

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

на дисертаційну роботу **СЛІПЦОВОЇ Наталії Андріївни**

«Науково-практичні підходи до удосконалення фармацевтичної допомоги
пацієнтам з орфанними захворюваннями за умов оцінки медичних технологій»,
поданої до спеціалізованої вченої ради PhD 8300

Національного фармацевтичного університету МОЗ України,
утвореної наказом Національного фармацевтичного університету № 48-Адм.
від 28.03.2025 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

Категорія рідкісних захворювань включає патологічні стани, що мають або спадковий (генетичний), або індукований характер, та вирізняються екстремально низькою превалентністю серед населення. Водночас вони мають тяжкий, прогресуючий характер, істотно знижують якість життя та його тривалість і часто характеризуються відсутністю ефективних методів діагностики й лікування. Враховуючи значні незадоволені медичні потреби та серйозне фінансове навантаження на систему охорони здоров'я, рідкісні захворювання визнано одним із ключових пріоритетів у сфері охорони здоров'я на міжнародному рівні. За умов обмежених ресурсів особливого значення набуває питання їх ефективного розподілу задля задоволення потреб пацієнтів.

Чинне законодавство України передбачає забезпечення рівного та справедливого доступу громадян до сучасних медичних технологій (МТ) для діагностики, лікування, реабілітації та паліативної допомоги. Пацієнти з рідкісними генетичними патологіями, зокрема з бульозним епідермолізом, потребують комплексного, міждисциплінарного підходу і постійного лікування

із застосуванням дороговартісних медичних технологій — лікарських засобів, перев'язувальних матеріалів тощо.

З метою підвищення доступності фармацевтичної допомоги для таких пацієнтів необхідно впровадити систему належної оцінки медичних технологій, що враховуватиме специфіку рідкісних захворювань. Це дозволить приймати обґрунтовані рішення щодо фінансування відповідних технологій у рамках державних та регіональних програм охорони здоров'я.

Отже, обрана тема дисертаційного дослідження Сліпцової Наталії Андріївни, що присвячена науковому обґрунтуванню підходів до покращення доступу до фармацевтичної допомоги пацієнтам із рідкісними захворюваннями шляхом оцінки медичних технологій, є надзвичайно актуальною. Проведене дослідження має вагомe соціальне значення і відповідає актуальним запитам сучасної фармацевтичної науки та 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 дисертантки 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 конференцій та наукових публікаціях.

Наукова новизна результатів дослідження.

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

У дисертації вперше із використанням методології ОМТ проведено комплексні дослідження клініко-економічної доцільності технологій лікування рідкісних генетичних захворювань (бульозний епідермоліз). Також дисертанткою було проведено маркетинговий аналіз сучасного асортименту МВ (перев'язувальних матеріалів), які використовуються у лікуванні бульозного епідермолізу, та їх соціально-економічної доступності для пацієнтів в Україні. Досліджено стан і проблеми забезпечення ЛЗ і МВ пацієнтів з бульозним епідермолізом за механізмами централізованих і децентралізованих закупівель.

Проведені дисертанткою комплексні соціологічні опитування лікарів і пацієнтів, що страждають на бульозний епідермоліз (їх офіційних представників) дозволили визначити основні проблеми та обґрунтувати пріоритетні напрями надання ефективної та доступної фармацевтичної допомоги пацієнтам із бульозним епідермолізом. За результатами систематизації даних комплексних досліджень дисертанткою розроблена та запропонована програма забезпечення орфанних пацієнтів доступною фармацевтичною допомогою. Водночас Сліпцовою Н. А. удосконалено методичні підходи до проведення оцінки інноваційних МТ для лікування рідкісних захворювань із урахуванням специфіки захворювання.

Крім того, 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 бульозного епідермолізу, та їх соціально-економічної доступності для пацієнтів в Україні; дослідження соціально-економічного тягаря захворювання для пацієнтів із бульозним епідермолізом та їхніх родин; методичні підходи до організації збору даних, що повідомляються пацієнтами (Patient Report Outcomes – PRO) в системі ОМТ.

Практичне значення результатів дослідження полягає у тому, що за результатами дисертаційного дослідження розроблені методичні рекомендації та цільова програма фармацевтичного забезпечення орфанних пацієнтів. Фрагменти роботи впроваджені у практичну діяльність закладів охорони здоров'я – референтних центрів з питань орфанних захворювань, пацієнтських організацій, аптечних закладів, а також у навчальний процес закладів вищої освіти медичного й фармацевтичного профілю – 23 акти впровадження.

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).

У першому розділі дисертаційної роботи висвітлюються науково-прикладні основи забезпечення доступності фармацевтичної допомоги орфанним пацієнтам. 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. Визначено завдання дослідження, що дозволять

досягти поставлених цілей із використанням сучасного методологічного апарату, обґрунтовано вибір об'єктів та основні етапи.

Третій розділ присвячений аналізу МТ, що рекомендовані для лікування пацієнтів із різними формами бульозного епідермолізу клінічними протоколами та міжнародними консенсусними документами. Дисертанткою здійснено маркетинговий аналіз вітчизняного ринку вказаних груп ЛЗ з акцентом на доказові дані. Також було проведено аналіз світового ринку ЛЗ-сирот, які можуть використовуватися для лікування рідкісних захворювань шкіри, у т.ч. бульозного епідермолізу, а також інноваційних медичних технологій (засобів передової терапії – генної, клітинної тощо), які знаходяться в стадії клінічних випробувань. Проведений аналіз стану централізованих і децентралізованих закупівель ЛЗ і МВ дозволив визначити основні проблеми фармацевтичного забезпечення орфанних пацієнтів.

Четвертий розділ дисертаційної роботи присвячений опису й інтерпретації результатів проведеного опитування пацієнтів, що страждають на бульозний епідермоліз, яке було проведено в комплексі з опитуванням лікарів. Дисертанткою досліджено особливості перебігу, соціально-економічний тягар захворювання 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.

У п'ятому розділі представлено науково-методичні підходи до удосконалення фармацевтичної допомоги пацієнтам із рідкісними захворюваннями. Проведене дисертанткою опитування лікарів (дерматологів, дерматовенерологів) дозволило оцінити ситуацію щодо проблем фармацевтичного забезпечення орфанних пацієнтів під іншим кутом зору та обґрунтувати шляхи її удосконалення. За результатами проведених ґрунтовних досліджень із використанням програмно-цільового підходу було розроблено регіональну програму.

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 34 наукових працях, За матеріалами дисертації опубліковано 34 наукових роботи, у тому числі 5 статей у наукових фахових виданнях, з них 1 – в іноземних спеціалізованих наукових виданнях, що включені до міжнародних наукометричних баз, 2 методичні рекомендації, 22 тези 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 Сліпцової Н.А. 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. Доцільним було б більш ґрунтовно представити економічне обґрунтування програми. Регіональна програма (Додаток Д) вказує бюджет (742 920 грн), але не містить детального аналізу витрат на окремі заходи чи їхньої економічної ефективності (наприклад, «витрати-ефективність»), що може послабити її переконливість для стейкхолдерів.

2. Представлено обмежений аналіз міжнародного досвіду. У роботі проаналізовано європейський досвід реімбурсації ЛЗ і МВ для бульозного

епідермолізу, але бракує глибокого порівняння з країнами з подібним рівнем доходу до України. Це могло б збагатити рекомендації щодо адаптації міжнародних практик.

3. Використання даних реальної практики (RWD) в ОМТ недостатньо розвинене. Бракує методології інтеграції в національну систему ОМТ, що могло б посилити наукову новизну.

4. Отримані наукові результати доцільно більш широко впровадити у діяльність науково-освітніх та медичних закладів відповідного профілю.

5. 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. Які конкретні механізми та стратегії Ви пропонуєте для масштабування розробленої регіональної програми фармацевтичного забезпечення пацієнтів з рідкісними захворюваннями, зокрема з бульозним епідермолізом, на національний рівень, щоб забезпечити ширше впровадження результатів дослідження в діяльність медичних і науково-освітніх закладів України?

2. Як результати соціологічних опитувань лікарів і пацієнтів із бульозним епідермолізом, проведених у межах Вашого дослідження, можуть бути використані для вдосконалення методології збору даних, що повідомляються пацієнтами (Patient Reported Outcomes, PRO), у системі оцінки медичних технологій для інших рідкісних захворювань?

Загальний висновок. Розглянувши дисертацію Сліпцової Наталії Андріївни «Науково-практичні підходи до удосконалення фармацевтичної допомоги пацієнтам з орфаними захворюваннями за умов оцінки медичних технологій» (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 Сліпцової Н. А. 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 Сліпцова Наталія Андріївна заслуговує на присудження ступеня доктора філософії з галузі знань «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 післядиплом-
ної освіти Запорізького державного
медико-фармацевтичного університету

Інна БУШУЄВА