

**ВІДГУК ОФІЦІЙНОГО ОПОНЕНТА**

доктора фармацевтичних наук, професора,  
завідувача кафедри організації та економіки фармації  
Національного медичного університету імені О.О. Богомольця

**КОСЯЧЕНКА Костянтина Леонідовича**

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.** Проблема підвищення доступності фармацевтичної допомоги для вразливих груп населення та певних категорій пацієнтів не втрачає актуальності протягом багатьох років. Відповідно до чинного законодавства пацієнти з рідкісними захворюваннями мають право безоплатно отримувати життєво необхідні лікарські засоби, медичні вироби та продукти спеціального медичного харчування. Для включення лікарських засобів (ЛЗ) до програми медичних гарантій та номенклатури закупівель обов'язковим є проведення державної оцінки медичних технологій (ОМТ). У випадку з рідкісними захворюваннями основна проблема полягає у тому, що часто для лікування, профілактики та реабілітації орфанних пацієнтів застосовуються високовартісні інноваційні або перепрофільовані медичні технології (МТ), які не мають доведеної ефективності через обмежений досвід використання саме за цими показаннями у невеликих когорт пацієнтів. Отже, при ухваленні рішень щодо доцільності застосування, закупівлі або відшкодування МТ для лікування орфанних захворювань необхідно враховувати їх специфіку. Фенілкетонурія (ФКУ) є одним з найбільш

розповсюджених орфанних захворювань, яка характеризується тяжким хронічним прогресуючим перебігом та важкими ускладненнями. І наразі єдиною доступною для вітчизняних пацієнтів технологією є нутритивна терапія.

Таким чином, дисертаційна робота Тутука В. В., присвячена пошуку шляхів підвищення ефективності надання фармацевтичної допомоги пацієнтам, що страждають на рідкісні захворювання за умов обмежених ресурсів є актуальною та соціально значущою.

#### **Зв'язок роботи з науковими програмами, планами, темами.**

Дисертаційна робота є фрагментом комплексної науково-дослідної роботи Національного фармацевтичного університету «Організація фармацевтичної справи, менеджмент і маркетинг у фармації», шифр державної реєстрації № 01144000954

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

Сформульовані у дисертації наукові положення, висновки та рекомендації є значущими для сучасної медичної та фармацевтичної 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 ефективної 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 охорони здоров'я.

В результаті проведених досліджень дисертантом 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.

**Теоретичне та практичне значення отриманих результатів** полягає у розробці науково-практичних рекомендацій, організаційно-економічних і соціально обґрунтованих підходів щодо реалізації ефективного фармацевтичного забезпечення пацієнтів з орфаними метаболічними захворюваннями, що потребують специфічної нутритивної терапії з використанням амінокислотних сумішей та інших продуктів з низьким

вмістом білку. Результати досліджень впроваджено у науково-педагогічний процес закладів вищої освіти, діяльність закладів та установ охорони здоров'я. Матеріали досліджень 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.

Дисертаційна робота має вагоме соціальне та економічне значення.

**Ступінь обґрунтованості і достовірності наукових положень, висновків і рекомендацій, сформульованих у дисертаційній роботі.**

Дисертаційні дослідження виконані на сучасному науковому рівні. Методи та обсяг наукових досліджень Тутука В.В. адекватні поставленим завданням. Наукові положення і висновки, сформульовані в дисертації, відповідають поставленим завданням та відображають результати дослідження.

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.



### **Оцінка змісту дисертаційної роботи, її завершеності в цілому**

Дисертаційна робота Тутука В.В. оформлена відповідно до вимог, що висуваються МОН України до дисертацій, викладена державною мовою на 196 сторінках друкованого тексту, доречно проілюстрована відповідними рисунками і таблицями. Робота складається з традиційних розділів: вступу, використаних джерел, додатків.

У вступі викладено актуальність наукового напрямку, мету і завдання, наукову новизну і практичну значущість отриманих результатів та описано особистий вклад дисертанта у виконання досліджень, перераховано наукові заходи, де проведена апробація результатів роботи, наведений перелік публікацій за матеріалами дисертації, її структура та обсяг.

*Перший розділ* дисертаційної роботи присвячено огляду літератури щодо організації надання медичної та фармацевтичної допомоги пацієнтам з рідкісними захворюваннями та специфіки проведення оцінки медичних технологій у сфері рідкісних захворювань.

У *другому розділі* дисертаційної роботи наведені методологія дослідження, характеристика об'єктів та обґрунтування методів. Дослідження базується на методології системного аналізу та використовує сучасний інструментарій оцінки медичних технологій. Опрацьовано загальну послідовність і структуру проведення дослідження на підставі визначення взаємозв'язку етапів, напрямів та результатів.

У *третьому розділі* дисертації наведено результати дослідження сучасних підходів лікування ФКУ в Україні та світі, а також доступу і доступності відповідних медичних технологій для вітчизняних пацієнтів. Дисертантом проведено аналіз клінічних керівництв і протоколів лікування ФКУ. Здійснено сканування горизонту і визначені перспективні наукові розробки і методи прогресивної терапії (клітинної, генної та ін.). Проведено аналіз споживання продуктів спеціального медичного харчування 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 спеціального медичного харчування для пацієнтів із ФКУ/ГФА.

У *четвертому розділі* дисертації дисертантом наведено результати комплексної оцінки технологій лікування фенілкетонурія. Застосування методології ОМТ і системний підхід дозволили всебічно оцінити наявні технології з точки зору ефективності, безпеки, втрат і впливу на бюджет. також проведено дослідження особливостей нормативно-правового регулювання питань надання фармацевтичної допомоги пацієнтам з рідкісними захворюваннями. Пацієнт-орієнтований підхід у дослідженні реалізований за рахунок залучення пацієнтів у процес оцінки медичних технологій. Опитування дорослих пацієнтів з ФКУ та батьків пацієнтів дитячого віку дозволило визначити основні проблеми фармацевтичного забезпечення. Заслуговує на увагу той факт, що дисертант брав участь у підготовці проєктів нормативно-правових документів, зокрема, Концепції розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, на 2021-2026 роки, затверджена розпорядженням КМУ від 28.04.2021 р. № 377-р, зі свого боку можу підтвердити, що це стало платформою для реальних кроків щодо покращення фармацевтичного забезпечення таких пацієнтів. Наразі ведеться значна робота щодо проведення державної ОМТ високовартісних інноваційних ЛЗ для лікування орфанних захворювань та включення таких засобів до відповідних номенклатур закупівель, з'явилася можливість укладання договорів керованого доступу. Ці препарати мають специфіку, яку потрібно враховувати при проведенні оцінки. Тож наголошую, що дисертаційне дослідження дійсно має велике теоретичне і практичне значення.

У *п'ятому розділі* дисертантом обґрунтовано науково-методичні підходи щодо удосконалення фармацевтичної допомоги пацієнтам із рідкісними метаболічними захворюваннями, такими як фенілкетонурія та гаперфенілаланінемія. У цьому контексті було визначено проблемні питання реалізації Концепції щодо гарантованої державою фармацевтичної допомоги.

Запропоновано пріоритетні напрями удосконалення підходів щодо здійснення централізованих і децентралізованих закупівель продуктів спеціального медичного харчування, які наразі є єдиною доступною технологією терапії пацієнтів з рідкісними метаболічними захворюваннями. Заслуговує на увагу регіональна програма забезпечення орфанних пацієнтів, яка наразі знаходиться на етапі впровадження.

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 наукових положень, висновків дисертації в опублікованих працях**

Отримані дисертантом результати достатньо оприлюднені в матеріалах наукових форумів та наукових виданнях. За матеріалами дисертації опубліковано 19 наукових праць, у т. ч. 9 статей (3 з них у наукових фахових виданнях, рекомендованих МОН, 1 – у науковому виданні, що індексується наукометричною базою Scopus), 2 методичних рекомендацій, 6 тез доповідей. Опубліковані наукові праці в повному обсязі відображають зміст дисертаційної роботи.

### **Рекомендації щодо подальшого використання результатів дисертації в практиці**

Результати дослідження можуть слугувати базою для розробки нових правових та нормативних документів на регіональному та національному рівні щодо закупівлі і реімбурсації ЛЗ та продуктів спеціального медичного харчування, підготовки фармацевтичних та медичних фахівців і проведення оцінки медичних технологій для лікування рідкісних захворювань.

Варто акцентувати, що дисертаційна робота відкриває подальші напрями наукових досліджень у сфері фармацевтичної складової допомоги пацієнтам, що страждають на рідкісні захворювання та потребують позиттивного високовартісного лікування.

### **Відсутність (наявність) порушень академічної доброчесності.**



Текст представлених матеріалів дисертації Тутука Володимира Володимировича є оригінальним, ознак фальсифікації, компіляції, плагіату та інших порушень норм академічної доброчесності, наукової етики і моралі не встановлено. дисертація та наявні за її темою публікації не містять академічного плагіату, про що у роботі є висновок про проведену експертизу щодо академічного плагіату та текстових запозичень Комісії з академічної доброчесності при Національному фармацевтичному університеті МОЗ України.

### **Зауваження щодо оформлення та змісту дисертації.**

Дисертаційна робота Тутука В.В. заслуговує на загальну позитивну оцінку. Разом з тим, в ході рецензування виникли кілька зауважень, які не є принциповими і не знижують наукову та практичну значущість роботи.

1. На нашу думку, доцільно було б більш детально розкрити особливості та проблеми реалізації регіональної програми фармацевтичного забезпечення орфанних пацієнтів.
2. Результати дисертаційних досліджень потребують більш широкого впровадження у науково-практичну й освітню діяльність.
3. У дисертації іноді зустрічаються стилістичні неузгодженості, невдалі вирази та неточності в оформленні.

У межах наукової дискусії хотілося б почути відповіді на наступні запитання:

1. Вкажіть будь ласка, які заходи Ви пропонуєте для підвищення доступності технологій лікування орфанних захворювань.
2. Якими Ви бачите перспективи оцінки медичних технологій для орфанних захворювань, враховуючи їхню специфіку.

### **Висновок про відповідність дисертації встановленим вимогам.**

Дисертаційна робота Тутука Володимира Володимировича за темою «Науково-методичні підходи до підвищення доступності фармацевтичної допомоги пацієнтам з рідкісними метаболічними захворюваннями» є кваліфікаційним завершеним науковим дослідженням. За актуальністю,



науковою новизною, обсягом і методологічним підходом до проведення досліджень, практичною і теоретичною значущістю отриманих результатів, висновкам і рекомендаціям робота відповідає вимогам «Порядку присудження ступеня доктора філософії», затвердженого постановою КМУ від 12 січня 2022 року № 44, а її автор, ТУТУК Володимир Володимирович заслуговує на присудження наукового ступеня доктора філософії з галузі знань «Охорона здоров'я» за спеціальністю 226 «Фармація, промислова фармація».

**Офіційний опонент:**

доктор фармацевтичних наук,  
професор, завідувач кафедри  
організації та економіки фармації  
Національного медичного  
університету імені О.О. Богомольця

**Костянтин КОСЯЧЕНКО**

