

ВІДГУК ОФІЦІЙНОГО ОПОНЕНТА

доктора фармацевтичних наук, професора, професора закладу вищої освіти
кафедри організації та економіки фармації з післядипломною підготовкою
Одеського національного медичного університету

Унгурян Ліани Михайлівни

на дисертаційну роботу **Сліпцової Наталії Андріївни**

«Науково-практичні підходи до удосконалення фармацевтичної допомоги
пацієнтам з орфаними захворюваннями за умов оцінки медичних технологій»,
подану на здобуття наукового ступеня доктора філософії в галузі знань
22 «Охорона здоров'я» за спеціальністю 226 «Фармація, промислова
фармація»

Актуальність обраної теми

Актуальність дисертаційного дослідження зумовлена нагальною потребою у вдосконаленні системи фармацевтичної допомоги пацієнтам з орфаними (рідкісними) захворюваннями, які належать до найбільш вразливих категорій населення. З огляду на обмежену поширеність таких хвороб, високі витрати на лікування, а також відсутність широкої клінічної доказової бази, ці пацієнти стикаються з численними бар'єрами у доступі до необхідних медичних технологій (МТ), зокрема, діагностичних, лікувальних, реабілітаційних, для забезпечення паліативної допомоги.

У контексті реформування охорони здоров'я в Україні важливу роль відіграє впровадження оцінки медичних технологій (ОМТ), що дозволяє ухвалювати обґрунтовані рішення щодо доцільності включення певних ЛЗ і МВ до програми медичних гарантій та державного фінансування. Разом із тим, специфіка орфанних захворювань вимагає адаптованих підходів до оцінки ефективності, безпеки й економічної доцільності інноваційних або перепрофільованих МТ.

Наукове обґрунтування і практичне впровадження інструментів, що враховують потреби орфанних пацієнтів в умовах ОМТ, є ключем до формування справедливої, прозорої та ефективної моделі фармацевтичного забезпечення. Дослідження, присвячене розробці відповідних методичних

підходів, набуває особливого значення для забезпечення рівного доступу до лікування, зменшення соціально-економічного тягара захворювань і гармонізації української системи охорони здоров'я з європейськими стандартами.

Таким чином, тематика дисертації відповідає сучасним викликам і державним пріоритетам у сфері охорони здоров'я, а також має високу соціальну значущість, теоретичну новизну та практичну цінність для розвитку фармацевтичної галузі та системи охорони здоров'я України загалом.

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

Дисертаційна робота Сліпцової Н.А. виконана на сучасному науковому рівні. Методи та обсяг наукових досліджень відповідають поставленим завданням, сучасним вимогам і складають основу наукової інтерпретації результатів, що визначає вагому теоретичну та практичну значимість роботи. Достовірність отриманих результатів підтверджена репрезентативністю даних, використанням наукових методів досліджень: маркетингових, клініко-економічних, соціологічних, статистичних. Результати досліджень достатньо опубліковані в наукових статтях і представлені на науково-практичних конференціях різного рівня.

Наукова новизна результатів дослідження

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

Дисертанткою вперше із використанням методології ОМТ проведено комплексні дослідження клініко-економічної доцільності технологій лікування рідкісних генетичних захворювань (бульозний епідермоліз). Проведено маркетинговий аналіз сучасного асортименту МВ (перев'язувальних матеріалів), які використовуються для лікування БЕ, та їх соціально-економічної доступності для пацієнтів в Україні. Також Сліпцовою Н. А. 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. Результати систематизації даних комплексних досліджень дозволили дисертантці обґрунтувати програму забезпечення пацієнтів із Р(О)З доступною фармацевтичною допомогою.

Позитивним моментом є те, що у дисертації удосконалено методичні підходи до проведення оцінки інноваційних МТ для лікування Р(О)З із урахуванням специфіки захворювання. Також набули подальшого розвитку дослідження стану нормативно-правового регулювання фармацевтичного забезпечення орфанних пацієнтів в Україні з метою гармонізації з європейськими нормами. Надзвичайно важливими є дослідження соціально-економічного тягаря захворювання для пацієнтів із БЕ та їхніх родин, а також методичні підходи до організації збору даних, що повідомляються пацієнтами в системі ОМТ.

Практичне значення результатів дослідження

Результати роботи втілені у практичну діяльність медичних закладів – референтних центрів, пацієнтських організацій, аптек, а також у навчальний процес закладів вищої освіти. Одержано 23 акти впровадження. Розроблено методичні рекомендації та програму фармацевтичного забезпечення.

Загальні відомості про структуру дисертації та аналіз її змісту

Дисертація гармонічно побудована та логічно структурована, відповідає вимогам МОН України, викладена державною мовою у науковому стилі. Робота включає вступ, огляд літератури, опис методів, експериментальні розділи, висновки, список джерел та додатки.

У вступі здобувачем обґрунтовано актуальність обраної теми, чітко сформульовано мету й завдання дослідження, визначено його об'єкт, предмет і застосовані методи. Також подано характеристику наукової новизни, теоретичного значення та практичної цінності одержаних результатів, зазначено особистий внесок здобувачки, висвітлено апробацію матеріалів дослідження, структуру та обсяг дисертаційної роботи.

Перший розділ дисертації присвячено аналізу літературних джерел щодо організації медичної та фармацевтичної допомоги пацієнтам із рідкісними захворюваннями. Розглянуто нормативно-правові засади забезпечення доступності такої допомоги, а також особливості її організації в Україні в умовах упровадження ОМТ. У якості об'єкта дослідження доцільно обрано бульозний епідермоліз (БЕ) — гетерогенну групу тяжких дерматологічних захворювань, які потребують мультидисциплінарного та комплексного підходу до лікування.

Другий розділ має теоретико-методологічне спрямування та обґрунтовує загальний підхід до проведення дослідження. Описано об'єкти, методи, послідовність і логіку реалізації етапів роботи. Методологічною основою дослідження став системний аналіз, у поєднанні з використанням інструментарію ОМТ, що дозволило забезпечити цілісність дослідження та взаємозв'язок його елементів.

У третьому розділі подано результати аналізу сучасних підходів до лікування БЕ в Україні та світі на основі чинних клінічних протоколів і міжнародних рекомендацій. Дисертанткою здійснено оцінку доступу українських пацієнтів до медичних технологій, а також проаналізовано клінічну ефективність та економічну доцільність використання інноваційних лікарських

засобів у терапії БЕ. Проведено огляд ринку ЛЗ для симптоматичного лікування БЕ (обробка ран, знеболення, зменшення свербіжу). Також здійснено сканування горизонту з визначенням перспективних напрямів прогресивної терапії, зокрема клітинної та генної. Проаналізовано структуру й динаміку централізованих закупівель перев'язувальних матеріалів, рівень цін і доступність ЛЗ і МВ для пацієнтів. Окрему увагу приділено економічному тягарю захворювання та доступності МТ.

У четвертому розділі викладено результати анкетування пацієнтів із БЕ. Досліджено особливості перебігу хвороби, визначено ключові проблеми, з якими стикаються пацієнти, а також проаналізовано соціально-економічний тягар захворювання та його вплив на якість життя хворих і членів їхніх сімей. Дані, отримані безпосередньо від пацієнтів (Patient Reported Outcomes), розглядаються як важливе джерело інформації в межах ОМТ та прийняття рішень щодо вибору ЛЗ і МВ, зважаючи на високий рівень невизначеності і велику незадоволену медичну потребу. Це підкреслює як теоретичне, так і практичне значення дисертаційної роботи.

У п'ятому розділі обґрунтовано науково-методичні підходи до вдосконалення фармацевтичної допомоги пацієнтам з орфаними захворюваннями. На основі експертного опитування лікарів, які здійснюють супровід пацієнтів із БЕ, виявлено проблемні аспекти реалізації державної політики у сфері гарантованого забезпечення лікарськими засобами і перев'язувальними матеріалами. Особливої уваги заслуговує регіональна програма забезпечення орфанних пацієнтів, яка нині перебуває на етапі реалізації.

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.

Список використаних джерел упорядковано в алфавітному порядку та

оформлено згідно з чинними вимогами. У додатках містяться відомості про наукові публікації здобувачки, апробацію результатів дослідження, акти впровадження, а також інші матеріали, включно з первинними даними, відповідно до встановлених нормативів.

Текст дисертації викладено в науковому стилі державною мовою. Оформлення дисертаційної роботи повністю відповідає чинним вимогам, що встановлені Міністерством освіти і науки України.

При розгляді дисертаційної роботи не було виявлено порушень академічної доброчесності.

Повнота викладу основних результатів дисертації в опублікованих працях

Основні положення дисертації опубліковані у 34 наукових працях, включаючи фахові видання (5 статей, з них 1 – у Скопус), 22 тези конференцій, методичні рекомендації. 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. Автором проведено ґрунтовний аналіз міжнародного досвіду надання фармацевтичної допомоги орфанним пацієнтам, доречно було б більш чітко вказати на особливості порівняно з країнами, які вважаються референтними для України згідно з критеріями ВООЗ. Такий підхід міг би підсилити рекомендації щодо впровадження міжнародного досвіду.
2. У першому розділі «Науково-прикладні основи забезпечення доступності фармацевтичної допомоги орфанним пацієнтам» варто було б надати показники захворюваності та поширеності у динаміці років та отримані

результати дослідження оформити у вигляді зведеної таблиці для більшої наочності.

3. В розділі 4 п. 4.2 «Стан і проблеми забезпечення необхідними лікарськими засобами і медичними виробами» було би доцільно навести таблицю з порівняльною характеристикою зареєстрованих лікарських засобів, а також наявних на фармацевтичному ринку України.
4. Отримані наукові результати є цінними для медичної й фармацевтичної науки і практики і потребують більш широкого впровадження, зокрема й у діяльність науково-освітніх і медичних установ відповідного профілю.
5. У дисертаційній роботі подекуди трапляються окремі неточності, стилістичні недоліки та невдалі формулювання.

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

У процесі наукової дискусії бажано отримати відповідь на таке запитання:

1. Скажіть будь ласка, чи є в Україні референтні центри за напрямом «бульозний епідермоліз»? І які вимоги висуваються до таких закладів?

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».

професор кафедри організації та економіки
фармації з післядипломною підготовкою
Одеського національного медичного університету,
доктор фармацевтичних наук, професор

Ліана УНГУРЯН