

РЕЦЕНЗІЯ

доцента кафедри менеджменту, маркетингу та забезпечення якості у фармацевтичній Національного фармацевтичного університету, кандидата фармацевтичних наук, доцента **Жадько Світлани Вікторівни** на дисертаційну роботу **Сліпцової Наталії Андріївни** «Науково-практичні підходи до удосконалення фармацевтичної допомоги пацієнтам з орфаними захворюваннями за умов оцінки медичних технологій», поданої до спеціалізованої вченої ради PhD 8300 при Національному фармацевтичному університеті, що утворена для розгляду та проведення разового захисту дисертації на здобуття наукового ступеня доктора філософії з галузі знань «Охорона здоров'я» за спеціальністю 226 «Фармація, промислова фармація»

Актуальність теми дисертації

Проблема забезпечення доступу до фармацевтичної допомоги для окремих категорій пацієнтів та соціально вразливих верств населення залишається актуальною протягом тривалого часу. Згідно з чинними нормативно-правовими актами, пацієнти з рідкісними захворюваннями (РЗ) мають право на безоплатне забезпечення життєво необхідними лікарськими засобами (ЛЗ), медичними виробами (МВ), засобами спеціального харчування. Включення ЛЗ і МВ до програми медичних гарантій і номенклатури державних закупівель передбачає обов'язкове проведення державної оцінки медичних технологій (ОМТ).

Особливістю у випадку орфанних захворювань є те, що для їх лікування, профілактики та реабілітації часто застосовуються високовартісні інноваційні або репозиціоновані медичні технології (МТ), ефективність яких не завжди підтверджена через обмежені дані клінічного застосування у нечисленних групах пацієнтів. Тому під час прийняття рішень щодо доцільності застосування, закупівлі або відшкодування таких МТ необхідно враховувати специфіку орфанної патології.

Бульозний епідермоліз є прикладом рідкісної дерматологічної патології, що характеризується тяжким, хронічним і прогресуючим перебігом із серйозними ускладненнями. Пацієнти з таким діагнозом потребують комплексного мультидисциплінарного підходу з урахуванням індивідуальних клінічних потреб. Для цільової симптоматичної терапії використовуються різні фармакотерапевтичні групи ЛЗ, а також перев'язувальні матеріали, які відсутні на ринку України і закупаються централізовано за бюджетні кошти. Отже, дисертаційна робота Сліпцової Н. А., присвячена пошуку шляхів підвищення ефективності надання фармацевтичної допомоги пацієнтам, що страждають на РЗ, за умов обмежених ресурсів є актуальною та соціально значущою.

Зв'язок роботи з науковими програмами, планами, темами

Дисертаційна робота виконана відповідно до плану проблемної комісії «Фармація» МОЗ і НАМН України і є фрагментом комплексної науково-дослідної роботи Національного фармацевтичного університету «Організація фармацевтичної справи, менеджмент і маркетинг у фармації», шифр державної реєстрації № 01144000954.

Наукова новизна отриманих результатів

У дисертації вперше з використанням методології ОМТ проведені комплексні дослідження клініко-економічної доцільності технологій лікування групи рідкісних генетичних захворювань (бульозний епідермоліз). Також дисертанткою проведено маркетинговий аналіз сучасного асортименту МВ (перев'язувальних матеріалів), які використовуються для лікування БЕ, та їх економічної доступності для пацієнтів в Україні.

Дисертанткою досліджено стан і проблеми забезпечення ЛЗ і МВ пацієнтів з БЕ за механізмами централізованих і децентралізованих закупівель.

За результатами соціологічного опитування лікарів і пацієнтів (та представників пацієнтів) Сліпцовою Н. А. 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 РЗ доступною фармацевтичною допомогою.

На позитивну оцінку заслуговує те, що дисертанткою удосконалені методичні підходи до проведення оцінки інноваційних МТ для лікування РЗ із урахуванням специфіки захворювання. Набули подальшого розвитку дослідження стану нормативно-правового регулювання фармацевтичного забезпечення орфанних пацієнтів в Україні з метою гармонізації з європейськими нормами; маркетинговий аналіз сучасного асортименту ЛЗ, які використовуються для лікування БЕ, та їх економічної доступності для пацієнтів в Україні; дослідження соціально-економічного тягара захворювання для пацієнтів із БЕ та їхніх родин; методичні підходи до організації збору даних, що повідомляються пацієнтами в системі ОМТ.

Практичне значення отриманих результатів

Розроблено науково-практичні рекомендації, організаційно-економічні й соціально ефективні підходи щодо організації фармацевтичного забезпечення пацієнтів з орфаними захворюваннями. Результати досліджень впроваджено у діяльність медичних закладів – референтних центрів з питань рідкісних захворювань, науково-педагогічний процес закладів вищої освіти, а також покладені в основу регіональної програми забезпечення громадян, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, ЛЗ, МВ і продуктами для спеціального дієтичного споживання. Отже, можна говорити про те, що дисертаційна робота Сліпцової Н. А. має вагоме соціальне та економічне значення.

Ступінь обґрунтованості та достовірності наукових положень, висновків і рекомендацій, сформульованих у дисертації

Дисертаційна робота виконана на належному науковому рівні із доречним застосуванням сучасних загальнотеоретичних і прикладних

наукових методів, що відповідають визначеним завданням. Результати, що виносяться здобувачкою на захист, отримані на підставі аналізу достатнього обсягу первинної інформації та статистично опрацьовані.

Встановлені авторкою наукові положення, висновки і рекомендації, що наведені у дисертаційній роботі, є повністю обґрунтованими, статистично достовірними та мають практичне значення.

Аналіз основного змісту роботи, ступінь обґрунтованості наукових положень і висновків

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

Дисертація викладена на 285 сторінках друкованого тексту і складається з анотації, вступу, 5 розділів, висновків, списку використаних джерел літератури, що містить 167 джерел, і додатків. Робота доречно проілюстрована відповідними рисунками і таблицями.

У *вступі* дисертантка окреслила актуальність тематики, сформулювала мету і завдання, визначила об'єкт, предмет і методи дослідження, описала наукову новизну, теоретичну і практичну цінність роботи, навела інформацію про особистий внесок, апробацію результатів дисертації та її структуру і обсяг.

Перший розділ дисертаційної роботи присвячено огляду літератури щодо організації надання медичної та фармацевтичної допомоги пацієнтам з РЗ. Досліджено правові засади забезпечення доступності надання медичної та фармацевтичної допомоги пацієнтам з РЗ, визначені особливості організації надання допомоги орфанним пацієнтам в Україні за умов впровадження ОМТ. Для проведення досліджень дисертанткою доречно обрано бульозний епідермоліз (БЕ) як групу тяжких гетерогенних захворювань шкіри, що потребують комплексного підходу у наданні медичної та фармацевтичної допомоги.

У *другому розділі* теоретично обґрунтовано загальний методологічний підхід до проведення дисертаційних досліджень, описано об'єкти та методи дослідження. Дослідження базується на методології системного аналізу й використовує сучасний інструментарій ОМТ. 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 до лікування бульозного епідермолізу в Україні та світі, що рекомендовані клінічними протоколами і міжнародними консенсусними документами. Дисертанткою проведено аналіз доступу і доступності МТ для вітчизняних пацієнтів. Здійснено оцінку клінічної ефективності та економічної доцільності використання інноваційних ЛЗ для лікування пацієнтів із БЕ. Досліджено ринок ЛЗ, що використовуються для симптоматичного лікування БЕ (ЛЗ для обробки і лікування ран, лікування болю і свербіж). Здійснено сканування горизонту і визначені перспективні наукові розробки і методи прогресивної терапії (клітинної, генної та ін.). Проведено аналіз структури і динаміки централізованих закупівель перев'язувальних матеріалів за напрямом БЕ. Здійснено аналіз цін і показників доступності ЛЗ і МВ для пацієнтів із БЕ. Аналіз економічного тягара бульозного епідермолізу й доступності технологій його лікування.

У *четвертому розділі* дисертації здобувачка наводить результати проведеного опитування пацієнтів, що страждають на БЕ. Дисертанткою досліджено особливості перебігу БЕ, визначені основні проблеми, пов'язані із захворюванням, соціально-економічний тягар БЕ та його вплив на якість життя пацієнтів і членів їхніх родин. Результати, що повідомляються пацієнтами, є важливим джерелом інформації та використовуються в процесі ОМТ та при ухваленні рішень щодо використання тих чи інших ЛЗ і МВ. Отже, дисертаційне дослідження дійсно має велике теоретичне і практичне значення.

У *п'ятому розділі* дисертантом обґрунтовано науково-методичні

підходи щодо удосконалення фармацевтичної допомоги орфанним пацієнтам. У цьому контексті було проведено опитування лікарів, що здійснюють супровід пацієнтів з БЕ. Системний погляд дозволив визначити проблемні питання реалізації Концепції щодо гарантованої державою фармацевтичної допомоги та сформулювати напрями її удосконалення. Заслуговує на увагу регіональна програма забезпечення орфанних пацієнтів, яка наразі знаходиться на етапі впровадження.

Висновки дисертаційної роботи відповідають поставленій меті і завданням дослідження, чітко й аргументовано представляють отримані результати. *Список використаних джерел* наведено в алфавітному порядку, оформлений відповідно до чинних вимог. У *додатках* представлені список публікацій здобувачки, форми анкет для опитування пацієнтів (представників пацієнтів) та лікарів, дані про апробацію роботи на науково-практичних конференціях, акти впровадження результатів дослідження та інші матеріали (первинні дані).

Отримані дисертантом результати достатньо оприлюднені в матеріалах конференцій та наукових виданнях. За матеріалами проведених досліджень опубліковано 34 праці, у т. ч. 4 статті у наукових фахових виданнях, 1 стаття – в іноземному виданні, що індексується наукометричною базою Scopus), 2 методичних рекомендацій, 22 тез доповідей. Опубліковані наукові праці в повному обсязі відображають зміст дисертаційної роботи.

Дисертація та наявні за її темою публікації не містять академічного плагіату, про що свідчить висновок про проведену експертизу щодо академічного плагіату та текстових запозичень Комісії з академічної доброчесності при Національному фармацевтичному університеті.

Зауваження

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

1. Результати дисертаційних досліджень потребують більш широкого впровадження у науково-практичну й освітню діяльність.
2. У дисертації іноді зустрічаються стилістичні неузгодженості, невдалі вирази та технічні неточності в оформленні.
3. Назви окремих таблиць, як-от таблиця 3.6 (стор. 103) і 3.7 (стор. 106), а також рисунків, як-от рис. 4.6 (стор. 149), рис. 5.9 (стор. 181) доцільно було б зробити більш інформативними з урахуванням змісту відображених в них результатів досліджень автора.
4. Результати опитувань пацієнтів та лікарів у діаграмах і таблицях доцільно було б представляти з урахуванням частоти наданих відповідей респондентів (рис. 4.5, рис. 4.6, табл. 4.1, рис. 4.10, рис. 4.11, рис. 4.12, рис. 4.14, рис. 4.19, рис. 5.3, рис. 5.9, рис. 5.16, рис. 5.20 та інші).
5. При аналізі доступності лікарських засобів для лікування бульозного епідермолізу, що рекомендовані клінічним протоколом і внесені до Державного формуляру, автором визначались показники економічної доступності, але не наведені дані та висновки про їхню фізичну доступність за фактичною представленістю в аптеках.

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

1. У роботі Ви оперуєте термінами «доступ» і «доступність». Що саме Ви вкладаєте у зміст цих понять?
2. Як впровадження цифрових технологій (електронної системи охорони здоров'я, електронних рецептів, електронних закупівель) в системі охорони здоров'я може вплинути на фармацевтичне забезпечення орфанних пацієнтів?

Висновок

Дисертаційна робота Сліпцової Наталії Андріївни за темою «Науково-практичні підходи до удосконалення фармацевтичної допомоги пацієнтам з орфаними захворюваннями за умов оцінки медичних технологій» є кваліфікаційним завершеним науковим дослідженням. За актуальністю,

науковою новизною, обсягом і методологічним підходом до проведення досліджень, практичною і теоретичною значущістю отриманих результатів, висновками і рекомендаціями робота відповідає вимогам «Порядку присудження ступеня доктора філософії», затвердженого постановою КМУ від 12 січня 2022 року № 44, а її авторка, Сліпцова Наталія Андріївна 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 менеджменту, маркетингу
та забезпечення якості у фармації
Національного фармацевтичного університету,
канд. фарм. наук, доцент

Світлана ЖАДЬКО