



**Міністерство охорони здоров'я України
Національний фармацевтичний університет
Інститут підвищення кваліфікації спеціалістів фармації
Кафедра клінічної фармакології**

**АКТУАЛЬНІ ПИТАННЯ
КЛІНІЧНОЇ ФАРМАКОЛОГІЇ ТА КЛІНІЧНОЇ ФАРМАЦІЇ
(TOPICAL ISSUES OF
CLINICAL PHARMACOLOGY AND CLINICAL PHARMACY)**

**Матеріали науково-практичної
Internet-конференції з міжнародною участю
28 жовтня 2025 року
м. Харків**

**Харків
НФаУ
2025**

**ОРФАННІ ХВОРОБИ ТА ДОСТУП ДО ЛІКІВ:
ФАРМАЦЕВТИЧНА ДОПОМОГА КРІЗЬ ПРИЗМУ
СПРАВЕДЛИВОСТІ ТА ЕФЕКТИВНОСТІ**

Назаркіна В. М.¹, Тутук В. В.¹, Сліпцова Н. А.²

¹Національний фармацевтичний університет, м. Харків, Україна,

Кафедра соціальної фармації

Донецький національний медичний університет, м. Кропивницький, Україна

Кафедра медико-фармацевтичних дисциплін та безперервного

розвитку фармацевтів

socpharm@niph.edu.ua

Вступ. Рідкісні (орфанні) захворювання (далі – Р(О)З) є однією з найбільш складних і важливих проблем сучасної медицини та фармації. Вони характеризуються низькою поширеністю, високою складністю діагностики, тяжкими клінічними проявами та являють собою значний соціально-економічний тягар для пацієнтів і системи охорони здоров'я (ОЗ) в цілому. Забезпечення доступу до високовартісних інноваційних медичних технологій (МТ) для пацієнтів з Р(О)З є критично важливим завданням, яке потребує поєднання клінічної ефективності, економічної доцільності та принципів соціальної справедливості.

Мета дослідження – аналіз сучасних підходів до забезпечення принципів справедливого доступу і доступності ЛЗ для лікування Р(О)З.

Матеріали та методи: аналіз та узагальнення матеріалів наукових публікацій, нормативно-правових актів стосовно організації надання фармацевтичної допомоги пацієнтам з Р(О)З.

На сьогоднішній день забезпечення доступності лікарських засобів (ЛЗ) для Р(О)З стикається з численними труднощами. Висока вартість інноваційних ЛЗ значно обмежує можливості державного фінансування. Часто державні програми покривають лише частину потреб, що змушує пацієнтів шукати альтернативні джерела, у т. ч. через благодійні організації. Складні процедури реімбурсації та включення ліків у державні програми, що уповільнює доступ пацієнтів до необхідного лікування. Логістичні та регуляторні бар'єри також обмежують доступність ліків. Багато МТ для Р(О)З (особливо препаратів генної, клітинної, тканинної терапії) мають обмежену присутність на внутрішньому ринку та потребують спеціалізованих умов зберігання і транспортування. Крім того, через існуючі обмеження має місце дисбаланс у доступі орфанних пацієнтів до медичної допомоги у спеціалізованих референтних центрах та відповідних ЛЗ.

Принципи справедливості та ефективності є ключовими у формуванні політики доступу до ліків для пацієнтів з Р(О)З. Справедливість передбачає забезпечення рівного доступу до необхідних МТ (ЛЗ, медичних виробів, спеціального медичного харчування) незалежно від соціального, економічного чи географічного положення пацієнта. Ефективність полягає у використанні обмежених ресурсів з максимальною клінічною та економічною віддачею, що передба-

чає застосування методів фармакоекономічного аналізу та оцінки медичних технологій (ОМТ). Поєднання цих принципів дозволяє створити стійку та прозору систему забезпечення пацієнтів ліками.

Проведені міжнародні дослідження показують, що комплексні підходи до забезпечення доступності орфанних ЛЗ включають не лише державне фінансування, але й активну взаємодію між клініцистами, фармацевтами, пацієнтськими організаціями та виробниками. Створення централізованих реєстрів пацієнтів і національних програм моніторингу ефективності терапії дозволяє відстежувати результати лікування, оптимізувати витрати та підвищувати ефективність медичної й фармацевтичної допомоги.

Особливо важливою є роль міждисциплінарної взаємодії. Лікарі, фармацевти, адміністративні та регуляторні органи повинні спільно формувати політику, що забезпечує прозоре і обґрунтоване використання ресурсів. Використання результатів ОМТ у практичній діяльності дозволяє відбирати найбільш ефективні та економічно виправдані ліки для конкретних груп пацієнтів, забезпечуючи баланс між клінічною користю та витратами системи ОЗ.

Фармакоекономічний аналіз відіграє ключову роль у визначенні пріоритетів у забезпеченні пацієнтів ЛЗ для орфанних хвороб. Він дозволяє оцінити співвідношення між витратами та отриманими клінічними результатами, порівняти альтернативні схеми лікування та визначити оптимальні стратегії забезпечення. У поєднанні з принципами справедливості, фармакоекономічні підходи сприяють формуванню політики, яка одночасно ефективна для системи ОЗ і доступна для пацієнтів.

Інформаційне забезпечення прийняття рішень є ще одним важливим аспектом. Розробка е-платформ для поширення результатів ОМТ, ведення реєстрів пацієнтів і обмін даними між лікарями, фармацевтами та регуляторами дозволяє підвищити швидкість і точність прийняття рішень. Це також сприяє прозорості процесу та підвищенню довіри пацієнтів до системи ОЗ. На практиці, забезпечення доступу до ліків для Р(О)З потребує поєднання державного фінансування, міжнародної співпраці та інноваційних підходів у фармацевтичній логістиці. Наприклад, застосування централізованих закупівель і стратегічного резервування ЛЗ дозволяє мінімізувати ризики перебоїв у постачанні та забезпечити безперервність лікування.

Висновки. Доступ до ЛЗ для пацієнтів з Р(О)З є комплексним завданням, що поєднує клінічну ефективність, економічну доцільність і соціальну справедливість. Інтеграція принципів ОМТ, фармакоекономічного аналізу та міждисциплінарної взаємодії дозволяє підвищити якість фармацевтичної допомоги, оптимізувати витрати системи ОЗ і гарантувати рівний доступ до інноваційних МТ для всіх пацієнтів. Таким чином, успішне забезпечення фармацевтичної допомоги пацієнтам з Р(О)З вимагає комплексного, системного та прозорого підходу, який враховує клінічні, економічні та соціальні аспекти та спрямований на досягнення балансу між справедливістю та ефективністю системи ОЗ.