

РЕЗЕНЦІЯ

кандидата фармацевтичних наук, доцента,
доцента закладу вищої освіти кафедри соціальної фармації
Національного фармацевтичного університету

Корж Юлії Вікторівни

про наукову новизну, теоретичне та практичне значення
результатів дисертаційної роботи

Сліпцової Наталії Андріївни

**«Науково-практичні підходи до удосконалення фармацевтичної
допомоги пацієнтам з орфаними захворюваннями за умов оцінки
медичних технологій»**, подану до спеціалізованої вченої ради PhD 8300
Національного фармацевтичного університету МОЗ України, утвореної
наказом Національного фармацевтичного університету від 28.03.2025 р. №
48-Адм. 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 обраної теми дисертації. В умовах розвитку України у
напрямку впровадження соціально орієнтованої моделі взаємовідносин між
державою та суспільством, забезпечення ефективної та доступної медико-
фармацевтичної допомоги населенню набуває особливої актуальності.
Водночас, в умовах воєнного стану та економічної нестабільності, стрімке
зростання витрат на охорону здоров'я зумовлює необхідність обґрунтування й
впровадження ефективних підходів до раціонального використання
обмежених ресурсів системи охорони здоров'я. Враховуючи хронічне
недофінансування національної системи охорони здоров'я, питання
фінансування медико-фармацевтичної допомоги хворим на рідкісні (орфанні)
захворювання (Р(О)З) набуває особливого соціально-економічного значення,
оскільки саме ця категорія пацієнтів потребує довготривалого,
високовартісного та спеціалізованого лікування.

Бульозний епідермоліз (БЕ) – це рідкісне, генетично зумовлене захворювання, що супроводжується утворенням пухирів на шкірі та слизових оболонках навіть при незначному механічному впливі або спонтанно. За даними Orphanet, поширеність БЕ у світі становить приблизно 17 випадків на 1 млн новонароджених, а загальна кількість хворих перевищує 500 тисяч осіб. В Україні таких пацієнтів – близько 300, із яких 120 потребують постійного та інтенсивного догляду. Станом на сьогодні БЕ належить до невиліковних захворювань, і фармакотерапія має симптоматичний характер, та направлена на догляд за ранами, профілактику інфекцій та знеболення.

З огляду на вищезазначене, особливого значення набуває проведення комплексних науково-прикладних досліджень, спрямованих на обґрунтування сучасних підходів до удосконалення надання фармацевтичної допомоги хворим на БЕ в умовах використання оцінки медичних технологій (ОМТ).

Аналіз дисертаційної роботи Сліпцової Наталії Андріївни підтверджує, що мета та завдання дослідження повністю відповідають обраній тематиці, мають високу наукову й практичну значущість, а сама тема є актуальною й соціально важливою в умовах сьогодення.

Зв'язок з науковими програмами, планами, темами.

Дисертаційну роботу виконано відповідно до плану науково-дослідних робіт Національного фармацевтичного університету в межах теми «Організація фармацевтичної справи, менеджмент і маркетинг у фармації». Тему дисертації затверджено на засіданні вченої ради НФаУ.

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

Дисертаційна робота Сліпцової Н.А. має логічну структуру, а представлені науково-методичні підходи та отримані результати є обґрунтованими, достовірними та не викликають сумнівів. Обрані методи відповідають меті та завданням дослідження, обсяг експериментального матеріалу є достатнім, статистична обробка виконана на належному рівні. Отримані результати базуються на достатній кількості експериментальних

досліджень, які статистично оброблені з використанням сучасних методів, виконаних на відповідному рівні.

Результати досліджень проілюстровані та відображені у 35 таблицях, 66 рисунках.

Висновки по дисертаційній роботі є ґрунтовними, з належним науково-прикладним обґрунтуванням кожного етапу дослідження та повністю відображають одержані результати досліджень.

Наукова новизна одержаних результатів дослідження полягає в комплексному обґрунтуванні науково-практичних підходів щодо удосконалення фармацевтичної допомоги пацієнтам із Р(О)З за умов оцінки медичних технологій.

Здобувачем **уперше** *проведено* комплексні дослідження клініко-економічної доцільності технологій лікування рідкісних генетичних захворювань БЕ із використанням методології ОМТ; проведено маркетинговий аналіз сучасного асортименту медичних виробів (МВ), які використовуються для лікування БЕ, та їх соціально-економічної доступності для пацієнтів в Україні; *досліджено* стан і проблеми забезпечення ЛЗ і МВ пацієнтів з БЕ за механізмами централізованих і децентралізованих закупівель; за результатами соціологічного опитування лікарів і пацієнтів (їх офіційних представників) *визначені* основні проблеми та обґрунтовані пріоритетні напрями надання ефективної та доступної фармацевтичної допомоги пацієнтам із БЕ; за результатами систематизації даних комплексних досліджень *розроблена та запропонована* програма забезпечення пацієнтів із Р(О)З доступною фармацевтичною допомогою.

Практичне значення.

За результатами дисертаційного дослідження розроблені 2 науково-методичні рекомендації. Фрагменти роботи впроваджені у практичну діяльність Центру орфанних захворювань та генної терапії НДСЛ «Охматдит» МОЗ України, референтного центру з питань рідкісних (орфанних) захворювань КНП «Івано-Франківська обласна дитяча клінічна лікарня

ІваноФранківської обласної ради», пацієнтських організацій EB Debra Ukraine, ГО Українське об'єднання хворих на фенілкетонурію «Особливі діти», ТДВ «Рівнефармація», а також у навчальний процес закладів вищої освіти медичного й фармацевтичного профілю.

Структура і зміст основних положень дисертаційної роботи.

Дисертація складається з анотації, вступу, п'яти розділів, загальних висновків, списку використаних джерел, додатків. Обсяг основного тексту – 168 сторінок.

У вступі дисертаційної роботи належно обґрунтовано актуальність обраної теми, чітко сформульовано мету та завдання дослідження, визначено об'єкт і предмет, описано використані методи, окреслено наукову новизну та практичну значущість результатів, а також зазначено особистий внесок автора і подано відомості про апробацію отриманих даних.

Перший розділ дисертаційної роботи присвячений аналізу науково-прикладних засад забезпечення доступності фармацевтичної допомоги пацієнтам з орфаними захворюваннями. Дисертантом проаналізовано орфанні захворювання як глобальну медико-соціальну проблему. Проведено ґрунтовний аналіз нормативно-правової бази, що регулює надання медико-фармацевтичної допомоги орфаним пацієнтам в Україні. Наведено огляд європейської практики регулювання доступу до лікування орфанних пацієнтів. Проведено аналіз національної системи організації допомоги орфаним пацієнтам в умовах впровадження ОМТ. Визначено, що ОМТ є важливим інструментом для забезпечення ефективного розподілу ресурсів та підвищення доступності інноваційного лікування. Детально охарактеризовано БЕ як одну з найбільш незадоволених медичних потреб серед орфанних захворювань. Визначено особливості перебігу захворювання, складнощі в лікуванні та соціально-економічний тягар для пацієнтів і держави.

У другому розділі дисертаційної роботи чітко окреслено мету та завдання дослідження, подано детальну характеристику об'єкта й предмета, а також описано методи, які було застосовано для досягнення завдань. У цілому вибір

та використання методів свідчить про високий методичний та науковий рівень дисертаційної роботи, а також про її відповідність сучасним вимогам щодо проведення організаційно-економічних досліджень у фармації. Опрацьовано загальну методику проведення дисертаційного дослідження, обґрунтовано етапи їх проведення з визначенням напрямів та змісту дослідження.

У *третьому розділі* дисертаційної роботи здійснено ґрунтовний аналіз медичних технологій, що використовуються або рекомендовані для лікування пацієнтів із різними формами БЕ. На основі вивчення клінічних протоколів та міжнародних стандартів визначено сучасні підходи до фармакотерапії БЕ. Доведено, що в Україні єдиним доступним методом лікування залишається симптоматична терапія, яка включає застосування нестероїдних протизапальних засобів, ранозагоювальних, антибактеріальних, антигістамінних препаратів та топічних глюкокортикостероїдів, проте чинний уніфікований протокол потребує оновлення відповідно до сучасних вимог. Проведено аналіз клінічних випробувань інноваційних медичних технологій, що перебувають на стадії розробки або оцінки ефективності. За результатами маркетингового аналізу встановлено, що більшість ЛЗ для лікування БЕ мають задовільний рівень доступності для населення. Особливу увагу приділено питанням лікування болю та свербіння у пацієнтів із БЕ, які суттєво впливають на якість життя. Проведено аналіз стану забезпечення пацієнтів МВ за рахунок централізованих закупівель. Визначено, що більшість МВ, рекомендованих для пацієнтів із БЕ, відсутні на вітчизняному фармацевтичному ринку, тому закуповуються централізовано Міністерством охорони здоров'я України через ДП «Медичні закупівлі України». Проведено оцінку клінічної ефективності і економічної доцільності застосування інноваційних ЛЗ, підкреслено, що їх впровадження в Україні наразі є обмеженим через високу вартість. Окремо проаналізовано економічний тягар БЕ для пацієнтів і системи охорони здоров'я, зокрема прямі та непрямі витрати. Визначено важливість державної підтримки та розробки ефективних механізмів фінансування медико-фармацевтичної допомоги пацієнтам із БЕ.

У четвертому розділі дисертантом визначено проблеми надання медичної та фармацевтичної допомоги орфанним пацієнтам на підставі результатів анкетування пацієнтів та лікарів. Проведене дослідження дозволило ідентифікувати характерні особливості клінічного перебігу БЕ, основні проблеми, з якими стикаються пацієнти, а також проаналізувати соціально-економічний тягар захворювання. Особливу увагу було приділено впливу БЕ на якість життя самих пацієнтів та членів їхніх родин.

У п'ятому розділі, який присвячено обґрунтуванню напрямів удосконалення фармацевтичної допомоги пацієнтам із рідкісними захворюваннями, визначено пріоритетні напрями підвищення доступності фармацевтичної допомоги хворим на Р(О)З в Україні. Здійснено оцінку фактичного стану реалізації Концепції розвитку допомоги пацієнтам із Р(О)З (2021–2026 рр.). Проведено експертне опитування лікарів-дерматологів і дерматовенерологів із метою аналізу клінічної практики, джерел інформації для прийняття рішень, використання оцінки медичних технологій та клінічних проявів і тяжкості БЕ у пацієнтів. Виявлено проблемні аспекти щодо призначення, доступності та закупівлі основних ЛЗ і МВ для пацієнтів із БЕ. На основі програмно-цільового підходу обґрунтовано проєкт регіональної програми з фармацевтичного забезпечення орфанних пацієнтів, визначено її мету, завдання, напрями реалізації, джерела фінансування, систему моніторингу та очікувані результати.

Повнота викладу основних наукових положень, висновків в опублікованих працях.

За результатами дисертації опубліковано 36 наукових робіт, з них 10 статей, серед яких 1 стаття у виданнях, що індексуються в Scopus, 4 статті у фахових виданнях, 5 статей в інших виданнях, 2 методичних рекомендацій та 24 тез доповідей. Результати роботи широко апробовані на різного рівня наукових заходах.

Дискусійні положення та зауваження до змісту дисертаційної роботи.

1. У підрозділі 3.1 автором подано детальний опис сучасних підходів до лікування БЕ. Разом з тим, доцільно було б доповнити підрозділ порівняльним аналізом уніфікованого клінічного протоколу первинної, вторинної (спеціалізованої) й третинної (високоспеціалізованої) медичної допомоги із міжнародними настановами, рекомендаціями. Окрім того, варто чіткіше окреслити, які саме підходи до фармакотерапії застосовуються для кожної форми БЕ (простий, дистрофічний, юнкціональний та ін.).
2. Доцільно розширити обґрунтування вибору саме спрощеного підходу до оцінки якості життя (підрозділ 4.3), пояснивши, чому не були застосовані міжнародно визнані валідовані опитувальники.
3. Потребує узагальнення результати анкетування пацієнтів і експертного опитування лікарів. Доцільно було б представити отримані дані у більш структурованому вигляді, наприклад, у формі таблиці або рисунку, що дозволить систематизувати виявлені проблеми фармацевтичного забезпечення із БЕ, а також чітко окреслити можливі шляхи їх вирішення.
4. У дисертації іноді зустрічаються стилістичні неузгодженості, невдалі вирази.

У той же час, висловлені зауваження не носять принципового характеру і не знижують високу оцінку дисертаційної роботи, що має вагому практичну значимість.

При ознайомленні з дисертаційною роботою виникли запитання, які доцільно обговорити в ході наукової дискусії:

1. Які основні проблеми надання медико-фармацевтичної допомоги пацієнтам із БЕ, були виявлені за результатами анкетування пацієнтів та експертного опитування лікарів, і яким чином ці дані були враховані під час розробки програми фармацевтичного забезпечення пацієнтів із рідкісними захворюваннями?

2. Чи розглядали Ви можливість інтеграції цифрових інструментів, зокрема електронних реєстрів та електронної рецептури, у запропоновану програму фармацевтичного забезпечення, і які переваги це могло б дати для системи охорони здоров'я?
3. Чи передбачає запропонована Програма фармацевтичного забезпечення пацієнтів із рідкісними захворюваннями механізм співфінансування або залучення додаткових ресурсів через партнерство з благодійними організаціями, міжнародними фондами чи з юридичними або фізичними особами підприємцями, для забезпечення стійкості фінансування в умовах обмежених можливостей місцевого бюджету?

При розгляді дисертаційної роботи не було виявлено порушень академічної доброчесності.

Загальний висновок.

Розглянувши дисертаційну роботу Сліпцової Наталії Андріївни на тему «Науково-практичні підходи до удосконалення фармацевтичної допомоги пацієнтам з орфаними захворюваннями за умов оцінки медичних технологій» (науковий керівник – д. фарм. н., проф. Назаркіна В. М.), а також наукові публікації, в яких висвітлено основні результати дослідження, із урахуванням особистого внеску дисертанта й співавторів та за результатами попередньої експертизи, вважаємо, що представлена робота є актуальною, відзначається високим науковим рівнем, чіткою логікою викладення матеріалу та практичною спрямованістю. Дисертація є завершеним науковим дослідженням, у якому досягнута поставлена мета та вирішено всі завдання. Отримані результати мають як наукову новизну, так і практичну значущість для подальшого удосконалення фармацевтичної допомоги пацієнтам із Р(О)З в умовах реформування системи охорони здоров'я. У роботі не виявлено порушень академічної доброчесності.

Дисертаційна робота Сліпцової Н. А. є завершеним самостійним науковим дослідженням, що відповідає вимогам Порядку присудження

ступеня доктора філософії, затвердженого Постановою КМУ від 12 січня 2022 року № 44. Автор заслуговує на присудження наукового ступеня доктора філософії з галузі знань «Охорона здоров'я» за спеціальністю 226 «Фармація, промислова фармація».

Рецензент

доцент закладу вищої освіти
кафедри соціальної фармації
Національного фармацевтичного університету,
канд. фарм. наук, доцент

Юлія КОРЖ