

## **ВІДГУК ОФІЦІЙНОГО ОПОНЕНТА**

доктора фармацевтичних наук, професора,  
завідувачки кафедри управління і економіки фармації та фармацевтичної  
технології Навчально-наукового інституту післядипломної освіти  
Запорізького державного медико-фармацевтичного університету,

**Бушуєвої Інни Володимирівни**

про наукову новизну, теоретичне та практичне значення  
результатів дисертаційної роботи

**Тутука Володимира Володимировича**

**«Науково-методичні підходи до підвищення доступності фармацевтичної  
допомоги пацієнтам з рідкісними метаболічними захворюваннями»»,**

поданої 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 (рідкісні) захворювання визнані новим пріоритетом охорони здоров'я як на національному, так і на глобальному рівні, що пов'язано з широким спектром незадоволених медичних потреб та значним впливом на бюджет технологій лікування цих захворювань. Фенілкетонурія (ФКУ) та гіперфенілаланіємія (ГФА) відносяться до рідкісних метаболічних захворювань, пов'язаних із генетичним порушенням амінокислотного обміну, мають тяжкий прогресуючий перебіг та потребують високовартісного лікування. Класична форма ФКУ (що зустрічається у 98 % випадків) піддається лікуванню з використанням нутритивної терапії з вживанням продуктів спеціального медичного харчування. Згідно з Концепцією розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання для таких пацієнтів держава гарантує доступ до необхідних лікарських засобів (ЛЗ), медичних виробів та продуктів спеціального медичного харчування. Разом з тим, через дефіцит фінансування та недосконалість нормативно-правової бази виникають проблеми у системі

фармацевтичного забезпечення орфанних пацієнтів, що може мати тяжкі наслідки.

Враховуючи зазначене, тема дисертаційної роботи Тутука Володимира Володимировича, спрямована на обґрунтування науково-методичних підходів до підвищення доступності фармацевтичної допомоги пацієнтам з рідкісними метаболічними захворюваннями є актуальною і своєчасною, а проведені дослідження – соціально значущим та важливим з точки зору 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, сформульованих у дисертації**

Дисертаційну роботу виконано на сучасному науковому рівні. Методи та обсяг наукових досліджень Тутука В.В. адекватні поставленим завданням. Достовірність отриманих результатів підтверджена репрезентативністю даних, використанням наукових методів досліджень: маркетингового, клініко-економічного, соціологічного, статистичного тощо. Використані методи досліджень відповідають поставленим завданням, сучасним вимогам та складають основу наукової інтерпретації результатів, що визначає вагому теоретичну та практичну значимість роботи. Результати досліджень достатньо оприлюднені дисертантом у матеріалах наукових форумів та наукових публікаціях.

### **Наукова новизна результатів дослідження.**

Сформульовані у дисертації наукові положення, висновки та рекомендації є значущими для науки та практики.

У дисертації вперше проведено маркетинговий аналіз сучасного асортименту продуктів спеціального медичного харчування та їх соціально-

економічної доступності для пацієнтів із рідкісними метаболічними захворюваннями в Україні.

Також дисертантом було досліджено стан та окреслені проблеми державного забезпечення пацієнтів продуктами спеціалізованого медичного харчування, як важливої складової фармакотерапії рідкісних метаболічних захворювань, що здійснюється за механізмами централізованих і децентралізованих тендерних закупівель.

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

Проведено фармакоеконімічні дослідження (метод «вартість захворювання», «вплив на бюджет») раціональності використання обмежених ресурсів системи охорони здоров'я у разі проведення нутритивної терапії пацієнтам із ФКУ/ГФА.

За результатами соціологічного опитування пацієнтів визначені проблеми й окреслені напрямки задоволення їх потреб у сучасних і доступних продуктах спеціалізованого медичного харчування.

Здобувачем розроблена та запропонована модель реалізації програми забезпечення пацієнтів із рідкісними метаболічними захворюваннями (ФКУ/ГФА) доступною фармацевтичною допомогою за умов підвищення вимог суспільства до ефективності функціонування системи ОЗ.

Водночас Тутуком В.В. удосконалено методичні підходи до проведення оцінки технологій нутритивної та фармакологічної терапії пацієнтів, що страждають на рідкісні захворювання (зокрема, порушення метаболізму амінокислот) з урахуванням специфіки захворювання.

Крім того, набули подальшого розвитку дослідження епідеміологічних показників рідкісних метаболічних захворювань за областями та регіонами країни; методика проведення анкетування (дорослих пацієнтів і батьків хворих дітей) щодо фармацевтичного забезпечення за державними та регіональними

цільовими програмами; методика прогнозування витрат на лікування рідкісних захворювань за територіально-адміністративними одиницями країни.

**Практичне значення результатів дослідження** полягає у тому, що матеріали наукових досліджень здобувача були використані при підготовці проєктів нормативно-правових актів – Концепції розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, на 2021-2026 рр., проєкту наказу МОЗ України від 07.09.2022 р. № 1620 «Про мережу референтних центрів з питань рідкісних (орфанних) захворювань», а також покладені в основу регіональної програми забезпечення громадян, мешканців Івано-Франківської територіальної громади, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, лікарськими засобами й відповідними харчовими продуктами для спеціального дієтичного споживання на 2024-2025 рік.

Також за результатами наукових досліджень підготовлені методичні рекомендації, які можуть бути використані і вже використовуються у практичній діяльності медичних закладів, пацієнтських організацій, закладів вищої освіти

### **Характеристика оформлення та змісту дисертаційної роботи**

Структура дисертації у цілому відповідає вимогам, що висуваються до дисертацій, складається зі змісту, переліку умовних позначень, вступу, основної частини (зокрема, огляду літературних джерел, викладу загальної методології та методів дослідження, трьох експериментальних розділів із результатами власних досліджень та розробок, а також висновків, переліку використаних джерел, додатків.

У вступі обґрунтовано актуальність обраної проблеми та доцільність досліджень. Мету сформульовано чітко і конкретно, завдання дослідження викладені логічно і послідовно. Вступ включає усі складові, передбачені вимогами до дисертацій на здобуття наукового ступеня доктора філософії (зокрема, розкрито об'єкт, предмет, методи, наукову новизну, теоретичне та практичне значення тощо).

Перший розділ дисертаційної роботи присвячений особливостям проведення оцінки медичних технологій у сфері рідкісних захворювань. Огляд літератури проведено з використанням достатнього об'єму вітчизняної та закордонної літератури. Автором проаналізовано сучасний стан організації надання медичної та фармацевтичної допомоги пацієнтам, що страждають на рідкісні захворювання з акцентом на проблемних і невирішених питаннях.

Другий розділ містить наукове обґрунтування загальної методики та основних методів дослідження. Також обґрунтовано основні напрями і об'єкти дослідження. визначена загальна методологія вирішення завдань дисертаційного дослідження.

Третій розділ присвячений аналізу доступності медичних технологій, що використовуються для лікування пацієнтів із фенілкетонурією та гіперфенілаланінемією. Дисертантом проведено маркетинговий аналіз вітчизняного ринку продуктів спеціального медичного харчування (СМХ), зокрема, амінокислотних сумішей без фенілаланіну та інших низькобілкових продуктів, що можуть бути застосовані при метаболічних розладах. Проведено аналіз споживання продуктів СМХ за даними системи електронних закупівель ProZorro, оскільки ці продукти закуповуються закладами та установами ОЗ у межах державних та регіональних програм. Здійснено аналіз цін і показників доступності ЛЗ та продуктів СМХ для пацієнтів із ФКУ/ГФА.

У четвертому розділі дисертантом проведено комплексну оцінку технологій нутритивної та фармакологічної терапії ФКУ/ГФА на засадах методології ОМТ за напрямками: клінічна та економічна ефективність, безпека, вплив на бюджет. Проведено фармакоекономічний аналіз нутритивної терапії пацієнтів із ФКУ за методом «вартості захворювання». Розроблено склад і технологію продуктів СМХ. Дослідження нормативно-правової бази та опитування пацієнтів дозволило визначити стан і основні проблеми фармацевтичного забезпечення пацієнтів із ФКУ/ГФА.

У п'ятому розділі представлено науково-методичні підходи до удосконалення фармацевтичної допомоги пацієнтам із рідкісними

метаболическими захворюваннями. Визначено проблемні питання реалізації Концепції щодо гарантованої державою фармацевтичної допомоги. Удосконалено підходи до здійснення централізованих і децентралізованих закупівель продуктів СМХ. Обґрунтовано напрями реалізації регіональної програми щодо забезпечення орфанних пацієнтів.

Наприкінці кожного розділу дисертації наведено висновки, що логічно витікають із викладеного матеріалу.

Загальні висновки свідчать про досягнення поставленої мети і завдань дослідження та надають чітке уявлення щодо отриманих результатів. Висновки є чіткими, об'єктивними і належним чином аргументованими.

Текст дисертації викладено в науковому стилі державною мовою. Оформлення дисертаційної роботи повністю відповідає чинним вимогам, що встановлені Міністерством 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 наукометричною базою Scopus); 2 методичних рекомендаціях; 6 тезах доповідей на науково-практичних конференціях. Опубліковані наукові праці в повному обсязі відображають зміст дисертаційної роботи.

### **Дискусійні положення та зауваження до змісту дисертаційної роботи**

Дисертаційна робота Тутука В.В. є завершеним науковим дослідженням, у якому чітко зазначені мета і завдання, вірно обрані методологічні і методичні інструменти, витримана послідовність наукового пошуку з наступним порівнянням аналізу даних. Разом з позитивною оцінкою дисертаційної роботи здобувача вважаємо доцільним зробити окремі зауваження та побажання:

1. Розроблена за результатами досліджень регіональна програма надання допомоги пацієнтам з орфанними метаболічними захворюваннями має велике практичне та соціальне значення. Доречним вважаємо більш

детальне розкриття проблем її реалізації та перспектив впровадження у інших регіонах.

2. На нашу думку, корисним було б представити у роботі технологічні аспекти розроблених продуктів спеціального медичного харчування.
3. Отримані наукові результати доцільно більш широко впровадити у діяльність науково-освітніх та медичних закладів відповідного профілю.
4. У дисертації іноді зустрічаються окремі неточності, стилістичні неузгодженості, невдалі вирази.

Наведені зауваження не мають принципового значення та не знижують науково-практичної значущості даного дисертаційного дослідження.

У процесі наукової дискусії бажано отримати відповіді на такі запитання:

1. У дослідженні наведено, що Європейським товариством фенілкетонурії та суміжних захворювань (European Society for Phenylketonuria and Allied Disorders Treated as Phenylketonuria – ESPKU) розроблено консенсусний документ, а саме керівні принципи діагностики, лікування й догляду при ФКУ. Чи є, подібні до європейських, підходи до розробки і провадження аналогічних документів в Україні?
2. У результаті вивчення вітчизняного ринку спеціалізованих продуктів лікувального харчування для пацієнтів із ФКУ вами було доведено, що застосовується обмежений асортимент високовартісних імпортних АКС. На вашу думку, які кроки з боку держави могли б підвищити доступність цих життєво важливих продуктів для населення України?

**Загальний висновок.** Розглянувши дисертацію Тутука Володимира Володимировича «Науково-методичні підходи до підвищення доступності фармацевтичної допомоги пацієнтам з рідкісними метаболічними захворюваннями» (науковий керівник – доктор фарм. наук, професор Назаркіна В.М.) та наукові праці, у яких висвітлено основні наукові результати, визначивши особистий внесок дисертанта і співавторів, вважаємо, що робота є

актуальною та виконана з використанням сучасних методів дослідження, має наукову та практичну значущість отриманих результатів проведених досліджень. У роботі відсутні порушення академічної доброчесності.

З усього вищевикладеного можна зробити висновок про те, що дисертаційна робота Тутука В.В. є цілісним і завершеним науковим дослідженням, що за актуальністю, науково-методичними підходами її виконання, науковою новизною, обґрунтованими результатами дослідження, практичним значенням та оприлюдненням отриманих результатів в наукових працях відповідає вимогам Порядку присудження ступеня доктора філософії та скасування рішення разової спеціалізованої вченої ради закладу вищої освіти, наукової установи про присудження ступеня доктора філософії, затвердженого постановою КМУ від 12 січня 2022 року № 44, а її автор, Тутук Володимир Володимирович, заслуговує на присудження ступеня доктора філософії з галузі знань 22 «Охорона здоров'я» за спеціальністю 226 «Фармація, промислова фармація».

**Офіційний опонент:**

доктор фармацевтичних наук, професор,  
зав. кафедри управління і економіки  
фармації та фармацевтичної технології  
Навчально-наукового інституту  
післядипломної освіти  
Запорізького державного  
медико-фармацевтичного університету



ПІДПИСАНО

22 01 24

Інна БУШУЄВА