

# ЗАБЕЗПЕЧЕННЯ ОРФАННИХ ХВОРИХ: СТРУКТУРНИЙ АНАЛІЗ НОМЕНКЛАТУРИ ЛІКАРСЬКИХ ЗАСОБІВ ЗА БЮДЖЕТНОЮ ПРОГРАМОЮ

Подгайна М. В., Сліпцова Н. А., Мельник К. А.

Кафедра організації та економіки фармації  
Національного фармацевтичного університету  
м. Харків, Україна  
economica@nuph.edu.ua

**Вступ.** Рідкісне (орфанне) захворювання - захворювання, яке загрожує життю людини, або яке хронічно прогресує, призводить до скорочення тривалості життя громадянина або до його інвалідності, поширеність якого серед населення не частіше ніж один випадок на 2000 осіб [1]. Кожне орфанне захворювання окремо вважається рідкісним, водночас, за епідеміологічними даними, від 6 до 8% сукупного населення країн — членів ЄС страждають на рідкісні захворювання (РЗ), а їх загальна кількість становить 27–36 млн. хворих, що дозволяє віднести орфанне захворювання до важливої медико-соціальної проблеми системи охорони здоров'я та суспільства в цілому [5].

**Мета дослідження.** Аналіз переліку РЗ, за якими здійснюється бюджетне фінансування, а також списків ЛЗ і прогнозованої частки задоволення потреби у ЛЗ для терапії деяких РЗ, що закуповуються за бюджетні кошти.

**Методи та результати дослідження.** У 2015 році в Україні затверджено порядок забезпечення хворих на рідкісні захворювання лікарськими засобами та відповідними харчовими продуктами для спеціального дієтичного споживання [3]. Починаючи з 2017 року державна програма "Забезпечення медичних заходів окремих державних програм ..." включає закупівлю за бюджетний кошт лікарських засобів для лікування рідкісних захворювань, наведених у Постанові КМУ від 12.07.17 № 494 (зі змінами від 17.07.2019), що створює можливість до державного фінансування терапії орфанних хворих [4].

Зокрема, наказом МОЗ України від 24.09.20 р. № 2178 встановлено переліки ЛЗ, що можуть бути закуплені за бюджетні кошти у 2020 році, зокрема для лікування РЗ [2].

**Висновки.** Встановлено, що у вересні 2020 року за державний кошт передбачена закупівля ЛЗ та медичних виробів за 7-ма основними групами РЗ, з яких - усі 7 груп включають РЗ дитячого віку, та 6 груп (85% сукупності) – РЗ дорослих. Наразі єдиний перелік ЛЗ та медичних виробів встановлено для дорослого та дитячого населення, що страждає на орфанні метаболічні захворювання, на легеневу артеріальну гіпертензію та бульозний епідермоліз. За кількістю ЛЗ за міжнародними непатентованими назвами (МНН) без урахування лікарських форм перше місце відповідає групі орфанних метаболічних захворювань – 13 МНН, що може бути пов’язано із розширеним переліком нозологій, включених до вказаної групи (табл.). Найменша за кількістю номенклатура ЛЗ, що закуповуються за бюджетною програмою відповідає терапії нанізму різного походження - 1 МНН. Проведені розрахунки показали, що задоволеність повної потреби за групами РЗ, що аналізувалися, склала 73,3-100 %. Найнижче значення задоволеності потреби у ЛЗ відповідало терапії орфанних метаболічних захворювань - 73,3 - 74 % (таблиця). Варто зазначити, що аналіз номенклатури ЛЗ за групою онкологічні та онкогематологічні захворювання, до якої відносяться й орфанні нозології, не проводився, адже неможливо виділити перелік та кількість ЛЗ, що використовуються саме для терапії РЗ.

*Таблиця*

Результати аналізу номенклатури ЛЗ та медичних виробів для терапії деяких РЗ за бюджетною програмою

№ з/п	Нозологія/ група захворювань	Кільк. ЛЗ за МНН (з рахуванням ЛФ), од.	Рівень задоволеності потреби, %
1	2	3	4
1	Первинні (вроджені) імунодефіцити (діти)	9 (16)	83,3-84,5

1	2	3	4
2	Первинні (вроджені) імунодефіцити (дорослі)	4 (8)	83,9-84,1
3	Нанізм різного походження (діти)	1 (2)	83,9
4	Муковісцидоз (діти)	3 (5)	84,3
5	Муковісцидоз (дорослі)	2 (2)	83,9
6	Орфанні метаболічні захворювання (хвороба Помпе, хвороба Фабрі, тирозинемія типу 1, фенілкетонурія (атипова форма типу 2), мукополісахаридоз, хвороба Гоше) (дорослі та діти)	13 (14)	73,3 – 74,0
7	Буллезний епідермоліз (дорослі та діти) * медичні вироби	14*	82,7-82,9
8	Резистентна форма ювенільного ревматоїдного артрити (діти)	5 (7)	100,0
9	Резистентна форма ювенільного ревматоїдного артрити (діти)	11 (16)	83,3 – 100,0
10	Легенева артеріальна гіпертензія (дорослі та діти)	4 (8)	100,0

Підсумовуючи, варто зазначити, що особливістю терапії переважної більшості РЗ є необхідність по життєвої терапії, дитячий вік пацієнта, високий рівень інвалідизації хворих та значна вартість лікування, що визначає пріоритетність розвитку соціального та організаційно-економічного векторів у забезпеченні даної категорії хворих, що і може стати предметом подальших науково-практичних досліджень в Україні.

#### Перелік літератури:

1. Закон України від 15.04.2014 № 1213-VII Про внесення змін до Основ законодавства України про охорону здоров'я щодо забезпечення профілактики та лікування рідкісних (орфанних) захворювань. Режим доступу: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/1213-18#Text>

2. Наказ МОЗ України від 24 вересня 2020 р. № 2178 "Про затвердження зведених показників 100 % потреби лікарських засобів та медичних виробів, що закуповуються на підставі угод щодо закупівлі із спеціалізованими організаціями, які здійснюють закупівлі..." Режим доступу: <https://moz.gov.ua/article/ministry-mandates/nakaz-moz-ukraini-vid-24092020--2178-pro-zatverdzhennja-zvedenih-pokaznikiv-100--potrebi-likarskih-zasobiv-ta->

medichnih-virobiv-scho-zakupovujutsja-na-pidstavi-ugod-schodo-zakupivli-iz-specializovanimi-organizacijami-jaki-zdijsnjut-zakupivli

3. Постанова Кабінету Міністрів України від 31.03.2015 № 160 " Про затвердження Порядку забезпечення громадян, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, лікарськими засобами та відповідними харчовими продуктами для спеціального дієтичного споживання» Режим доступу: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/160-2015-%D0%BF#Text>

4. Постанова Кабінету Міністрів України від 12 липня 2017 № 494 «Про затвердження переліку лікарських засобів та медичних виробів, які закупаються на підставі угод (договорів) щодо закупівлі із спеціалізованими організаціями, які здійснюють закупівлі за напрямами використання бюджетних коштів у 2017 році за бюджетною програмою 2301400 “Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру” Режим доступу: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/494-2017-%D0%BF>

5. Фармацевтична енциклопедія. Орфанні захворювання. Режим доступу: <https://www.pharmencyclopedia.com.ua/article/8216/orfanni-zahvoryuvannya>