


№2 ^{Том 7}
2019

Фармакоэкономика

теория и практика



ФЭ

Pharmacoeconomics
theory and practice

№2 ^{Volume 7}
2019

- **ФАРМАКОЭКОНОМИКА ИННОВАЦИЙ ИЛИ ИННОВАЦИИ В ФАРМАКОЭКОНОМИКЕ: АНАЛИЗ «ОТНОСИТЕЛЬНОЙ ЦЕННОСТИ» ВМЕСТО АНАЛИЗА «ЗАТРАТЫ-ЭФФЕКТИВНОСТЬ»?**
- **ФАРМАКОЭКОНОМИЧЕСКАЯ ОЦЕНКА ПРЕПАРАТОВ, ИСПОЛЪЗУЕМЫХ ПРИ ФЕРМЕНТНОЙ ЗАМЕСТИТЕЛЬНОЙ ТЕРАПИИ В ЛЕЧЕНИИ МУКОПОЛИСАХАРИДОЗА II ТИПА**
- **ФАРМАКОЭКОНОМИЧЕСКИЙ АНАЛИЗ НЕПРЕРЫВНОЙ ПОДКОЖНОЙ ИНФУЗИИ ИНСУЛИНА В СРАВНЕНИИ С МНОГОКРАТНЫМИ ИНЪЕКЦИЯМИ ИНСУЛИНА В ЛЕЧЕНИИ ПАЦИЕНТОВ С САХАРНЫМ ДИАБЕТОМ I ТИПА В УСЛОВИЯХ ЗДРАВООХРАНЕНИЯ РОССИЙСКОЙ ФЕДЕРАЦИИ**

ФАРМАКОЭКОНОМИЧЕСКАЯ ОЦЕНКА ПРЕПАРАТОВ, ИСПОЛЬЗУЕМЫХ ПРИ ФЕРМЕНТНОЙ ЗАМЕСТИТЕЛЬНОЙ ТЕРАПИИ В ЛЕЧЕНИИ МУКОПОЛИСАХАРИДОЗА II ТИПА

Куликов А.Ю., Костина Е.О.

Первый МГМУ им. И.М. Сеченова Минздрава России (Сеченовский Университет), г. Москва

DOI: <https://doi.org/10.30809/phe.2.2019.2>

Резюме: В рамках данной работы было проведено фармакоэкономическое исследование лекарственных препаратов, используемых в ферментной заместительной терапии (ФЗТ) пациентов с мукополисахаридозом (МПС) II типа: идурсульфазы и идурсульфазы бета. В результате было установлено, что применение препарата идурсульфаза бета, является более фармакоэкономически выгодной схемой терапии пациентов с МПС II типа. Экономия денежных средств при переводе одного пациента с идурсульфазы на идурсульфузу бета составляет в течение одного года - 7 377 746 руб., за 5 лет - 36 888 728 руб. В ходе анализа «влияния на бюджет» определили, что увеличение доли пациентов до 50% на препарате идурсульфаза бета позволит достичь общей экономии в размере 796 845 270 руб. за 5 лет. Проведённый анализ «упущенных возможностей» показал, что на сэкономленные деньги вследствие смены стратегии терапии можно было бы пролечить дополнительно 28 пациентов с МПС II типа.

Ключевые слова: мукополисахаридоз (МПС) II типа, синдром Хантера, ферментная заместительная терапия (ФЗТ), анализ затрат, анализ «минимизации затрат», анализ «влияния на бюджет», фармакоэкономика, клинико-экономический анализ.

Введение

Мукополисахаридоз (МПС) II типа или синдром Хантера является хроническим, прогрессирующим мультисистемным заболеванием, связанным с ранней инвалидизацией и смертностью пациентов. Будучи тяжелым заболеванием, МПС II типа характеризуется серьезными нарушениями со стороны целого ряда систем органов и требует медицинской помощи по следующим направлениям: кардиология, неврология, пульмонология, психология и ортопедия. Наиболее частыми клиническими проявлениями МПС II типа являются грубые черты лица, папулезные высыпания, потеря слуха, обструктивные заболевания дыхательных путей, пневмонии, гепатоспленомегалия, сердечные заболевания, поражение ЦНС, тугоподвижность суставов. Ожидаемая продолжительность жизни пациентов, без терапии патогенетическими препаратами, не превышает двадцати лет; смерть возникает в результате обструкции дыхательных путей или сердечной недостаточности на фоне прогрессирующих неврологических симптомов [1,2].

Единственным общепринятым подходом к лечению МПС II типа на сегодняшний день является пожизненная ферментная заместительная терапия (ФЗТ) для пациентов с врожденным дефектом метаболизма гликозаминогликанов (ГАГ) [3,4,5,6]. На российском рынке ФЗТ пред-

ставлена двумя МНН: идурсульфаза (Элапраза®, «Shire Human Genetic Therapies») и идурсульфаза бета (Хантераза®, ООО «Нанолек»), лекарственные препараты выпускаются в виде концентрата для приготовления раствора для инфузий [7,8]. Оба ферментных препарата имеют одинаковую последовательность аминокислот, но разные паттерны гликозилирования, что обусловлено использованием различных клеточных линий и производственных процессов: источником клеточных линий для идурсульфазы бета являются яичники китайского хомячка, а для идурсульфазы трансформированные клетки человека [3]. В соответствии с клиническими рекомендациями, терапия как идурсульфазой, так и идурсульфазой бета проводится в дозировке 0,5 мг/кг один раз в неделю в виде внутривенной инфузии в течение 3-х часов со средней скоростью 40 мл/ч в условиях дневного стационара. В случае появления аллергических реакций скорость инфузии замедляется вплоть до 12 часов, при необходимости прекращается полностью [6].

Частота распространённости МПС II типа оценивается как 1:156000 - 1:140000 новорожденных [1]. В Российской Федерации (РФ) на 2019 год по данным федерального регистра лиц, страдающих жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями, приводящими к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности, число пациентов с синдромом Хантера составляет 133 человека, из которых получают специализированную медицинскую помощь 108 пациентов [9]. Согласно ФЗ №-323 статус редкого (орфанного) заболевания в РФ присваивается с распространённостью не более 10 случаев на 100 000 человек [10], из чего следует, что МПС II типа является редким заболеванием [11]. Кроме того, синдром Хантера включен в перечень высокозатратных нозологий (ВЗН) и финансируется за счет средств федерального бюджета. Потому как программа ВЗН подразумевает учет каждого пациента, то и бюджет программы фиксирован. Высокая стоимость препаратов для терапии редких заболеваний обусловлена узким кругом пациентов, потому лечение МПС II типа является дорогостоящим. Наличие двух альтернатив с одним показанием актуализирует задачу определения наиболее клинико-экономически выгодно препарата с целью наиболее рационального распределения средств здравоохранения в условиях ограниченного бюджета [12].

Целью данного исследования было определить клинико-экономические последствия внедрения лекарственного препарата идурсульфазы бета для лечения синдрома Хантера в сравнении с лекарственным препаратом идурсульфаза.



Результаты исследования и их обсуждение

Анализ эффективности

В ходе анализа эффективности был произведен информационный поиск в базах данных: Medline, Cochrane Library, eLibrary с использованием ключевых слов: «idursulfase», «idursulfase beta», «mucopolysaccharidosis 2 type», «Hanter syndrome», «идурсульфазы», «идурсульфазы бета», «мукополисахаридоз 2 типа», «синдром Хантера». Для проведения фармакоэкономического анализа в основу легли данные, полученные из РКИ «Young Bae Sohn, 2013» [13]. Рандомизированное слепое контролируемое исследование проводилось в Южной Корее сроком в 24 недели. 31 пациент в возрасте 6-35 лет с МПС II типа были распределены на три группы: первая получала препарат идурсульфаза 0,5 мг/кг (11 пациентов), вторая получала препарат идурсульфаза бета 0,5 мг/кг (10 пациентов), третья получала препарат идурсульфаза бета 1,0 мг/кг (10 пациентов). Согласно клиническим рекомендациям, в фармакоэкономическом исследовании применение препарата идурсульфаза бета рассматривалось только с начальной дозировкой 0,5 мг/кг [1,2]. Показателями эффективности являлись концентрация ГАГ в моче и прохождение дистанции в 6-минутном тесте с ходьбой (6МТХ). В результате исследования, спустя 24 недели концентрация ГАГ в моче на идурсульфазе составила 105,3 мг, на идурсульфазе бета 114,4 мг соответственно ($P = 0,043$); изменения показателей 6МТХ были достоверно выше в группе идурсульфузы бета (62 м) по сравнению с группой сравнения (-9,3 м) ($P = 0,003$) (таблица 1). На основании проанализированных данных можно сделать вывод о том, что статистической разницы в эффективности у сравниваемых препаратов нет. Также было найдено исследование, в котором оценивалась безопасность применения препарата идурсульфузы бета у детей младше 6 лет «Young Bae Sohn, 2015» [14].

Таблица 1. Результат анализа эффективности по данным РКИ Young Bae Sohn, 2013

Наименование РКИ	Клиническое исследование I/II фазы с применением ферментной заместительной терапии идурсульфазой бета у пациентов МПС II	
	Дизайн РКИ	Рандомизированное, слепое, контролируемое, 24 недели
Число участников, чел.	31	
Возраст участников, лет	6-35	
Критерии эффективности	Идурсульфаза (0,5 мг/кг)	Идурсульфаза бета (0,5 мг/кг)
Концентрация ГАГ в моче, мг	105,3	114,4
6-минутный тест с ходьбой, м	-9,3	62

Анализ затрат

В проведенном фармакоэкономическом исследовании учитывались прямые и непрямые затраты [15]. На первом этапе была рассчитана стоимость диагностики и лечения осложненной согласно стандарту оказания специализированной помощи [16]. Использованный стандарт содержал информацию о наименовании лекарственных средств, частоте их назначения, средней суточной и разовой дозах, также содержал данные о проводимых медицинских услугах и частоте их назначения, продолжительность плановой госпитализации пациентов с МПС II типа составляет 14 дней. Стоимость лекарственных препаратов, включенных в перечень ЖНВЛП была рассчитана на основании данных, полученных из Государственного реестра предельных отпускных цен [17], для прочих препаратов использовались данные Портала государственных закупок [18]. За-

траты на медицинские услуги рассчитывались на основании данных из тарифных соглашений ФОМС г. Москвы [18].

Рассматриваемые лекарственные препараты имеют одинаковую форму выпуска – концентрат для приготовления раствора для инфузий, 2 мг/мл, по 3 мл препарата во флаконе. Стоимость одного флакона препарата идурсульфузы составляет 173 405 руб., идурсульфузы бета 137 238 руб. (таблица 2). Формула для расчета дозы препарата выглядит таким образом:

$$Cost (лп) = \left(m(n) \times \frac{0,5}{3} \right) \times Cost (уп)$$

где, Cost (лп) – стоимость расчетной дозы препарата;

$m(n)$ – вес пациента;

0,5 (мг/мл) – рекомендуемая начальная дозировка ЛС;

2 (мг/мл) – концентрация ЛС в одном флаконе;

3 (мл) – объем флакона;

Cost (уп) – стоимость одной упаковки, руб.

Доза ферментного препарата рассчитывается исходя из массы тела пациента, поэтому было введено допущение, что средний вес пациента, страдающего МПС II типа составляет 40 кг.

Ввиду того, что рассматриваемые лекарственные средства вводятся инъекционно в условиях дневного стационара, прямые затраты включали стоимость внутривенного введения – 96 руб. и койко-места в дневном стационаре – 1021 руб. [19]. Далее рассчитывалась частота побочных эффектов (ПЭ), возникающих на фоне приема ФЭТ, основанная на данных из инструкций по медицинскому применению лекарственных препаратов [7,8]. Стоимость одного законченного случая лечения ПЭ, была рассчитана с использованием данных из программы государственных гарантий и тарифных соглашений ФОМС г. Москвы (таблица 3) [20,21].

На заключительном этапе анализа затрат были рассчитаны непрямые затраты, связанные с потерей внутреннего валового продукта (ВВП) по причине нетрудоспособности, пенсией по инвалидности и компенсационные выплаты. Потери ВВП рассчитывались по двум схемам, в зависимости от возраста пациента, страдающего МПС II типа. У пациентов младше 18 лет потери ВВП были обусловлены полной утратой трудоспособности одного из родителей ребенка, в связи с отсутствием возможности ребенка заботиться о себе. Для пациентов старше 18 лет потери ВВП учитывали только дни плановой госпитализации и один день дневного стационара, связанный с введением ферментного препарата. Согласно ПП РФ №95 20.02.2006 (ред. от 04.06.2019) [22] пациенты, страдающие синдромом Хантера младше 18 лет, признаются детьми-инвалидами и получают соответствующую социальную пенсию. Было сделано допущение о том, что при достижении совершеннолетия все пациенты переходят во 2-ю группу инвалидности и получают трудовую пенсию по инвалидности. Затраты на компенсационные выплаты государством одному из родителей ребенка, страдающего МПС II типа учитываются только при расчете непрямых затрат для пациентов младше 18 лет. Источником информации о величине ВВП была Федеральная служба государственной статистики [23], размер пенсии и компенсационных выплат были взяты из Пенсионного фонда [24]. Для оценки итоговой стоимости терапии на каждой сравниваемой альтернативе прямые и непрямые затраты рассчитывались отдельно, и затем суммировались.

Таким образом, сумма затрат на терапию одного усредненного пациента в год, страдающего МПС II типа на идурсульфазе и идурсульфазе бета составляет 36 490 935 руб. и 29 113 189 руб. соответственно. За 5-летний временной горизонт стоимость терапии для одного усредненного пациента на препарате идурсульфузы бета составляет 145 565 947 руб., на препарате идурсульфузы 182 454 675 руб.

Таблица 2. Режим дозирования ферментных препаратов

МНН	Концентрация в-ва во флаконе, мг/мл	Объем флакона, мл	Кратность введения	Стоимость упаковки, руб
Идурсульфаза	2	3	1 раз в неделю	173 405
Идурсульфаза бета	2	3	1 раз в неделю	137 238

Таблица 3. Стоимость одного законченного случая лечения ПЭ

Побочный эффект	Идурсульфаз	Идурсульфаз бета	Стоимость одного законченного случая, руб.
Анафилактическая реакция [7,8]	Неизвестно	-	15 755
Головная боль [7,8]	0,1	-	532
Миалгия [7,8]	-	0,055	20 229
Аритмия [7,8]	0,055	-	18 880
Во время инфузии ЛП лихорадка и отек [7,8]	0,1	0,1	14 256
Бронхоспазм (кашель) [7,8]	0,055	0,055	17 339
Диспепсические расстройства [7,8]	0,1	0,055	17 146
Крапивница [7,8]	0,1	0,1	11 958
Эритема [7,8]	0,055	0,055	11 172
Артралгия [7,8]	0,055	-	20 229
Инфекция дыхательных путей [7,8]	-	0,1	22 016
Аллергический ринит [7,8]	-	0,055	15 623
Инфекция глаз, конъюнктивит [7,8]	-	0,055	7 513
Энтерит [7,8]	-	0,1	14 838
Снижение АД [7,8]	0,055	-	18 881
Боли в груди [7,8]	0,1	-	17 339


Рисунок 1. Результат анализа затрат на одного пациента в год

Анализ «минимизации затрат»

Анализ «минимизации затрат» подразумевает определение наименее затратной альтернативы и базируется на допущении равной эффективности исследуемых лекарственных препаратов [15]. При анализе «минимизации затрат» рассматривались прямые и непрямые затраты. В результате проведенного анализа «минимизации затрат» было установлено, что в расчете на одного пациента в год использование идурсульфазы бета сопровождается экономией денежных средств в размере 7 377 746 руб. в сравнении с идурсульфазой (рис. 2). С учетом временного горизонта в 5 лет экономия бюджетных средств на одного пациента достигает 36 888 728 руб. (рис. 3)

Анализ «влияния на бюджет»

Следующим этапом исследования стал анализ «влияния на бюджет». Анализ учитывал численность пациентов, страдающих МПС II типа, и только прямые затраты для оценки экономических последствий на бюджет системы здравоохранения [24]. Временной горизонт исследования был взят 5 лет, поскольку было важно оценить экономические последствия внедрения препарата идурсульфаз бета в клиническую практику в дальней перспективе.

Число пациентов с синдромом Хантера, получающих ФЗТ на территории Российской Федерации составляет 108 человек [9]. Согласно стандарту оказания медицинской помощи [16], частота назначения препарата идурсульфаз составляет 90%, препарата идурсульфаз бета 10%, что было взято за основу текущей стратегии распределения пациентов. При моделируемой стратегии мы предположили, что каждый год 10% пациентов переключались на препарат идурсульфаз бета на протяжении 5 лет, за исключением первого года исследования. По окончании временного горизонта моделируемое распределение пациентов выглядело таким образом: частота назначения препарата идурсульфаз составляет 50%, препарата идурсульфаз бета 50%. Таким образом, основываясь на полученных результатах, стоимость лечения всей когорты пациентов при текущей стратегии составила 18 899 400 629 руб. В моделируемой стратегии сумма общих затрат на терапию МПС II типа была равна 18 102 555 359 руб. для всей когорты пациентов за 5 лет. При моделируемой стратегии экономия бюджетных средств для системы здравоохранения составила 796 845 270 руб. за 5 лет. Проведенный анализ «упущенных возможностей» показал, что на сэкономленные деньги вследствие смены стратегии терапии можно было бы пролечить дополнительно 28 пациентов с синдромом Хантера.



Рисунок 2. Результат анализа «минимизации затрат» на одного пациента в год



Рисунок 3. Результат анализа «минимизации затрат» на одного пациента за 5 лет

Анализ чувствительности

Анализ чувствительности был проведён с целью оценки надёжности полученных результатов фармакоэкономического исследования [26]. Затраты на лекарственные препараты являлась наиболее существенной, поэтому именно изменение цен на эти компоненты и легло в основу проводимого анализа. Отклонение от изначально заданных показателей составляло +/- 20%. Лечение МПС II типа с использованием идурсульфазы бета в сравнении с идурсульфазой выдерживает анализ чувствительности в 20% и остается доминантной терапией (таб.4). Увеличение цены на 20% на лекарственный препарат идурсульфаз бета будет сопровождаться экономией бюджетных в размере 1 705 962 руб.

Результаты исследования

- В результате анализа эффективности не было найдено данных о статистической разнице в эффективности между лекарственными препаратами идурсульфазой бета и идурсульфазой.
- В результате анализа затрат, стоимость терапии мукополисахаридоза II типа с применением идурсульфазы бета для одного усредненного пациента в год составляет 29 113 189 руб. в сравнение с идурсульфазой, стоимость терапии с применением которой составляет 36 490 935 руб. С учетом 5-летнего временного горизонта терапия одного усредненного пациента идурсульфазой бета характеризуется затратами в размере 145 565 947 руб., на идурсульфазе 182 454 675 руб. за 5 лет соответственно.

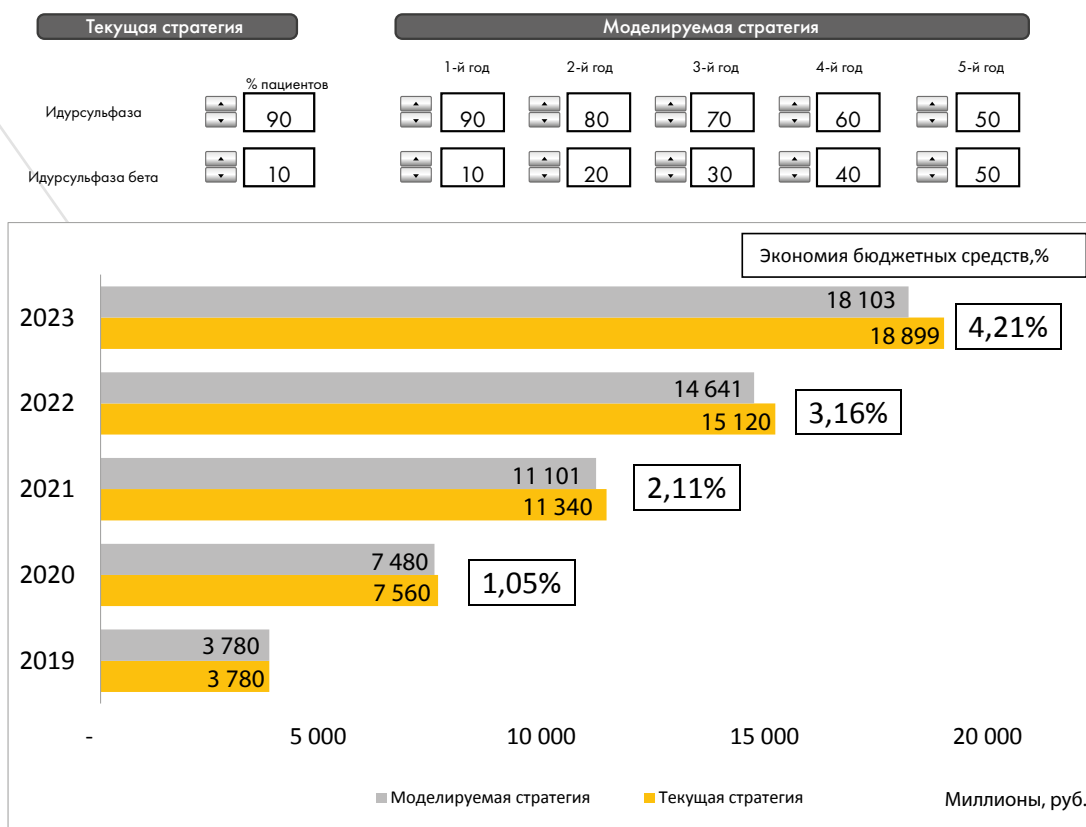


Рисунок 4. Результат анализа «влияния на бюджет»

Таблица 4. Результат анализа чувствительности

МНН	Стоимость терапии на одного пациента в год, руб.	Разница затрат, руб.	изменение цены, %	Стоимость терапии на одного пациента в год, руб.	Разница затрат, руб.
Идурсульфаз	35 736 665	7 377 746	0%	35 736 665	1 705 962
Идурсульфаз бета	28 358 919		+20%	34 030 703	

- В результате анализа «минимизации затрат» было установлено, что в расчете на одного пациента в год использование идурсульфазы бета сопровождается экономией денежных средств в размере 7 377 746 руб. в сравнении с идурсульфазой. С учетом временного горизонта в 5 лет экономия бюджетных средств на одного пациента достигает 36 888 728 руб.
- В результате анализа «влияния на бюджет», согласно моделируемой стратегии терапии МПС II типа в течении 5-ти лет, выявлено, что перевод 50% пациентов на терапию с использованием лекарственного препарата идурсульфаз бета приводит к экономии денежных средств в размере 796 845 270 руб. Число пациентов, которых можно было бы дополнительно пролечить на сэкономленные бюджетные средства составляет 28 человек за 5 лет.

Заключение

Результаты проведенной фармакоэкономической оценки лечения пациентов, страдающих МПС II типа в Российской Федерации лекарственным препаратом идурсульфаз бета, продемонстрировали его устойчивое преимущество с точки зрения анализа затрат, анализа «минимизации затрат» и анализа «влияния на бюджет» в сравнении с препаратом идурсульфаз. Оценка результатов посредством анализа чувствительности анализа «минимизации затрат» при увеличении цены на идурсульфазу бета на 20% сохраняется и остается преимущественным лекарственным препаратом в ферментной заместительной терапии пациентов с синдромом Хантера.

Список литературы:

1. Федеральные клинические рекомендации по диагностике и лечению мукополисахаридоза типа II, 2013/ Federal'ny'e klinicheskie rekomendacii po diagnostike i lecheniyu mukopolisaxaridoza tipa II, 2013

2. Клинические рекомендации Мукополисахаридоз II типа у детей, 2016/ Klinicheskie rekomendacii Mukopolisaxaridoz II tipa u detej, 2016
 3. Lock-Hock N et al «Case report of treatment experience with idursulfase beta (Hunterase) in an adolescent patient with MPS II» Molecular Genetics and Metabolism Reports 12 (2017) 28–32
 4. C. Kim, J. Seo, Y. Chung, H.J. Ji, J. Lee, J. Sohn, et al., Comparative study of idursulfase beta and idursulfase in vitro and in vivo, J. Hum. Genet. 62 (2017) 167–174.
 5. Barbara K. Burton et al « Survival in idursulfase-treated and untreated patients with mucopolysaccharidosis type II: data from the Hunter Outcome Survey (HOS)» J Inherit Metab Dis (2017) 40:867–874
 6. K. Wyatt et al. «The effectiveness and cost of enzyme replacement and substrate reduction therapies: a longitudinal cohort study of people with lysosomal storage disorders» Health Technology Assessment 2012; Vol. 16: No. 39
 7. Инструкция по медицинскому применению лекарственного препарата Элапраза от 15.08.2017 года/ Instrukciya po medicinskomu primeneniyu lekarstvennogo preparata E'lapraza ot 15.08.2017 goda
 8. Инструкция по медицинскому применению лекарственного препарата Хантераза от 25.01.2018 года/ Instrukciya po medicinskomu primeneniyu lekarstvennogo preparata Xanteraza ot 25.01.2018 goda
 9. Е. Красильникова «Впервые в России собраны и обобщены все данные по орфанным заболеваниям». Медвестник 2019 [Электронный ресурс] URL: <https://medvestnik.ru/content/news/Vpervye-v-Rossii-sobran-y-i-obobshheny-vse-dannye-po-orfannym-zabolevaniyam.html/> Е. Krasil'nikova «Vpervy'e v Rossii sobrany` i obobshheny` vse dannyye po orfanny'm zabolevaniyam». Medvestnik 2019
 10. Федеральный закон от 21.11.2011 N 323-ФЗ (ред. от 29.05.2019) «Об основах охраны здоровья граждан в Российской Федерации»/ Federal'ny'j zakon ot 21.11.2011 N 323-FZ (red. ot 29.05.2019) «Ob



- osnovaх охраны` zdorov`ya grazhdan v Rossijskoj Federacii»
11. Приказа Министерства Здравоохранения Российской Федерации от 26 апреля 2012 г. N 403 «О порядке ведения Федерального регистра лиц, страдающих жизнеугрожающими и хроническими прогрессирующими редкими (орфанными) заболеваниями, приводящими к сокращению продолжительности жизни граждан или их инвалидности, и его регионального сегмента»/ Pravitel`stva Rossijskoj Federacii ot 26 aprelya 2012 g. N 403 «O poryadke vedeniya Federal`nogo registra licz, stradayushhix zhizneugrozhayushhimi i khronicheskimi progressiruyushhimi redkimi (orfanny`mi) zabolevaniyami, privodyashimi k sokrasheniyu prodolzhitel`nosti zhizni grazhdan ili ix invalidnosti, i ego regional`nogo segmenta»
 12. Ягудина Р.И., Серпик В.Г., Куликов А.Ю. Фармакоэкономика для организаторов здравоохранения. Алгоритм принятия решений на основе фармакоэкономической оценки. // Фармакоэкономика: теория и практика. - 2014. - Т.2, №1. - С.5-127/ Kulikov A.Y., Serpik V.G., Yagudina R.I. Pharmacoeconomics for the Health Care Managers: decision-making algorithm based on pharmacoeconomic assessments // Pharmacoeconomics: theory and practice. - 2014. - Vol.2, №1. - P.13-20
 13. Young Bae Sohn et al. «Phase I/II clinical trial of enzyme replacement therapy with idursulfase beta in patients with mucopolysaccharidosis II (Hunter Syndrome)». Orphanet Journal of Rare Diseases 2013 8:42
 14. Young Bae Sohn et al. «To Evaluate the Safety and Efficacy of Hunterase (Idursulfase-beta) in Hunter Syndrome Patients < 6 Years of Age Receiving Idursulfase Enzyme Replacement Therapy». Molecular Genetics and Metabolism 114 (2015) 156-160
 15. Ягудина Р.И., Серпик В.Г. Методология анализа затрат // Фармакоэкономика: теория и практика. - 2016. - Т.4, №2. - С.5-9/ Serpik V.G., Yagudina R.I. Methodology of cost analysis // Pharmacoeconomics: theory and practice. - 2016. - Vol.4, №2.
 16. Приказа Минздрава России от 29 декабря 2018 года N 951н «Об утверждении стандарта специализированной медицинской помощи детям при мукополисахаридозе II типа (диагностика и инициация ферментной заместительной терапии)»/ Prikaza Minzdrava Rossii ot 29 dekabrya 2018 goda N 951n «Ob utverzhdenii standartov specializirovannoj medicinskoj pomoshhi detyam pri mukopolisaxaridoze II tipa (diagnostika i iniciaciya fermentnoj zamestitel`noj terapii)»
 17. [Электронный ресурс] URL: <http://grls.rosminzdrav.ru>
 18. [Электронный ресурс] URL: <http://zakupki.gov.ru>
 19. Тарифное соглашение на оплату медицинской помощи, оказываемой по территориальной программе обязательного медицинского страхования города Москвы на 2019 год/ Tarifnoe soglashenie na oplatu medicinskoj pomoshhi, okazyv`vaemoj po territorial`noj programme obyazatel`nogo medicinskogo straxovaniya goroda Moskvy` na 2019 god.
 20. Постановление Правительства РФ «О Программе государственных гарантий бесплатного оказания гражданам медицинской помощи на 2019 год и на плановый период 2020 и 2021 годов, правительство Российской Федерации Постановление от 10 декабря 2018 г.»/ Postanovlenie Pravitel`stva RF «O Programme gosudarstvenny`x garantii besplatnogo okazaniya grazhdanam medicinskoj pomoshhi na 2019 god i na planovy`j period 2020 i 2021 godov, pravitel`stvo Rossijskoj Federacii Postanovlenie ot 10 dekabrya 2018 g.».
 21. Методические рекомендации по способам оплаты медицинской помощи за счет средств обязательного медицинского страхования на 2019 год (ред. от 19.04.2019)/ Metodicheskie rekomendacii po sposobam oplaty` medicinskoj pomoshhi za schet sredstv obyazatel`nogo medicinskogo straxovaniya na 2019 god (red. ot 19.04.2019)
 22. Постановление Правительства РФ от 20.02.2006 N 95 (ред. от 04.06.2019) «О порядке и условиях признания лица инвалидом»/ Postanovlenie Pravitel`stva RF ot 20.02.2006 N 95 (red. ot 04.06.2019) «O poryadke i usloviyax priznaniya licza invalidom»
 23. [Электронный ресурс] URL: <http://www.gks.ru/>
 24. [Электронный ресурс] URL: <http://www.pfrf.ru/>
 25. Ягудина Р.И., Серпик В.Г., Угрехелидзе Д.Т. Методологические основы анализа «влияния на бюджет» // Фармакоэкономика: теория и практика. - 2015. - Т.3, №4. - С.5-8./ Serpik V.G., Ugrekheldize D.T., Yagudina R.I. Methodological basis for budget impact analysis // Pharmacoeconomics: theory and practice. - 2015. - Vol.3, №4.
 26. Ягудина Р.И., Куликов А.Ю., Новиков И.В. «Современная методология анализа чувствительности в фармакоэкономических исследованиях» ФАРМАКОЭКОНОМИКА. Том 3, №4, 2010 г./ Yagudina R.I., Kulikov A.Yu., Novikov I.V. «Sovremennaya metodologiya analiza chuvstvitel`nosti v farmakoe`konomicheskix issledovaniyax» FARMAKOE`KONOMIKA. Tom 3, №4, 2010 g.

PHARMACOECONOMIC EVALUATION OF DRUGS USED IN ENZYME REPLACEMENT THERAPY IN THE TREATMENT OF MUCOPOLYSACCHARIDOSIS TYPE II

Kulikov A. Yu., Kostina E. O.

First Moscow State medical university (Sechenov University), Moscow, Russia

Abstract: As part of this work, a pharmacoeconomic study of drugs used in enzyme replacement therapy (ERT) of patients with mucopolysaccharidosis (MPS) type II: idursulfase and idursulfase beta was carried out. As a result, it was found that the use of the drug idursulfase beta, is a more pharmacoeconomically beneficial treatment regimen for patients with MPS type II. Saving money when switching one patient from idursulfase to idursulfase beta makes up for one year - 7 377 746 rubles, for 5 years - 36 888 728 rubles. During the budget impact

analysis, it was determined that an increase in the proportion of patients up to 50% in the idursulfase beta will make it possible to achieve an overall savings of 796 845 270 rubles. for 5 years. The missed opportunities analysis showed that an additional 28 patients could be treated with money saved as a result of a change in treatment strategy.

Keywords: mucopolysaccharidosis type II, Hunter syndrome, cost analysis, cost minimization analysis, budget impact analysis, pharmacoeconomic.