

О Руководстве по оценке особой значимости для здоровья населения лекарственных препаратов в целях проведения ускоренной экспертизы при их регистрации

Рекомендация Коллегии Евразийской экономической комиссии от 3 октября 2023 года № 26.

Коллегия Евразийской экономической комиссии в соответствии со статьей 7 Соглашения о единых принципах и правилах обращения лекарственных средств в рамках Евразийского экономического союза от 23 декабря 2014 года, а также в целях формирования общего рынка лекарственных средств в рамках Евразийского экономического союза

рекомендует государствам – членам Евразийского экономического союза с даты опубликования настоящей Рекомендации на официальном сайте Евразийского экономического союза при определении возможности отнесения лекарственного препарата к группе лекарственных препаратов с особой значимостью для здоровья населения в целях проведения ускоренной экспертизы при их регистрации применять Руководство согласно приложению.

*Председатель Коллегии
Евразийской экономической комиссии*

М. Мясникович

ПРИЛОЖЕНИЕ
к Рекомендации Коллегии
Евразийской экономической комиссии
от 3 октября 2023 г. № 26

РУКОВОДСТВО

по оценке особой значимости для здоровья населения лекарственных препаратов в целях проведения ускоренной экспертизы при их регистрации

I. Общие положения

1. В соответствии с Правилами регистрации и экспертизы лекарственных средств для медицинского применения, утвержденными Решением Совета Евразийской экономической комиссии от 3 ноября 2016 г. № 78 (далее – Правила регистрации и экспертизы), и приложением № 27 к указанным Правилам, ускоренная экспертиза применяется при осуществлении регистрации представляющих особую значимость для здоровья населения лекарственных препаратов, в отношении которых продемонстрированы клинически значимые терапевтические преимущества по сравнению с существующими методами оказания медицинской помощи в государствах – членах Евразийского экономического союза (далее – государства-члены),

определяемых Экспертным комитетом по лекарственным средствам на основании обращения уполномоченного органа государства-члена.

2. Настоящее Руководство разработано в целях обеспечения единых подходов к оценке особой значимости лекарственных препаратов в целях применения ускоренной экспертизы в рамках регистрации лекарственного препарата в соответствии с разделом VII.IV Правил регистрации и экспертизы и приложением № 27 к указанным Правилам.

II. Сфера применения

3. Настоящее Руководство содержит рекомендации по составлению обращения о признании лекарственного препарата особо значимым для здоровья населения и подготовке необходимого обоснования согласно пункту 3 приложения № 27 к Правилам регистрации и экспертизы.

4. В соответствии с Правилами регистрации и экспертизы за обоснование особой значимости для здоровья населения лекарственного препарата отвечает заявитель.

III. Обоснование особой значимости для здоровья населения лекарственного препарата

5. К обращению о признании лекарственного препарата особо значимым для здоровья населения заявителем прилагаются документы, указанные в приложении № 27 к Правилам регистрации и экспертизы, а также обоснование особой значимости для здоровья населения лекарственного препарата. В обосновании следует представить информацию, подтверждающую, что лекарственный препарат представляет особую значимость для здоровья населения и в отношении него продемонстрированы клинически значимые терапевтические преимущества по сравнению с существующими методами оказания медицинской помощи в государствах-членах, а также сведения об объеме проведенных доклинических и клинических исследований лекарственного препарата. Обоснование представляется в виде краткого и исчерпывающего документа с достаточной степенью детализации (в регистрационном досье лекарственного препарата следует представить полнотекстовые версии источников и их перевод на русский язык). Также следует представить данные, описывающие потребность системы здравоохранения во внедрении в клиническую практику нового лекарственного препарата для лечения или профилактики целевой нозологии и тяжесть рассматриваемого заболевания (состояния), подтвердить терапевтическую ценность рассматриваемого лекарственного препарата, установленную в рамках клинических исследований, а также оценить степень достаточности и репрезентативности прилагаемых результатов клинических исследований.

6. Отнесение лекарственного препарата к особо значимым для здоровья населения в целях проведения его ускоренной экспертизы определяется посредством его оценки по

каждому пункту подразделов 1 – 4 настоящего раздела (в соответствии с приложением № 1).

7. При наличии у лекарственного препарата нескольких показаний для медицинского применения, оценку особой значимости допускается проводить, как по одному показанию, так и по нескольким. Выбор показания для оценки особой значимости, а также их количество определяет заявитель. В случае оценки особой значимости по нескольким показаниям необходимо предоставление такой оценки для каждого показания отдельно.

8. В случае если по результатам оценки критериев, указанных в приложении № 1 к настоящему Руководству, получено одно из заключений степени значимости ("Отсутствует", "Условная" или "Достаточных доказательств нет"), лекарственный препарат не признается обладающим особой значимостью для здоровья населения.

1. Обоснование потребности здравоохранения.

Оценка доступных методов оказания медицинской помощи

9. Потребность системы здравоохранения устанавливается при отсутствии в рамках заявленного в целях определения статуса особой значимости показания:

альтернативных разрешенных к применению лекарственных препаратов, обладающих этиотропным или патогенетическим действием, сопоставимых по эффективности и обладающих приемлемым профилем безопасности;

альтернативных сопоставимых по эффективности нефармакологических методов оказания медицинской помощи и обладающих приемлемым профилем безопасности.

10. Потребность системы здравоохранения следует обосновать с учетом показания к медицинскому применению лекарственного препарата, поэтому следует максимально уточнить целевое показание и область применения лекарственного препарата в информации о данном лекарственном препарате (общей характеристике лекарственного препарата, инструкции по медицинскому применению (листке-вкладыше)).

11. Следует оценить потребность здравоохранения с учетом удовлетворенности применения разрешенных методов лечения и (или) профилактики. Для оценки разрешенных и применяемых лекарственных препаратов используются данные реестров лекарственных средств государств-членов, единого реестра зарегистрированных лекарственных средств Евразийского экономического союза, а также соответствующие клинические рекомендации, утвержденные уполномоченными органами государств-членов. Следует отдельно проанализировать и оценить применяемые режимы, схемы и линии терапии на разных стадиях заболевания.

12. При наличии разрешенных к применению альтернативных методов оказания медицинской помощи, сопоставимых по эффективности и обладающих приемлемым

профилем безопасности, потребность системы здравоохранения может быть обоснована отсутствием реальной возможности использования альтернативных методов оказания медицинской помощи на основании сведений об отсутствии возможности их использования в государствах-членах.

13. В заключительной части обоснования следует сделать вывод о потребности системы здравоохранения в лекарственном препарате для лечения и (или) профилактики данного заболевания, заявленном на предоставление статуса особой значимости с целью проведения ускоренной экспертизы при регистрации, с присвоением степени значимости в соответствии со шкалой оценки критериев, указанной в приложении № 1 к настоящему Руководству.

2. Определение тяжести заболевания

14. Заявителем представляются данные, оценивающие тяжесть заболевания (состояния) по выбранному для оценки особой значимости показанию к применению, планируемому регистрации лекарственному препарату в государстве-члене. Дополнительно рекомендуется представить данные о тяжести рассматриваемых заболеваний в государствах-членах. В случае отсутствия официальной эпидемиологической информации о рассматриваемом заболевании в государствах-членах могут быть использованы зарубежные источники с обоснованной экстраполяцией данных на население государств-членов.

15. Тяжесть заболевания может оцениваться по ряду показателей, которые можно подразделить на популяционные и отдельные параметры, характерные для подгруппы пациентов с конкретной патологией. Популяционные параметры отражают характеристики течения заболевания и ущерба для здоровья в общей популяции пациентов государств-членов, в подгруппе общей популяции пациентов (например, трудоспособное население) или популяции пациентов рассматриваемого класса заболеваний (например, злокачественные новообразования) за определенный период времени (как правило, календарный год). Отдельные параметры, характерные для конкретного заболевания, отражают вероятность развития неблагоприятного исхода у пациента в популяции пациентов с таким же диагнозом. Например, смертность (количество смертей ввиду рассматриваемого заболевания по отношению к общему количеству смертей в популяции за год) является популяционным параметром, в то время как летальность (количество умерших по отношению к количеству пациентов с таким же диагнозом за одинаковый период) относится к отдельным параметрам, характерным для конкретного заболевания. Популяционные параметры отражают вклад заболеваний в общую структуру смертности и (или) инвалидизации населения. Популяционные параметры тяжести заболевания отражают большую тяжесть по сравнению с заболеваниями, чей вклад можно оценить только по индивидуальным показателям тяжести заболевания.

16. Минимальный объем представляемого обоснования включает в себя данные о смертности (летальности) и (или) инвалидизации пациентов ввиду заболевания, соответствующего показанию к применению лекарственного препарата, выбранного для оценки особой значимости, либо данные о влиянии на отдельные характеристики заболевания в случае отсутствия значимого вклада заболевания в описанные выше показатели.

В качестве критериев, оценивающих тяжесть заболевания, рекомендуется использовать популяционные или отдельные количественные параметры, характерные для конкретного заболевания, и в качестве дополнения – качественные данные. Данные о тяжести заболевания могут быть получены из опубликованных научных медицинских источников, статистических наблюдений, клинических и эпидемиологических исследований, а также могут быть рассчитаны заявителем на основании статистических, эпидемиологических и клинических данных самостоятельно при представлении методики и результатов расчета. Рекомендуется ориентироваться на данные государств-членов и убедительные международные данные при представлении результатов (расчетов) тяжести рассматриваемых заболеваний. Следует представить данные за последний доступный год, а также данные в динамике (при наличии).

17. Рекомендуется представлять данные в виде краткого отчета. Все представленные данные, тезисы и выводы следует обосновать количественными показателями. Все представленные материалы следует сопровождать библиографическими ссылками на соответствующую литературу. Показатели, рассчитанные заявителем самостоятельно, следует сопровождать приведением методики выполнения расчетов либо ссылаться на опубликованные методики расчетов.

18. При этом популяционные параметры следует основывать на данных, относящихся к государству-члену. Допускается использование зарубежных данных для перерасчета популяционных параметров с учетом населения государства-члена (например, перерасчет распространенности заболевания для Российской Федерации превышает 15 случаев на 100 000 населения по отношению к общей численности населения в расчетный период). Отдельные параметры, характерные для конкретного заболевания, могут быть представлены зарубежными данными.

19. Примеры оценки количественных показателей, с помощью которых могут быть оценены показатели смертности (летальности) и инвалидизации, представлены в таблице.

Таблица

Примеры оценки количественных показателей исходов заболеваний

Критерий тяжести	Популяционные параметры	Отдельные параметры, характерные для конкретного заболевания
	1. Смертность	

Смертность (летальность)	2. YLL* 3. Потерянные годы жизни вследствие заболевания	1. Летальность 2. Время до смерти после события (постановки диагноза, развития осложнения и т. д.)
Инвалидизация	1. Доля инвалидов в общей структуре инвалидизации 2. YLD** 3. DALY***	1. Доля инвалидов по отношению ко всем пациентам с поставленным диагнозом 2. Время до потери трудоспособности (полной или частичной) после события (постановки диагноза, развития осложнения и т. д.)

* Годы потерянной жизни в результате преждевременной смертности (YLL – years life lost);

** Годы жизни, потерянные вследствие нарушения здоровья (без учета смертельных исходов) (YLD – years lost due to disability);

*** Годы жизни, скорректированные на нетрудоспособность (DALY – disability-adjusted life-years).

20. Для оценки вклада заболевания в общую структуру смертности и (или) инвалидизации следует рассчитать долю (в процентах) рассматриваемого заболевания (или группы заболеваний) в общей структуре рассматриваемого показателя в общей популяции населения или в структуре класса Международной статистической классификации болезней и проблем, связанных со здоровьем, десятого пересмотра (далее – МКБ-10) (или другой актуальной версии МКБ, принятой в государстве-члене), к которому относится показание к применению лекарственного препарата, выбранное для оценки особой значимости в государстве-члене (референтное значение оцениваемого показателя). Референтным значением смертности являются данные официального статистического наблюдения в государстве-члене или ВОЗ на последний доступный год. Референтным значением инвалидизации (количество лиц, официально признанных инвалидами в государстве-члене) являются данные официального статистического наблюдения в государстве-члене на последний доступный год. Референтными значениями числа лет потерянной жизни в результате преждевременной смертности (YLL), числа лет жизни, потерянной вследствие нарушения здоровья (без учета смертельных исходов) (YLD) и числа лет жизни, скорректированных на нетрудоспособность (DALY), являются данные ВОЗ на последний доступный год.

21. Заявителю дополнительно рекомендуется представить следующие данные о заболевании, к которому относится рассматриваемое показание к применению для оценки особой значимости лекарственного препарата (при наличии):

- а) распространенность и заболеваемость;
- б) гендерные и возрастные характеристики пациентов, возраст манифестации;

в) вклад в структуру смертности общей популяции государства-члена или в структуру класса МКБ-10 (или другой актуальной версии МКБ, принятой в государстве-члене);

г) летальность, время до смерти, данные о сокращенной ожидаемой продолжительности жизни по отношению к среднему значению в государстве-члене;

д) потерянные годы жизни и потерянные годы качественной жизни ввиду заболевания;

е) стратификация пациентов по стадиям и формам заболевания;

ж) стратификация пациентов по стадиям инвалидизации, возраст инвалидизации;

з) скорость прогрессии пациентов в осложненные формы заболевания. Стратификация осложнений на хронические и острые с указанием их частоты. Влияние заболевания на функционирование прочих органов и систем организма (например, потеря фертильности, неспособность выносить плод и т. д.);

и) смертность и инвалидизация в подгруппе пациентов с определенной стадией заболевания;

к) оценка клинического влияния заболевания на других пациентов. Для инфекционных заболеваний возможно представление данных об индексе репродукции заболевания, отражающих количество новых случаев заболевания в популяции населения от одного носителя. Для заболеваний, преобладающих у беременных женщин, возможно представление данных о частоте развития заболевания плода или негативного влияния на протекание беременности или здоровье плода;

л) количественная оценка качества жизни: баллы по общим и специализированным опросникам, добавленные годы жизни с поправкой на качество (показатели QALY), показатели полезности качества жизни (utility);

м) оценка влияния заболевания на физическое и психическое развитие пациента.

В инициативном порядке возможно представление иных релевантных данных, позволяющих количественно оценить критерии, связанные с тяжестью рассматриваемого заболевания.

22. На основании представленных заявителем данных проводится экспертиза в соответствии со шкалой критериев согласно приложению № 1 к настоящему Руководству. Источники данных и методика расчета вклада заболевания в общую структуру смертности и (или) инвалидизации приведены в приложении № 2.

3. Оценка терапевтической ценности

23. Терапевтическая ценность определяется как наличие преимуществ эффективности и (или) безопасности нового лекарственного препарата по клинически значимым исходам в сравнении со стандартной терапией.

24. В случае если для заявляемого лекарственного препарата зарегистрированы аналогичные по показаниям лекарственные препараты, заявителю следует представить

результаты сравнительных клинических исследований, подтверждающих наличие у рассматриваемого лекарственного препарата значимых преимуществ в клинической эффективности и (или) безопасности в рамках целевого показания в сравнении с альтернативами. В случае отсутствия зарегистрированных (разрешенных) лекарственных препаратов с аналогичным профилактическим или терапевтическим показанием к применению заявителю следует представить данные клинических исследований, подтверждающих наличие у лекарственного препарата терапевтической ценности, выраженной через клиническую эффективность и безопасность по рассматриваемому показанию к его применению.

25. Представленные результаты клинических исследований нового лекарственного препарата должны подтверждать наличие у лекарственного препарата значимых преимуществ клинической эффективности и (или) безопасности по первичным переменным, отражающим клинически значимые исходы заболевания (например, такими первичными переменными являются: выздоровление, смертность, годы жизни и т. д.). В случае отсутствия возможности использования вышеуказанной переменной, допускается представление результатов клинических исследований, подтверждающих наличие у лекарственного препарата значимых преимуществ клинической эффективности и (или) безопасности по суррогатным переменным.

26. Заявитель дополнительно может представить данные о наличии у лекарственного препарата преимуществ в удобстве применения. Удобство применения препарата не является определяющим аспектом для обоснования терапевтической ценности, но может иметь дополнительное значение при рассмотрении обращения о признании лекарственного препарата особо значимым для здоровья населения. Под удобством применения понимается уменьшение кратности применения препарата по сравнению с одобренной терапией и (или) использование пути введения, с меньшим риском для пациента или более удобно для него (например, замена парентерального введения на пероральное применение).

27. На основании представленных заявителем данных проводится экспертиза в соответствии со шкалой критериев согласно приложению № 1 к настоящему Руководству.

4. Весомость доказательств

28. К категории убедительных данных относятся результаты рандомизированных клинических исследований с параллельным контролем. При этом группа контроля, первичная переменная (конечная точка) и гипотеза исследования выбираются в соответствии с Руководством по общим вопросам клинических исследований (приложение к Рекомендации Коллегии Евразийской экономической комиссии от 17 июля 2018 г. № 11) и Руководством по применению принципов биостатистики в клинических исследованиях лекарственных препаратов (приложение к Рекомендации

Коллегии Евразийской экономической комиссии от 3 ноября 2020 г. № 19). Результаты такого клинического исследования должны подтверждать гипотезу о наличии у лекарственного препарата эффективности на основании анализа первичной или комплексной переменной, анализ безопасности следует проводить на достаточной по численности популяции.

29. К категории относительно убедительных (в зависимости от характеристик лекарственного препарата) данных относятся результаты:

исследований эффективности и безопасности (как правило, в рамках клинических исследований второй или третьей фазы), в которых данные получены путем сопоставления с историческим контролем при обосновании невозможности включения группы сравнения, либо данные получены при оценке безопасности в популяции, которая меньше популяции, указанной в Руководстве по общим вопросам клинических исследований. На основании анализа первичной переменной результаты свидетельствуют о значимой клинической и статистической эффективности лекарственного препарата. Для лекарственных препаратов с отсроченным анализом первичной переменной (например, общая выживаемость) возможно рассмотрение результатов по вторичным переменным (например, выживаемость без прогрессирования или ответ на терапию для противоопухолевых препаратов);

исследований, проведенных с контрольной группой, не соответствующей Руководству по общим вопросам клинических исследований, длительность которых не позволяет оценить эффективность на прогнозируемом периоде применения лекарственного препарата.

Под отсутствием достаточных доказательств понимается только наличие проведенных доклинических исследований, исследований фармакокинетики и фармакодинамики без данных (результатов), подтверждающих клиническую эффективность лекарственного препарата. Отсутствие достаточных доказательств также включает в себя случаи представления результатов исследований, не свидетельствующих об эффективности лекарственного препарата по первичной или комплексной переменной, за исключением необходимости оценки первичной или комплексной переменной исключительно при отдаленных сроках (более года).

ПРИЛОЖЕНИЕ № 1
к Руководству по оценке особой
значимости для здоровья
населения лекарственных
препаратов в целях проведения
ускоренной экспертизы
при их регистрации

ШКАЛА ОЦЕНКИ

критериев особой значимости для здоровья населения лекарственного препарата

--	--	--	--

Критерий	Степень	Описание
1. Потребность здравоохранения	максимальная	в государствах-членах отсутствуют альтернативные терапевтические, профилактические методы и лекарственные препараты, обладающие этиотропным или патогенетическим действием для целевой популяции и приемлемым профилем безопасности
	умеренная	в государствах-членах имеются альтернативные терапевтические и (или) профилактические методы и лекарственные препараты с незначительным (ограниченным) влиянием на клинически значимые исходы заболевания для целевой популяции и (или) профиль безопасности этих препаратов является неопределенным или неудовлетворительным
	отсутствует	в государствах-членах альтернативные терапевтические и (или) профилактические методы и лекарственные препараты, обладающие этиотропным или патогенетическим действием для целевой популяции и обладающие приемлемым профилем безопасности, доступны к использованию
2. Тяжесть заболевания	безусловная	показание к применению лекарственного препарата (группа заболеваний), обосновывающее его особую значимость для здоровья населения, вносит значительный вклад в структуру смертности и (или) инвалидизации общей популяции населения или класса заболевания по МКБ-10 на основании популяционных характеристик
	присутствует	показание к применению лекарственного препарата (группа заболеваний), обосновывающее его особую значимость для здоровья населения, характеризуется значимой тяжестью заболевания на основании оценки отдельных параметров, характерных для конкретного заболевания

	условная	показание к применению лекарственного препарата (группа заболеваний), обосновывающее его особую значимость для здоровья населения, не вносит значимый вклад в структуру смертности и (или) инвалидизации общей популяции населения или класса заболевания по МКБ-10 на основании популяционных показателей либо представлены нерелевантными данными. Отдельные параметры тяжести рассматриваемого заболевания также не продемонстрировали значимого влияния на жизнь и здоровье пациентов либо представлены нерелевантными данными
3. Терапевтическая ценность	максимальная	лекарственный препарат (в том числе при его применении в комбинации) обладает значимым преимуществом по профилю эффективности и (или) безопасности по сравнению с альтернативами по результатам клинических исследований по первичным переменным, отражающим клинически значимые исходы заболевания.
	важная	лекарственный препарат (в том числе при его применении в комбинации) обладает значимым преимуществом по профилю эффективности и (или) безопасности по сравнению с альтернативами по результатам клинических исследований по суррогатным переменным.
	отсутствует	лекарственный препарат по результатам клинических исследований не обладает значимым преимуществом по сравнению с альтернативами
	убедительны	собраны исчерпывающие клинические данные, соответствующие Руководству по применению принципов биостатистики в клинических исследованиях лекарственных препаратов (приложение к Рекомендации Коллегии Евразийской экономической комиссии от 03

		ноября 2020 г. № 19) и Руководству по общим вопросам клинических исследований (приложение к Рекомендации Коллегии Евразийской экономической комиссии от 17 июля 2018 г. № 11)
4. Весомость доказательств	относительно убедительны	клинические данные, соответствующие Руководству по применению принципов биостатистики в клинических исследованиях лекарственных препаратов и Руководству по общим вопросам клинических исследований собраны частично. Предполагается проведение пострегистрационных клинических исследований
	достаточных доказательств нет	собранных клинических данных недостаточно для оценки особой значимости лекарственного препарата или они не соответствуют Руководству по применению принципов биостатистики в клинических исследованиях лекарственных препаратов и Руководству по общим вопросам клинических исследований

Особая значимость для здоровья населения лекарственного препарата подтверждается, если по шкале оценки критериев особой значимости лекарственного препарата установлены критерии со следующей степенью:

- критерий "потребность здравоохранения" – не ниже степени "умеренная";
- критерий "тяжесть заболевания" – не ниже степени "присутствует";
- критерий "терапевтическая ценность" – не ниже степени "важная";
- критерий "весомость доказательств" – не ниже степени "относительно убедительны".

Лекарственный препарат не признается особо значимым для здоровья населения, если хотя бы по одному из оцениваемых критериев получена степень "отсутствует", и (или) "условная", и (или) "достаточных доказательств нет" и в отношении такого препарата невозможно применение процедуры ускоренной экспертизы.

ПРИЛОЖЕНИЕ № 2
к Руководству по оценке особой
значимости для здоровья
населения лекарственных

РАСЧЕТ

вклада рассматриваемого заболевания, к которому относится показание для применения лекарственного препарата, выбранного для обоснования его особой значимости для здоровья населения, в структуру общей смертности и (или) инвалидизации

1. Показатели смертности и (или) инвалидизации следует рассчитывать в общей популяции пациентов, в подгруппе общей популяции пациентов или популяции пациентов рассматриваемого заболевания (группы заболеваний) за определенный период (как правило, календарный год). В случае отсутствия официальной эпидемиологической информации о рассматриваемом заболевании могут быть использованы зарубежные источники с обоснованной экстраполяцией на население государств – членов Евразийского экономического союза (далее – государства-члены). Данные показатели могут быть оценены различными количественными метриками. Цель представляемых данных – оценить вклад показания для применения лекарственного препарата, выбранного для обоснования его особой значимости для здоровья населения, (в процентах) в структуру смертности и (или) инвалидизации:

а) по отношению к общей смертности и (или) инвалидизации населения в государстве-члене (государствах-членах) (вклад показания в общую структуру показателя). Например, вклад смертности от рака легкого в общую структуру смертности Республики Армения, или Республики Беларусь, или Республики Казахстан, или Кыргызской Республики или Российской Федерации.

б) по отношению к смертности и (или) инвалидизации в рассматриваемом классе заболеваний Международной статистической классификации болезней и проблем, связанных со здоровьем десятого пересмотра (далее – МКБ-10) (вклад показания в структуру показателя по МКБ-10) (или другой актуальной версии МКБ, принятой в государстве-члене). Например, вклад смертности от рака легкого в структуру смертности класса МКБ-10 "II Онкология" в конкретном государстве-члене (государствах-членах).

При этом вклад показания для применения лекарственного препарата в общую структуру смертности сопряжен с большей тяжестью заболевания, чем вклад предлагаемого показания для применения лекарственного препарата в структуру показателя по классу МКБ-10 (или другой актуальной версии МКБ, принятой в государстве-члене).

Смертность может быть оценена как общее количество умерших по причине заболевания, коэффициент смертности рассматриваемого заболевания и (или) годы потерянной жизни в результате преждевременной смертности (YLL – years life lost).

Для расчета лет потерянной жизни в результате преждевременной смертности (YLL) используется следующая формула:

$$YLL = x - a,$$

где:

x – максимальная ожидаемая продолжительность жизни для возрастной группы;

a – возраст на момент смерти.

Общее значение YLL получается путем суммирования всех лет недожития по каждому случаю смерти, произошедшему в определенный временной промежуток (как правило, год).

Данный показатель был оценен ВОЗ для ряда заболеваний по каждой стране (<https://www.who.int/data/gho/data/themes/mortality-and-global-health-estimates/global-health-estimates-leading-causes-of-dalys>).

Инвалидизация может быть оценена как общее количество лиц, признанных инвалидами по причине рассматриваемого заболевания, а также с помощью показателей, оценивающих влияние заболевания на популяционное здоровье, в том числе показатель количества лет жизни, потерянной вследствие нарушения здоровья (без учета смертельных исходов) (YLD – years lost due to disability).

Для расчета лет жизни, потерянной вследствие нарушения здоровья (YLD) применяется следующая формула:

$$YLD = I \times Dw,$$

где:

I – количество лиц возраста x с рассматриваемым нарушением здоровья;

Dw – вес (серьезность (тяжесть) нарушения здоровья для лица возраста x).

Общее значение YLD получается путем суммирования всех случаев нарушения здоровья населения в определенный период. Данный показатель был оценен ВОЗ для ряда заболеваний по каждой стране (<https://www.who.int/data/gho/data/themes/mortality-and-global-health-estimates/global-health-estimates-leading-causes-of-dalys>).

При влиянии заболевания, относящегося к планируемому к регистрации показанию к применению лекарственного препарата, выбранного для обоснования его особой значимости для здоровья населения, на смертность и инвалидизацию возможны оценка 2 показателей в отдельности или использование интегральных показателей, отражающих влияние на смертность и инвалидизацию (официальная инвалидность и (или) влияние на здоровье) одновременно.

Интегральным показателем смертности и инвалидизации являются годы жизни, скорректированные на нетрудоспособность (disability-adjusted life-years, DALY). Показатель DALY применяется ВОЗ для оценки бремени заболеваний. Сумма всех DALY популяции показывает "разрыв" между текущим состоянием здоровья популяции и идеальной ситуацией, когда все население страны проживает без болезней и инвалидности в течение всей жизни. Показатель DALY определяется суммой компонентов YLL и YLD:

$$\text{DALY} = \text{YLL} + \text{YLD}$$

Данный показатель был оценен ВОЗ для ряда заболеваний по каждой стране (<https://www.who.int/data/gho/data/themes/mortality-and-global-health-estimates/global-health-estimates-leading-causes-of-dalys>), а также в рамках проекта "Глобальное бремя заболевания" (Global Burden of Disease) и размещен на сайте <https://vizhub.healthdata.org/gbd-compare/>.

Рассчитанные ВОЗ показатели представлены для ряда заболеваний или более общих нозологий.

В ряде случаев недостаточно опубликованных данных для самостоятельного расчета показателей, на основании которых определяется тяжесть показания к применению, выбранного для обоснования его особой значимости для здоровья населения, лекарственного препарата, планируемого к регистрации. В таком случае возможен расчет показателей, на основании которых определяется тяжесть показаний к применению лекарственного препарата для группы заболеваний, к которым относится показание к применению рассматриваемого лекарственного препарата с соответствующим международным непатентованным наименованием. Группа заболеваний определяется наличием данных в более общей нозологии в соответствии с выделенными категориями МКБ-10 (или другой актуальной версии МКБ, принятой в государстве-члене) (в порядке приоритета).

Расчет доли показания (в процентах) в общей структуре показателя или в структуре класса МКБ-10 (или другой актуальной версии МКБ, принятой в государстве-члене)

2. При наличии опубликованных данных или возможности самостоятельного расчета критерий рассчитан строго для рассматриваемого показания к применению, выбранного для обоснования особой значимости для здоровья населения, лекарственного препарата с соответствующим международным непатентованным наименованием, планируемого к регистрации.

Расчет доли группы заболеваний (в процентах), к которому относится показание к применению лекарственного препарата, в общей структуре показателя или в структуре класса МКБ-10 (или другой актуальной версии МКБ, принятой в государстве-члене)

3. При отсутствии данных, указанных в пункте 2 настоящего документа, выбранный критерий рассчитан для класса заболеваний четырехзначной рубрики МКБ-10 (A00.0) (или другой актуальной версии МКБ, принятой в государстве-члене).

4. При отсутствии данных указанных в пункте 3 настоящего документа, выбранный критерий рассчитан для класса заболеваний трехзначной рубрики МКБ-10 (A00) (или другой актуальной версии МКБ, принятой в государстве-члене).

5. При отсутствии данных, указанных в пункте 4 настоящего документа, выбранный критерий рассчитан для класса заболеваний нескольких трехзначных рубрик МКБ-10 (A00 + A01) (или другой актуальной версии МКБ, принятой в государстве-члене).

Расчет доли нозологического класса (в процентах), к которому относится показание к применению лекарственного препарата, в общей структуре показателя

6. При отсутствии данных, указанных в пунктах 2 – 4 настоящего документа, выбранный критерий рассчитан для класса заболеваний класса МКБ-10 (класс I).

7. При оценке тяжести заболевания, приведенной в пункте 6 настоящего документа, рекомендуется представить данные о потенциальной доле показания к применению лекарственного препарата в рассматриваемом показателе в рамках класса МКБ-10 (или другой актуальной версии МКБ, принятой в государстве-члене) на основании данных о смертности и инвалидизации, а также данных о распространенности заболевания в рамках рассматриваемого класса МКБ-10 (или другой актуальной версии МКБ, принятой в государстве-члене). Источниками такой информации могут являться данные научной медицинской литературы, данные медицинских регистров, статистического наблюдения и т. д. Например, при отсутствии соответствующих данных для рака легкого возможно представить долю онкологии в общей смертности, но при этом необходимо указать долю смертности и (или) инвалидизации или распространенности рака легкого в онкологии (класс МКБ).