

МІНІСТЕРСТВО ОХОРОНИ ЗДОРОВ'Я УКРАЇНИ
НАЦІОНАЛЬНИЙ ФАРМАЦЕВТИЧНИЙ УНІВЕРСИТЕТ
ІНСТИТУТ ПІДВИЩЕННЯ КВАЛІФІКАЦІЇ СПЕЦІАЛІСТІВ ФАРМАЦІЇ
КАФЕДРА ОРГАНІЗАЦІЇ, ЕКОНОМІКИ ТА УПРАВЛІННЯ ФАРМАЦІЄЮ

**ПІДГОТОВКА СПЕЦІАЛІСТІВ ФАРМАЦІЇ
В РАМКАХ КОНЦЕПЦІЇ
«НАВЧАННЯ ПРОТЯГОМ ЖИТТЯ
(LIFE LONG LEARNING)»:
НАУКА, ОСВІТА, ПРАКТИКА**

**МАТЕРІАЛИ ІV НАУКОВО-ПРАКТИЧНОЇ
ІНТЕРНЕТ КОНФЕРЕНЦІЇ
З МІЖНАРОДНОЮ УЧАСТЮ, ЯКА ПРИСВЯЧЕНА
ПАМ'ЯТІ ПРОФ. ТОЛОЧКО ВАЛЕНТИНА МИХАЙЛОВИЧА**

21 листопада 2025 року

СУЧАСНІ ПІДХОДИ ДО ОЦІНКИ ВИСОКОВАРТІСНИХ МЕДИЧНИХ ТЕХНОЛОГІЙ ДЛЯ ЛІКУВАННЯ РІДКІСНИХ ЗАХВОРЮВАНЬ

Орлов Д. І., Назаркіна В. М.

Кафедра соціальної фармації, Національний фармацевтичний університет

м. Харків, Україна

orlovdaniildec@gmail.com

Вступ. Рідкісні захворювання (РЗ) становлять значну медико-соціальну проблему через низьку поширеність, складність діагностики та високі витрати на лікування. Високівартісні медичні технології (МТ), включаючи орфанні лікарські засоби та інноваційні терапії (генні, клітинні, біотехнологічні препарати), є клінічно ефективними, але економічно обтяжливими для систем охорони здоров'я. Відсутність системного підходу до оцінки клінічної ефективності та економічної доцільності ускладнює процес ухвалення рішень щодо їх включення у державне забезпечення для забезпечення доступності таких ЛЗ.

Мета дослідження – проаналізувати сучасні підходи до оцінки високівартісних медичних технологій для лікування рідкісних захворювань.

Методи дослідження. У роботі використано системний підхід, контент-аналіз, порівняння, систематизацію та узагальнення. Джерельну базу становили наукові публікації, нормативно-правові документи, офіційні сайти агенцій з ОМТ та міжнародних організацій.

Результати дослідження. Аналіз дозволив визначити, що для оцінки клінічної ефективності МТ застосовуються такі науково-методичні підходи:

- систематичні огляди та мета-аналізи: дозволяють інтегрувати дані різних клінічних випробувань (зокрема, за різні періоди) і оцінити загальний ефект лікування, що особливо актуально при обмеженій кількості пацієнтів;
- рандомізовані контрольовані дослідження (РКД) залишаються «золотим стандартом» оцінки ефективності, проте для орфанних захворювань часто застосовують адаптовані або мультицентрові дизайни через малу вибірку;

- реєстрові й обсерваційні дослідження: забезпечують дані про ефективність МТ у реальних умовах, включаючи довгострокові результати та безпеку лікування;
- індивідуалізовані підходи: використання байєсівських моделей і прогнозних алгоритмів дозволяє оцінювати ефективність для конкретних підгруп пацієнтів.

Економічні аспекти застосування МТ зазвичай оцінюють з використанням низки фармакоекономічних методів, таких як аналіз «витрати–ефективність» (Cost-Effectiveness Analysis, CEA), «витрати–користь» (Cost-Utility Analysis, CUA), вплив на бюджет (Budget Impact Analysis, BIA). Через об'єктивні обмеження застосовуються методи моделювання прогнозу ефективності та витрат (марковські моделі, моделі імітаційної динаміки та сценарні аналізи для оцінки тривалих результатів лікування).

Варто наголосити на особливостях оцінки МТ, що застосовуються для діагностики і лікування рідкісних захворювань. Це, насамперед, високий рівень невизначеності та обмеженість клінічних даних через малу популяцію пацієнтів, висока індивідуалізація лікування та непередбачувана клінічна динаміка, складність порівняння ефективності з альтернативними методами через відсутність стандартних терапевтичних протоколів, потреба у гнучких підходах до економічної оцінки: застосування порівняльних сценаріїв, «managed entry agreements» та підходів, заснованих на результатах лікування (outcome-based agreements).

Аналіз світового досвіду свідчить, що провідні країни (Великобританія, Канада, Німеччина, Японія) використовують комбінацію оцінки клінічної ефективності та економічної доцільності для включення орфанних МТ у державне фінансування. Використання гібридних методів оцінки: комбінація систематичних оглядів, реєстрових даних та економічних моделей. Рекомендації NICE (Велика Британія), CADTH (Канада), IQWiG (Німеччина) включають врахування обмежень даних і неповної інформації про рідкісні захворювання.

Отже, якщо говорити в цілому, в Україні впровадження ОМТ для рідкісних захворювань дозволить пріоритетизувати фінансування дороговартісних лікувальних і діагностичних заходів, підвищити прозорість та обґрунтованість рішень щодо включення орфанних МТ у відповідні регуляторні переліки (для забезпечення централізованих чи децентралізованих закупівель, укладання договорів керованого доступу тощо), створити основу для впровадження ціннісного ціноутворення (value-based pricing) та використання договорів розподілу ризиків (risk-sharing agreements), до яких відносять угоди керованого доступу.

В умовах існуючих обмежень необхідно адаптувати міжнародні методики до національних умов, враховуючи специфіку українського ринку та законодавства у цій сфері. Перспективним напрямом є інтеграція реєстрів пацієнтів, клінічних досліджень та економічного моделювання для формування комплексної оцінки високовартісних інноваційних МТ для лікування пацієнтів з рідкісними захворюваннями.

Висновки.

Науково-методичні підходи до оцінки клінічної ефективності та економічної доцільності фінансування (закупівлі за бюджетні кошти, реімбурсації) МТ є критично важливими для забезпечення доступу пацієнтів з рідкісними захворюваннями до сучасних методів лікування.

Системний підхід, що поєднує клінічні дані, економічну оцінку та міжнародний досвід, є основою ефективного прийняття рішень у сфері охорони здоров'я.

Подальший розвиток методологій та адаптація їх до національного контексту дозволить оптимізувати використання ресурсів та покращити результати лікування рідкісних хвороб в Україні.