

ВІДГУК РЕЦЕНЗЕНТА

кандидата фармацевтичних наук, доцента, доцента закладу вищої освіти

кафедри фармацевтичного менеджменту та маркетингу

Національного фармацевтичного університету

Жадько Світлани Вікторівни

про наукову новизну, теоретичне і практичне значення

результатів дисертаційної роботи

Тутука Володимира Володимировича на тему: «Науково-методичні підходи до підвищення доступності фармацевтичної допомоги пацієнтам з рідкісними метаболічними захворюваннями»

Дисертаційна робота подана до спеціалізованої вченої ради ДФ 64.605.080 Національного фармацевтичного університету МОЗ України, утвореної наказом Національного фармацевтичного університету № 116-Адм. від 22.12.2023 р. для розгляду та проведення разового захисту дисертації на здобуття ступеня доктора філософії з галузі знань 22 «Охорона здоров'я» за спеціальністю 226 «Фармація, промислова фармація».

Актуальність теми дисертації. Орфанні захворювання та їх лікування мають значний вплив на бюджет і є новим глобальним пріоритетом охорони здоров'я. Можливість належного безперервного лікування орфанних пацієнтів визначається доступністю ефективних і безпечних медичних технологій, при цьому проблема задоволення медичних потреб таких пацієнтів поглиблюється на тлі обмеженості ресурсів. До рідкісних метаболічних захворювань, що пов'язані з генетичним порушенням амінокислотного обміну, належать фенілкетонурія (ФКУ) й гіперфенілаланінемія (ГФА). Ці захворювання мають тяжкий прогресуючий перебіг і потребують високовартісного лікування. Для лікування класичної форми ФКУ, що зустрічається у 98 % випадків, успішно використовується нутритивна терапія, а саме продукти для спеціального медичного харчування (СМХ). Держава повинна гарантувати доступ орфанних

пацієнтів до якісної медичної допомоги, зокрема лікарських засобів (ЛЗ), медичних виробів і спеціальних низькобілкових харчових продуктів. Проблеми із фармацевтичним забезпеченням пацієнтів виникають через дефіцит фінансування та недосконалість нормативно-правової бази, що може спричинити тяжкі наслідки для пацієнтів.

Отже, тема дисертації Тутука Володимира Володимировича «Науково-методичні підходи до підвищення доступності фармацевтичної допомоги пацієнтам з рідкісними метаболічними захворюваннями» є актуальною для підвищення якості життя пацієнтів шляхом забезпечення справедливого й рівного доступу до якісної медичної допомоги, а проведені дослідження — важливими для сучасної фармацевтичної науки і практики.

Зв'язок роботи з науковими програмами, планами, темами. Дисертаційна робота виконана згідно з планом науково-дослідних робіт Національного фармацевтичного університету «Організація фармацевтичної справи, менеджмент і маркетинг у фармації», шифр державної реєстрації № 01144000954.

Ступінь обґрунтованості і достовірності наукових положень, висновків і рекомендацій у дисертаційній роботі. Дисертаційна робота Тутука В.В. виконана на належному науковому рівні із застосуванням сучасних методів маркетингових, клініко-економічних, соціологічних, статистичних наукових досліджень, що відповідають визначеним завданням. Достовірність наукових положень, висновків і рекомендації не викликає сумніву, вона підтверджується численними реперезентативними даними, належною науковою обробкою й інтерпретацією отриманих результатів. Результати досліджень представлені на науково-практичних конференціях, опубліковані в наукових статтях і наукових методичних рекомендаціях.

Наукова новизна результатів дослідження. Автором обґрунтовані науково-методичні підходи до удосконалення фармацевтичної допомоги хворим на рідкісні метаболічні захворювання ФКУ/ГФА на основі комплексної оцінки технологій фармакотерапії та нутритивної терапії.

У дисертації вперше проаналізований ринковий асортимент продуктів для СМХ в Україні, визначена їх соціально-економічна доступність для пацієнтів із рідкісними метаболічними захворюваннями.

Досліджено стан і проблеми державного забезпечення пацієнтів продуктами для СМХ, яке здійснюється шляхом централізованих і децентралізованих тендерних закупівель.

Визначені підходи до удосконалення нормативно-правового регулювання надання ефективної фармацевтичної допомоги пацієнтам із рідкісними метаболічними захворюваннями

Проведені фармакоеконімічні дослідження нутритивної терапії пацієнтів із ФКУ/ГФА з використанням методів «вартість захворювання» і «вплив на бюджет».

За результатами опитування пацієнтів визначені проблеми і напрями задоволення потреб у сучасних і доступних продуктах для СМХ.

Розроблена модель реалізації програми забезпечення пацієнтів із рідкісними метаболічними захворюваннями (ФКУ/ГФА) доступною фармацевтичною допомогою.

Автором удосконалені методичні підходи до проведення оцінки технологій нутритивної та фармакологічної терапії пацієнтів, що страждають на порушення метаболізму амінокислот, з урахуванням специфіки захворювання.

Набули подальшого розвитку: дослідження епідеміологічних показників рідкісних метаболічних захворювань на обласному та регіональному рівні; методика опитування (дорослих пацієнтів і батьків хворих дітей) щодо фармацевтичного забезпечення за державними та регіональними цільовими програмами; методика прогнозування витрат на лікування орфанних захворювань у територіально-адміністративних одиницях країни.

Практичне значення результатів дослідження. Результати дослідження у формі наукових методичних рекомендацій впроваджені у практичну діяльність Івано-Франківської обласної клінічної лікарні і ГО «Українське об'єднання

хворих на фенілкетонурию «Особливі діти», що підтверджено актами впровадження.

Автор дисертаційної роботи є членом робочої групи з питань рідкісних (орфанних) захворювань (наказ МОЗ України від 11.11.2022 р. № 2041), матеріали його наукових досліджень використані при підготовці проекту наказу МОЗ України від 07.09.2022 р. № 1620 «Про мережу референтних центрів з питань рідкісних (орфанних) захворювань», а також Концепції розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, на 2021-2026 рр. (затверджена розпорядженням КМУ від 28.4.2021 р. № 377-р.)

Матеріали досліджень стали основою для регіональної програми із забезпечення мешканців Івано-Франківської територіальної громади, які страждають на орфанні захворювання, лікарськими засобами й харчовими продуктами для спеціального дієтичного споживання на 2024-2025 рік.

Характеристика оформлення та змісту дисертаційної роботи.

Дисертаційна робота за структурою відповідає вимогам, що висуваються до дисертацій, складається зі змісту, переліку умовних позначень, вступу, основної частини (огляду літературних джерел, загальної методології та методів дослідження, трьох експериментальних розділів з результатами власних досліджень і розробок автора), висновків, переліку використаних джерел і додатків.

У вступі обґрунтовано вибір теми дослідження, чітко визначено мету і послідовність завдань, окреслено об'єкт і предмет дослідження, наведено методи дослідження, показано наукову новизну, теоретичне і практичне значення тощо.

У першому розділі висвітлена проблема рідкісних захворювань на глобальному рівні, визначені особливості оцінки медичних технологій для їх лікування. На основі вивчення великого обсягу закордонних і вітчизняних джерел наукової літератури автором виділені проблемні і невирішені питання медичної і фармацевтичної допомоги орфанним пацієнтам.

У другому розділі автор наводить методологію вирішення завдань дисертаційного дослідження, його основні напрями, загальну методику, етапи, методи дисертаційного дослідження і його загальний алгоритм.

У третьому розділі автор проводить оцінку доступності медичних технологій лікування пацієнтів із ФКУ/ГФА. Здійснено аналіз вітчизняного ринку продуктів для СМХ (амінокислотних сумішей без фенілаланіну та інших низькобілкових продуктів, що можуть бути застосовані при метаболічних розладах). Проаналізовано лікарські призначення і споживання продуктів для СМХ за даними системи електронних закупівель. Проаналізовані ціни й показники доступності ЛЗ та продуктів для СМХ для пацієнтів із ФКУ/ГФА.

У четвертому розділі проведена оцінка технологій нутритивної й фармакологічної терапії пацієнтів з ФКУ/ГФА за клінічною й економічною ефективністю, безпекою і впливом на бюджет. Обґрунтовано склад і технологію продуктів для СМХ для пацієнтів, що страждають на порушення обміну амінокислот, розроблено прототип макаронних виробів. Визначено стан і основні проблеми фармацевтичного забезпечення пацієнтів із ФКУ. Проведено фармакоеконічний аналіз нутритивної терапії пацієнтів із ФКУ методом «впливу на бюджет».

У п'ятому розділі автором запропоновані напрями підвищення ефективності фармацевтичного забезпечення пацієнтів з ФКУ. На основі опитування пацієнтів визначені проблеми нутритивної терапії та шляхи удосконалення фармацевтичного забезпечення орфанних пацієнтів. Визначені напрями покращення організації закупівель ЛЗ та продуктів для СМХ для забезпечення потреб орфанних пацієнтів, запропоновано комплекс заходів для підвищення доступності фармацевтичної допомоги орфанним пацієнтам.

Висновки дисертаційної роботи відповідають поставленій меті і завданням дослідження, чітко й аргументовано представляють отримані результати.

Дисертація викладена на 196 сторінках друкованого тексту і складається з анотації, вступу, огляду літератури, методології та методів, розділів із результатами власних напрацювань, висновків, додатків, списку використаної

літератури, що містить 163 джерела (48 кирилицею та 125 латиницею) і додатків. Робота добре проілюстрована таблицями і рисунками.

Дисертаційна робота виконана в науковому стилі з дотриманням сучасних норм державної мови, її оформлення відповідає чинним вимогам Міністерства освіти і науки України.

Повнота викладу основних результатів дисертації в опублікованих працях. Основні результати досліджень опубліковані у 19 наукових працях, зокрема у 9 наукових статтях (з них — 3 статті у вітчизняних фахових виданнях, 1 — у науковому виданні, що індексується науко метричною базою Scopus); 2 наукових методичних рекомендаціях; 6 тезах доповідей на науково-практичних конференціях. Опубліковані наукові праці відображають зміст і основні результати дисертаційної роботи.

Відсутність (наявність) порушень академічної доброчесності. Дисертаційна робота є самостійним дослідженням автора. Не встановлено ознак фальсифікації, компіляції, плагіату чи інших порушень норм академічної доброчесності, наукової етики й моралі. Основні напрями дисертаційної роботи, її мета і завдання визначені автором разом з науковим керівником. Автор самостійно проаналізував сучасну наукову літературу, провів інформаційний та патентний пошук. Автором самостійно проведені усі маркетингові, соціологічні, клініко-економічні і фармакоеконімічні дослідження, аналіз нормативних документів. Автором особисто оформлені всі розділи дисертаційної роботи, зроблені висновки й запропоновані практичні рекомендації.

Пропозиції та зауваження щодо змісту та оформлення дисертаційної роботи. Дисертаційна робота є завершеним науковим дослідженням, в якому чітко визначені мета і завдання, вірно обрані методологічні і методичні інструменти, витримана логічна послідовність наукового пошуку та проведено ґрунтовний аналіз отриманих даних. Поряд із загальною позитивною оцінкою дисертаційної роботи здобувача, варто зазначити окремі зауваження і побажання:

1. У роботі використовуються одночасно (повністю або скорочено) різні вирази для одних і тих же понять, як-от «продукти СМХ» і «продукти для СМХ», словосполучення «торговельна марка», «торгова марка» і скорочено «ТМ», по тексту роботи після деяких умовних скорочень і термінів багато разів повторюється їх тлумачення або дається переклад англійською мовою, що можна було б скоротити.

2. Робота містить низку невдалих виразів, як-от с.26 — популяції рідкісних захворювань, с. 28 — доступ і доступність фармацевтичної допомоги; с. 44 — доступ і доступність медичних технологій.

3. У роботі допущені технічні помилки у схемі на с. 53 та заголовку на с. 94, нумерації переліку на с. 141.

4. Використовуються різні цифрові значення показників — від цілих чисел, до десятих і сотих в рамках однієї таблиці, як-от табл. 3.3 на с. 73; табл. 3.5 на с. 81; табл. 4.1 на с. 95, що варто було б уніфікувати.

5. Назви рисунків 5.1-5.5 не повною мірою відповідають способу обробки отриманих результатів соціологічного опитування. Наприклад, замість назви рис. 5.1 «Ранжування за формами макаронних виробів» можна було б використати «Переваги респондентів щодо форм макаронних виробів», а замість рис. 5.4 «Ранжування сумішей для випікання за торговими марками/виробниками» — «Використання респондентами сумішей для випікання різних торговельних марок» та зазначити на діаграмах одиниці вимірювання — кількість респондентів.

6. Авторіві варто було застосувати єдиний підхід до написання назв ЛЗ і компанії виробників, у різних місцях зустрічаються ці назви як українською, так і англійською мовами у різних стилях.

7. У додатках наведені акти впровадження результатів дисертаційного дослідження у роботу Івано-Франківської дитячої клінічної лікарні, що є референтним центром з питань рідкісних захворювань, і ГО «Українське об'єднання хворих на фенілкетонурію «Особливі діти». Результати дисертаційного дослідження доцільно ширше впроваджувати в науковий і

освітній процес кафедр Національного фармацевтичного університету та інших медичних закладів вищої освіти.

Зазначені зауваження не впливають на рівень новизни і практичної значущості результатів дисертаційного дослідження та на її позитивну оцінку.

Висновок. Дисертаційна робота Тутука Володимира Володимировича — цілісне і завершене наукове дослідження, що за актуальністю, науково-методичними підходами, науковою новизною і практичним значенням, а також рівнем оприлюднення і впровадження отриманих результатів відповідає вимогам «Порядку присудження ступеня доктора філософії та скасування рішення разової спеціалізованої вченої ради закладу вищої освіти», затвердженого постановою Кабінету Міністрів України від 12 січня 2022 року № 44, а її автор — Тутук Володимир Володимирович заслуговує на присудження ступеня доктора філософії в галузі знань 22 «Охорона здоров'я» за спеціальністю 226 «Фармація, промислова фармація».

Рецензент:

кандидат фармацевтичних наук, доцент,

доцент закладу вищої освіти кафедри

фармацевтичного менеджменту та маркетингу

Національного фармацевтичного університету *С. Жадько* **Світлана ЖАДЬКО**

Людмила С. Жадько завзучка

Людмила С. Жадько

