕ 88.0
B06AB 01	Гемин	B06AB 01	hemin	нет данного МНН Перечне орфанных заболеваний представлен п.41ПорфирииНаследств енная копропорфирия, порфирия острая перемежающаяся (печеночная)Болезни эндокринной системы, расстройства питания и нарушения обмена веществЕ 80.2	нет	п.30 Гемин - Порфирии Наследств енная копропорф ирия,порф ирия острая перемежа ющаяся (печеночна я)Е 80.2	на рассмотрениеFDA - орфанный статус Hemin Ослабление повторяющихся приступов острой перемежающейс я порфирии (AIP), временно связанных с менструальным циклом у восприимчивых женщин, и аналогичных симптомов, возникающих у других пациентов с AIP, variegata порфией и наследственной копропорфирией . 16.03.1984 Назначен / утвержден в Перечне орфанных заболеваний представлен п.41ПорфирииНа следственная копропорфирия, порфирия острая перемежающаяся (печеночная)Бол езни эндокринной системы, расстройства питания и нарушения обмена веществЕ 80.2

D02BB02	Афамела нотид	D02BB02	afamelanotide	нет	нет	п.42 Афамеланотид Буллезные нарушения Пузырчатка Болезнь Дюринга L 10 L 13.0	на рассмотрение
D10AX05	Диафенилсульфон	D10AX05	D10AX05 dapsone	нет МННВ Перечне орфанных заболеваний в п.55 Буллезные нарушения Пузырчатка, болезнь ДюрингаБолезни кожи и подкожной клетчаткиL 10L 13.0	нет	п.42 Диафенилсульфон Буллезные нарушения ПузырчаткаБолезнь ДюрингаL 10L 13.1	на рассмотрениеВ Перечне орфанных заболеваний в п.55 Буллезные нарушения Пузырчатка, болезнь ДюрингаБолезни кожи и подкожной клетчаткиL 10L 13.0
J04BA01	Клофазимин	J04BA01	clofazimine	нет	нет	п.42 Клофазимин - Буллезные нарушения ПузырчаткаБолезнь Дюринга L 10 L 13.0	на рассмотрение
J04BA02	Диафенилсульфон	J04BA02	J04BA02 dapsone	нет МННВ Перечне орфанных заболеваний в п.55 Буллезные нарушения Пузырчатка, болезнь ДюрингаБолезни кожи и подкожной клетчаткиL 10L 13.0	нет	п.42 Диафенилсульфон Буллезные нарушения ПузырчаткаБолезнь ДюрингаL 10L 13.1	на рассмотрениеВ Перечне орфанных заболеваний в п.55 Буллезные нарушения Пузырчатка, болезнь ДюрингаБолезни кожи и подкожной клетчаткиL 10L 13.0
J06BV19	Глобулин противосибирезвенный	J06BV19	anthrax immunoglobulin	нет	нет	п.1 Глобулин противосибирезвенный Сибирская язва Сибирская язва А 22	Не рекомендуется
J07AC01	Вакцина противсибирезвенная	J07AC01	anthrax antigen	нет МННВ Перечне орфанных заболеваний в п.2Сибирская язваСибирская язва вызванная Bacillus anthracisИнфекционные болезни (бактериальные зоонозы)А 22	нет	п.1 Вакцина противсибирезвенная Сибирская язваСибирская язваА 22	Не рекомендуется

L01DB02	Даунорубин	L01DB02	daunorubicin	нет МННВ Перечне орфанных заболеваний - п.20 Миелоидный лейкоз (миелолейкоз) Острый миелоидный лейкоз Острый промиелоцитарный лейкоз Острый миеломоноцитарный лейкоз Новообразования С 92.0С 92.4С 92.5	4451 L01DB02 Даунорубин лиофилизат для приготовления раствора для в/в введения 20 мг	п.15 Даунорубин Миелоидный лейкоз (миелолейкоз) Острый миелоидный лейкоз Острый промиелоцитарный лейкоз Острый миеломоноцитарный лейкоз у взрослых С 92.0С 92.4С 92.5	на рассмотрение
L01XE14	Бозутиниб	L01EA04	bosutinib	нет	нет	п.13 Бозутиниб Множественная миелома и злокачественные плазмоклеточные новообразования у взрослых Множественная миелома С 90.0	на рассмотрение
L01XE24	Понатиниб	L01EA05	ponatinib	03.07.2021 Решено включить в КНФ под статусом «орфанного» ЛС	03.07.2021 Решено включить в КНФ под статусом «орфанного» ЛС	п. 16 Понатиниб - Миелоидный лейкоз (миелолейкоз) Миелодиспластический синдром Хронический миелоидный лейкоз Ювенильный хронический миеломоноцитарный лейкоз, Рефрактерная анемия, Рефрактерная анемия с избытком бластов С 92.1 D	03.07.2021 рассмотрен ФК: - Решено включить в Перечень; - Решено включить в КНФ под статусом «орфанного» ЛС.

L01XC 05	Гемтузум аб	L01XC 05	gemtu zumab ozoga micin	нет МННВ Перечне орфанных заболеваний представлен п.18 Лимфоидный лейкоз (лимфолейкоз) Волосато клеточный лейкоз Новообразования С 91.4 п. 16 Лимфоидный лейкоз (лимфолейкоз) Острый лимфобластный лейкоз Новообразования С 91.0	нет	46 п.14 Гемтузума б Лимфоидн ый лейкоз (лимфолей коз) Остры й лимфоблас тный лейкоз Волосаток леточный лейкоз С 91.0 С 91.4	орфанный в США при - Гемтузумаб озогамицин Лечение острого миелоидного лейкоза 24.11.1999 Назначен / утвержден ЕМА- орфанный при остром миелоидном лейкозе В Перечне орфанных заболеваний РК: п.20 Миелоидный лейкоз (миелолейкоз) Ос трый миелоидный лейкоз Острый промиелоцитарн ый лейкоз Острый миеломоноцитар ный лейкоз Новообраз ования С 92.0; С 92.4; С 92.5
L01XC 19	Блинатум омаб	L01XC 19	blinat umom ab	нет	нет	п.13 Блинатумо маб Множеств енная миелома и злокачеств енные плазмокле точные новообраз ования у взрослых Множеств енная миелома С 90.0	на рассмотрение
L01XX 45	Карфилзо миб	L01XG 02	carfilz omib	нет	нет	п.15 Карфилзом иб Миелоидн ый лейкоз (миелолей коз) Острый миелоидн ый лейкоз Острый промиелоц итарный лейкоз Острый миеломоно цитарный лейкоз у взрослых	на рассмотрение

						С 92.0 С 92.4 С 92.5	
L01XX 08	Пентоста тин	L01XX 08	pentos tatin	нет МННВ Перечне орфанных заболеваний РК - п.18Лимфоидный лейкоз (лимфолейкоз)Волосато клеточный лейкозНовообразования С 91.4	нет	п.16 Пентостат ин Миелоидн ый лейкоз (миелолей коз)Миело диспласти ческий синдромХ ронически й миелоидн ый лейкозЮве нильный хроническ ий миеломоно цитарный лейкоз,Реф рактрная анемия,Ре фрактрна я анемия с избытком бластовС 92.1 D 46	Пентостатин для инъекций орфанный в США Лечение волосатоклеточн ого лейкоза 10.09.1987 Назначен / утвержден В Перечне орфанных заболеваний РК - п.18Лимфоидны й лейкоз (лимфолейкоз)В олосатоклеточны й лейкозНовообраз ованияС 91.4
L01XX 23	Митотан	L01XX 23	mitota ne	нет МНН	нет	п.8 Злокачеств енное новообраз ование надпочечн ика у детей Злокачеств енное новообраз ование коры надпочечн ика С 74.0	Не рекомендуется
L03AB 03	Интерфер он гамма- 16	L03AB 03	interf eron gamm a	нет	нет	п.25 Интерферо н гамма-1- в Отдельные нарушения , вовлекающ ие иммунный механизм Первичные иммуноде фициты D 80 - D 84	на рассмотрение

L03AX 16	Плерикса фор	L03AX 16	plerix afor	нет МННВ Перечне орфанных заболеваний п.15 Множественная миелома и злокачественные плазмоклеточные новообразования Множе ственная миелома Новообразован ия С 90.0	нет	п.16 Плериксаф ор** лейкозып.1 0 Плериксаф ор** Болезнь Ходжкина (лимфогра нулематоз) у взрослыхБ лезнь Ходжкина С 81п.11 Плериксаф ор** Диффузная неходжкин ские лимфомаН еходжкинс кие лимфомыС 83	ЕМА - орфанный статус, Множественная Миелома; Трансплантация Гемопоэтически х Стволовых Клеток; Лимфома
M01AX 21	Диациреин	M01AX 21	diacer ein	нет	нет	п.47 Диациреин а Буллезный эпидермол из Буллезный эпидермол из Q 81	на рассмотрение
M04AC 01	Колхицин	M04AC 01	colchi cine	нет МННВ Перечне орфанных заболеваний РК - п. 44 Наследственный семейный амилоидоз без невропатии Семейная средиземноморская лихорадка (периодическая болезнь), наследственная амилоидная нефропатия Болезни эндокринной системы, расстройства питания и нарушения обмена веществе Е 85.0	нет	п.33 Колхицин Наследств енный семейный амилоидоз без невропати и Семейная средиземн оморская лихорадка (периодиче ская болезнь), наследстве нная амилоидна я нефропати я Е 85.0	орфанный в США при Лечение семейной средиземноморс кой лихорадки 25.09.2007 В Перечне орфанных заболеваний РК - п. 44 Наследствен ый семейный амилоидоз без невропатии Семе йная средиземноморс кая лихорадка (периодическая болезнь), наследственная амилоидная нефропатия Болез ни эндокринной системы, расстройства питания и нарушения обмена веществЕ 85.0

N03AX 17	Стирипен тол	N03AX 17	stiripe ntol	03.07.2021 Решено включить в КНФ под статусом «орфанного» ЛС	03.07.2021 Решено включить в КНФ под статусом «орфанног о» ЛС	п. 37 Стирипент ол Синдром Драве у детей Синдром Драве G 40.4	03.07.2021 Решено включить в КНФ под статусом «орфанного» ЛС
N07XX 03	Ксалипро ден гидрохло рид	N07XX 03	xalipr oden	нет	нет	п.35 Ксалипрод ен гидрохлор ид Болезнь двигательн ого нейрона. Семейная болезнь двигательн ого невронаБо ковой склероз амиотрофи ческий, прогрессир ующий, спинальна я мышечная атрофияG 12.2	Не рекомендуется
P01BA0 1	Хлорохин	P01BA0 1	chloro quine	нет МНН	нет	п.3 Хлорохин Малярия Малярия вызванная Pl. Vivax, Pl. ovale, Pl. Malariae, Pl. falciparum B 50 B 53	на рассмотрение
P01BA0 3	Примахи н	P01BA0 3	prima quine	нет	нет	п.3 Примахин МалярияМ алярия вызванная Pl. Vivax, Pl. ovale, Pl. Malariae, Pl. falciparum B 50B 53	на рассмотрение

P01BC01	Хинин	P01BC01	quinine	нет МННВ Перечне орфанных заболеваний РК- п.4МалярияМалярия вызванная Pl. Falciparum,Pl. ovale,Pl. Vivax,Pl. MalariaeИнфекционные (протозойные) болезниВ 50В 53	нет	п.3 Хинин МалярияМ алярия вызванная Pl.Vivax, Pl. ovale, Pl. Malariae, Pl. falciparum В 50В 54	FDA - хинин сульфат Лечение малярии 03.06.2004 В Перечне орфанных заболеваний РК- п.4МалярияМалярия вызванная Pl. Falciparum,Pl. ovale,Pl. Vivax,Pl. MalariaeИнфекционные (протозойные) болезниВ 50В 53
P01BC02	Мефлохин гидрохлорид	P01BC02	mefloquine	нет МННВ Перечне орфанных заболеваний РК- п.4МалярияМалярия вызванная Pl. Falciparum,Pl. ovale,Pl. Vivax,Pl. MalariaeИнфекционные (протозойные) болезниВ 50В 53	нет	п.3 Мефлохин гидрохлорид МалярияМ алярия вызванная Pl.Vivax, Pl. ovale, Pl. Malariae, Pl. falciparum В 50В 53	FDA - мефлохин HCL Для лечения острой малярии, вызванной Plasmodium falciparum и Plasmodium vivax, а также для профилактики малярии Plasmodium falciparum, устойчивой к другим доступным лекарственным средствам. 13.04.1988 Назначен / утвержден В Перечне орфанных заболеваний РК- п.4МалярияМалярия вызванная Pl. Falciparum,Pl. ovale,Pl. Vivax,Pl. MalariaeИнфекционные (протозойные) болезниВ 50В 53
P01BE03	Артесунат	P01BE03	artesunate	нет МННВ Перечне орфанных заболеваний РК- п.4МалярияМалярия вызванная Pl. Falciparum,Pl. ovale,Pl. Vivax,Pl. MalariaeИнфекционные (протозойные) болезниВ 50В 53	нет	п.3 Артесунат МалярияМ алярия вызванная Pl.Vivax, Pl. ovale, Pl. Malariae, Pl. falciparum В 50В 53	FDA - артесунат Немедленное лечение малярии В Перечне орфанных заболеваний РК- п.4МалярияМалярия вызванная Pl. Falciparum,Pl. ovale,Pl. Vivax,Pl. MalariaeИнфекционные (протозойные) болезниВ 50В 53

P01BX01	Галофантрин	P01BX01	halofantrine	нет	нет	п.3 Галофантрин Малярия Малярия вызванная Pl. Vivax, Pl. ovale, Pl. Malariae, Pl. falciparum B 50 B 53	на рассмотрение
V03AC01	Дефероксамин	V03AC01	deferroxamine	нет	нет	п.22 Дефероксамин Апластические анемии Апластическая анемия D 61.9	Не рекомендуется
	Аллантоин			нет	нет	п.47 Аллантоин Буллезный эпидермол из Буллезный эпидермол из Q 81	Не рекомендуется
нет кода	Аримокломол			нет	нет	п.35 Аримокломол Болезнь двигательного нейрона. Семейная болезнь двигательного нейрона Болезнь Бюковской склероз амиотрофический, прогрессирующий, спинальная мышечная атрофия G 12.2	на рассмотрение
нет кода	Велтузумаб		Veltuzumab	нет	нет	п.42 Велтузумаб Буллезные нарушения Пузырчатка Болезнь Дюринга L 10 L 13.0	Не рекомендуется

нет кода	Лиарозол			нет	нет	п.46 Лиарозол Врожденный ихтиоз Врожденный ихтиоз (разные формы), CHILD синдром, Q 80	Не рекомендуется
нет кода	Олесоксим		Olesoxime	нет	нет	п.35 Болезнь двигательного нейрона. Семейная болезнь двигательного нейрона Боковой склероз амиотрофический, прогрессирующий, спинальная мышечная атрофия G 12.2	Не рекомендуется
нет кода	Пафурамидина малеат			нет	нет	п.3 Пафурамидина малеат Малярия Малярия вызванная Pl. Vivax, Pl. ovale, Pl. Malariae, Pl. falciparum B 50 B 53	Не рекомендуется
нет кода	Смилагенин		Smilagenin	нет	нет	п.35 Смилагенин Болезнь двигательного нейрона. Семейная болезнь двигательного нейрона Боковой склероз амиотрофический, прогрессирующий, спинальная мышечная атрофия	Не рекомендуется

нет кода	Талампан ел			нет	нет	G 12.2 п.35 Талампане л Болезнь двигательн ого нейрона. Семейная болезнь двигательн ого неврона Боковой склероз амиотрофи ческий, прогрессиру ющий, спинальна я мышечная атрофия G 12.3	Не рекомендуется
-------------	----------------	--	--	-----	-----	--	---------------------

По 36 МНН

№	АТХ код	МНН	Приказ № 432 (орфан ЛС)	АТС/DD D ВОЗ	КНФ от 18.05.2021 г № ҚР ДСМ - 41	Примечание
	A07AA06	Паромомиц ина сульфат	Паромомицина сульфат п.4 Лейшманиоз	A07AA06 paromom ycin	нет	не рекомендуется
	A09AA02	Панкреатин	Панкреатин п.32 Панкреатин Нарушение обмена веществ/ Кистозный фиброз комбинированная форма (муковисцидоз) E 84.8	ATC code Name DDD U Adm.R Note A09AA02 multienzy mes (lipase, protease etc.)/ мультифе рменты (липаза, протеаза и др.)	A09AA02 Мультиферменты (липаза, протеаза и т.д.) таблетки, покрытые пленочной оболочкой; капсулы, содержащие минитаблетки, покрытые кишечнораствори мой оболочкой	не является орфанным препаратом
	A11HA02	Пиридоксин а гидрохлори д для внутривенн ых инъекций	Пиридоксина гидрохлорид для внутривенных инъекций - 26. Пиридоксина гидрохлорид для внутривенных инъекций/ Недостаточность других витаминов группы В/ Недостаточность витамина В6 E 53.1	ATC code Name DDD U Adm.R Note A11HA02 pyridoxin e (vit B6) 0.16 g O 0.16 g P	A11HA02 Пиридоксин раствор для инъекции 50мг/мл, 1 мл	не рекомендуется

B02BX04	Ромипластим	Ромипластим п.23 Идиопатическая тромбоцитопени ческая пурпура/ Синдром Эванса D 69.3	ATC code Name DDD U Adm.R Note B02BX04 romiplostim 30 mcg P	B02BX04 Ромиплоstim, орфанный порошок для приготовления раствора для подкожного введения 250 мкг	представлен в КНФ статусом орфанный Но нет в орфанном Перечне .LC РК
B02BX05	Элтромбопаг	Элтромбопаг п.23 Идиопатическая тромбоцитопени ческая пурпура/ Синдром Эванса D 69.3	ATC code Name DDD U Adm.R Note B02BX05 eltrombopag 50 mg O	B02BX05 Элтромбопаг таблетки, покрытые пленочной оболочкой 25мг, 50 мг	03.07.2021 г рассмотрен на ФК МЗ РК- принято решение включить в орфанный перечень РК
C01BA01	Хинидин	Хинидин п.3 Малярия	ATC code Name DDD U Adm.R Note C01BA01 quinidine 1.2 g O	нет	не рекомендуется
D01AE12	Салициловая кислота (мазь)	Салициловая мазь п.46 Салициловая мазь: Врожденный ихтиоз/ Врожденный ихтиоз (разные формы), CHILD синдром, Q 80	ATC code Name DDD U Adm.R Note D01AE12 salicylic acid	D08AE Салициловая кислота раствор спиртовой для наружного применения 2% 25 мл, 50мл, 60мл	на рассмотрение
D03AX03	Декспантенол	Декспантенол п.47 Буллезный эпидермолиз Q 81	D03AX03 dexpanthenol	D03AX03 Декспантенол крем для наружного применения 5 %, 30 г; мазь для наружного применения 5 %, 30 г; аэрозоль для наружного применения 58,5 г	не рекомендуется
D05AX05	Тазаротен	Тазаротен п.46 Тазаротен Врожденный ихтиоз Врожденный ихтиоз (разные формы), CHILD синдром, Q 80	ATC code Name DDD U Adm.R Note D05AX05 tazarotene	нет	не рекомендуется
D05BB02	Ацитретин	Ацитретин п.46 Врожденный ихтиоз Q 80	D05BB02 acitretin	нет	не рекомендуется

J01XB01	Колистин (Колистиметат)	Колиместат натрия п.32 Колиместат натрия Нарушение обмена веществ/ Кистозный фиброз комбинированная форма (муковисцидоз) E 84.8	ATC code Name DDD U Adm.R Note J01XB01 colistin 3 MU Inhal.powder 3 MU Inhal.solution 9 MU P	J01XB01 Колистин (Колистиметат) порошок для приготовления раствора для ингаляций; порошок для приготовления раствора для инъекций или инфузий	03.07.2021 г рассмотрен на ФК МЗ РК- принято решение исключить в орфанный перечень РК
L01BA05	Пралатрексат	Паралатрексат правильно: Пралатрексат (Pralatrexate) п.11 Диффузная неходжкинские лимфома Неходжкинские лимфомы C 83	L01BA05 pralatrexate	нет	на рассмотрение
L01DB06	Идарубицин	Идарубицин Карцинома пп 12-21	L01DB06 idarubicin	L01DB06 Идарубицин лиофилизат для приготовления раствора для внутривенного введения 5 мг/раствор для инъекций 5 мг/5мл	на рассмотрение
L01DC01	Блеомицин	Блеомицин п.9 Злокачественное новообразование без уточнения локализации у детей, Карцинома C 80; п.10 Болезнь Ходжкина (лимфогранулематоз) у взрослых; Болезнь Ходжкина C 81	L01DC01 bleomycin	L01DC01 Блеомицин лиофилизат для приготовления раствора для инъекций 15 мг	FDA - Блеомицин сульфат Лечение злокачественного плеврального выпота Не представлена данная нозология в орфанном Перечне. До рассмотрения на включение как орфанный препарат необходимо рассмотреть нозологию на вопрос включения в Перечень орфанных заболеваний

L01XX05	Гидроксикарбамид	Гидрохлорид Гидроксикарбамид Гемолитические анемии у взрослых Злокачественные иммунопролиферативные болезни у взрослых; Множественная миелома и злокачественные плазмоклеточные новообразования у взрослых; Лимфоидный лейкоз (лимфолейкоз)*; Лимфоидный лейкоз (лимфолейкоз) у взрослых; Миелоидный лейкоз (миелолейкоз)*; Миелоидный лейкоз (миелолейкоз)*	L01XX05 hydroxycarbamide	L01XX05 Гидроксикарбамид, орфанный капсулы 500 мг, 250мг	на рассмотрение
L04AA23	Натализумаб	Натализумаб 36. Натализумаб Рассеянный склероз у детей Туберозный склерозный комплекс (SEGA)G 35	L04AA23 natalizumab	L04AA23 Натализумаб, орфанный концентрат для приготовления раствора для инфузий 300 мг/15 мл	в КНФ представлен со статусом орфанный - L04AA23 Натализумаб орфанный представлен в орфанном перечне ЛС
L04AX01	Азатиоприн	п.39 Другие интерстициальные легочные болезни. п.44 Системные поражения соединительной ткани	L04AX01 azathioprine	L04AX01 Азатиоприн таблетка	на рассмотрение
N05BA09	Клобазам	Клобазам п.37 Синдром Драве у детей Синдром Драве G 40.4	N05BA09 clobazam	нет	на рассмотрение FDA Клобазам Лечение синдрома Леннокса-Гасто 18.12.2007 Назначен / утвержден одобрен FDA орфанный статус Необходимо сначала включить нозологию как орфанное заболевание

	P01BA02	Гидроксихлорохин	Гидроксихлорохин п.39 Другие интерстициальные легочные болезни	P01BA02 hydroxyc hloroquine	P01BA02 Гидроксихлорохин Таблетки, покрытые пленочной оболочкой 200 мг	на рассмотрение
	P01BE01	Артемизинин	Артемизин п.3 Малярия	P01BE01 artemisini n	нет	не рекомендуется
	P01CX04	Милтефозин	Милтефозин п.4 Лейшманиоз Лейшманиоз В 55	P01CX04 miltefosin e	нет	FDA - милтефозин Лечение лейшманиоза. 10.10.2006 Назначен / утвержден Представлен в п.5 Лейшманиоз Лейшманиоз Инфекционные (протозойные) болезни В 55
	нет кода	нет данных	Бутилдеоксигалактонуримицин п.28 Другие сфинголипидозы Болезнь Фабри (-Андерсон), болезнь Гаучера (болезнь Гоше), болезнь Краббе, болезнь Нимана-Пика (Болезнь Ниманна-Пика тип С, Болезнь Ниманна-Пика тип А/В), Синдром Фабера (болезнь Фарбера), метахроматическая лейкодистрофия, недостаточность сульфатазы (множественная сульфатазная недостаточность). Е 75.2	нет данных	нет	не рекомендуется

нет кода	Afegostat Tartrate	Изофагомина тартрат.28 Другие сфинголипидозы Болезнь Фабри (-Андерсон), болезнь Гаучера (болезнь Гоше), болезнь Краббе, болезнь Нимана-Пика (Болезнь Ниманна-Пика тип С, Болезнь Ниманна-Пика тип А/В), Синдром Фабера (болезнь Фарбера), метахроматическая лейкодистрофия, недостаточность сульфатазы (множественная сульфатазная недостаточность). E 75.2	нет кода	нет	не рекомендуется
нет кода	Олеилфосфохолин	Олеилфосфохолин п.4 Лейшманиоз	нет кода	нет	на рассмотрение
нет кода	Третазикар	Третазикар п.4 Лейшманиоз	нет кода	нет	на рассмотрение
L01DA01?	Дактиномицин?	Актиномицин при Карцинома МНН не найден есть Дактиномицин	ATC code Name DDD U Adm.R Note L01DA01 dactinomycin		на рассмотрение
нет кода	Аргинат гемма	Аргинат гемма п.30 Порфирии E 80.2 Наем arginate (Human hemin)	B06AB01 hemin		на рассмотрение
?	Интерферон бета	Интерферон бета п.5 Злокачественное новообразование носоглотки у детей Злокачественное новообразование носоглотки (назофарингиальная карцинома) C 11	L03AB07 interferon beta-1a L03AB08 interferon beta-1b L03AB02 interferon beta natural		на рассмотрение
нет данных	МНН не найден Кармуцин	Кармуцин п.9 Злокачественное новообразование без уточнения локализации у детей Карцинома C 80	нет данных		не рекомендуется

	НЕТ ДАННЫХ	Линистиниб	Линистиниб Злокачественное новообразование коры надпочечника МНН не найден, возможно допущена Грамматическая ошибка	НЕТ ДАННЫХ Х		не рекомендуется
	НЕТ ДАННЫХ	Лобенквана сульфат	Лобенквана сульфат Злокачественное новообразование коры надпочечника МНН не найден, возможно допущена Грамматическая ошибка	НЕТ ДАННЫХ Х		не рекомендуется
	нет кода	Сарсасапогенин	Сарсасапогенин п.35 Сарсасапогенин - Болезнь двигательного нейрона. Семейная болезнь двигательного нейрона Боковой склероз амиотрофический, прогрессирующий, спинальная мышечная атрофия G 12.2	нет кода		не рекомендуется
	нет кода	Талорозол НЕТ ДАННЫХ	Талорозол п.46 Врожденный ихтиоз Врожденный ихтиоз (разные формы), CHILD синдром, Q 80	НЕТ ДАННЫХ Х		не рекомендуется
	ИСКЛЮЧЕН J01BA02	ИСКЛЮЧЕН решением ФК МЗ РК из списка ЕД и КНФ Тиамфеникол ацетилцистеинат	Тиамфеникол ацетилцистеинат п.32 Тиамфеникол ацетилцистеинат Нарушение обмена веществ Кистозный фиброз комбинированная форма (муковисцидоз) E 84.8	ATC code Name DDD U Adm.R Note J01BA02 thiamphenicol 1.5 g O 1.5 g P		ИСКЛЮЧЕН решением ФК МЗ РК из списка ЕД и КНФ Тиамфеникол ацетилцистеинат

	L01AA07 НЕТ ДАННЫХ	Трофосфам ид НЕТ ДАННЫХ	Трофосфамид п.9 Трофосфамид Злокачественное новообразование без уточнения локализации у детей Карцинома С 80	L01AA07 trofosfami de		не рекомендуется
	L01DB01	Доксорубиц ин			L01DB01 Доксорубицин 4450 L01DB01Доксоруби цин Доксорубицин-Тева порошок лиофилизированный для приготовления инъекционного рпаствора 50 мг РК-ЛС-5№010173	орфанный в Европе и США

Джусипов Б.А.: После обсуждения вопроса членами Формулярной комиссии предлагается ставить на голосование вопросы:

- **«Предлагается включить в Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения 79 МНН»:**

Прошу голосовать. Кто ЗА? Против? Воздержался?

Членами Формулярной комиссии принято **РЕШЕНИЕ:**

Включить в Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения 79 МНН (Решение принято большинством голосов, ВОЗДЕРЖАЛИСЬ: Алдиярова Н.Т., Райымкулова Г.У., Сыздыкова Б.М.).

Рекомендация члена ФК МЗ РК Алдияровой Н.Т.: Не включать те позиции лекарственных средств, которые не соответствуют критериям включения согласно утвержденным Правилам.

- **«Предлагается включить лекарственные средства «Рисдиплам», «Ланаделумаб» и «Клофозамин» в Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения»:**

Прошу голосовать. Кто ЗА? Против? Воздержался?

Членами Формулярной комиссии принято **РЕШЕНИЕ:**

Включить лекарственные средства «Рисдиплам», «Ланаделумаб» и «Клофозамин» в Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения (Решение принято ЕДИНОГЛАСНО).

- **«Предлагается НЕ включать лекарственное средство «Касимерсен» в Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения»:**

Прошу голосовать. Кто ЗА? Против? Воздержался?

Членами Формулярной комиссии принято **РЕШЕНИЕ:**

НЕ включать лекарственное средство «Касимерсен» в Перечень орфанных заболеваний и лекарственных средств для их лечения (Решение принято **ЕДИНОГЛАСНО**).

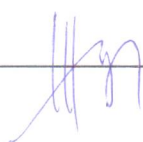
Мы исчерпали повестку дня заседания Комиссии.

Позвольте поблагодарить всех присутствующих за участие в заседании Комиссии.




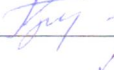
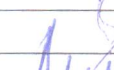

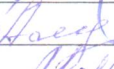
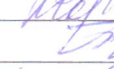
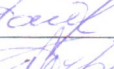








Заседание Формулярной комиссии Министерства здравоохранения объявляется закрытым.

Прилагаются материалы заседания на электронном носителе и аудиограмма.

**Заместитель Председателя
Формулярной комиссии МЗ РК**

 _____ **Джусипов Б.А.**

**Члены Формулярной комиссии
МЗ РК:**

 _____ Сыздыкова Б.М.
 _____ Адылканов Р.А.
 _____ Даутбаев Е.К.
 _____ Негай Н.А.
 _____ Бидатова Г.К.
 _____ Кемайкин В.М.
 _____ Ясыллов Е.А.
 _____ Мирзахметова Д.Д.
 _____ Касымбекова С.Ж.
 _____ Алдиярова Н.Т.
 _____ Макалкина Л.Г.
 _____ Байпакбаева Ж.Ж.
 _____ Раимкулова Г.У.
 _____ Дурманова М.И.
 _____ Мухамеджанова Г.Е.
 _____ Жангабылов Н.С.
 _____ Дурманова А.К.

Секретарь:

 _____ **Дастан Ш.М.**

