

Розділ 2

ДЕРЖАВНЕ РЕГУЛЮВАННЯ ПРОЦЕСІВ ЕКОНОМІЧНОГО І СОЦІАЛЬНОГО РОЗВИТКУ

DOI: <http://doi.org/10.26565/1727-6667-2022-2-03>

УДК 331.5.024

Живило Ірина Олександрівна

кандидат медичних наук,

докторант кафедри публічної політики

Навчально-наукового інституту «Інститут державного управління»

Харківського національного університету імені В. Н. Каразіна,

майдан Свободи, 4, м. Харків, 61022, Україна.

ORCID ID: <http://orcid.org/0000-0001-8141-363X>

e-mail: zhivilka28@gmail.com

НАЦІОНАЛЬНА ПОЛІТИКА УКРАЇНИ З ПИТАНЬ РІДКІСНИХ (ОРФАННИХ) ЗАХВОРЮВАНЬ

Анотація: За даними Міністерства охорони здоров'я України, 80% хворих на рідкісні захворювання в Україні втрачають життя до 5 років через відсутність системної діагностики та кваліфікованого лікування. Це більше, ніж, наприклад, 50% у Франції. Оскільки військове вторгнення з боку Росії продовжує порушувати основні медичні служби, необхідні великі зусилля для відновлення та зміцнення медичних послуг, включаючи доступ до ліків та медичного обладнання.

За цих обставин доволі суттєво відчувається героїчна праця лікарів, як на теренах нашої країни, так і за її межами, які незважаючи на виклики, з якими стикається спільнота рідкісних захворювань в Україні, не припиняли ні на мить свою роботу з підтримки та допомоги спільноті пацієнтів з рідкісними захворюваннями та мобілізації політичної адвокації і законодавства на національному рівні.

Нині гуманітарні організації та міжнародне співтовариство прикладає максимум зусиль щоб загалом захистити найбільш уразливу верству населення, яка охоплена конфліктом, не може виїхати та не має доступу до гуманітарної допомоги. Нинішня ситуація не повинна підірвати реальність того, що потреби людей, які живуть з рідкісною хворобою, є реальними, величезними та незадоволеними.

Створення правових, економічних та управлінських механізмів реалізації конституційних прав населення України які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, збереження та зміцнення їх здоров'я, продовження періоду активного довголіття і тривалості їх життя є одним з головних завдань держави.

Отже, в статті запропоновано структурований комплексний політичний програмний документ, спрямований на вирішення питань пацієнтів які хворіють на рідкісні (орфанні) захворювання. Під час розробки та формування цієї державної політики були викорис-

тані найкращі практики розвинутих європейських держав. Також було проведено огляд стану і проблем національного нормативно-правового та організаційного забезпечення у сфері доступу до лікування пацієнтів з рідкісними (орфанними) захворюваннями. Були враховані наукові здобутки вітчизняних і зарубіжних дослідників, статистичні дані органів державної влади, міжнародних організацій та власні авторські дослідження.

Ключові слова: *рідкісні (орфанні) захворювання, легенева артеріальна гіпертензія, лікарські засоби, програмні документи, медична допомога пацієнтам.*

Як цитувати: Живило І.О. Національна політика України з питань рідкісних (орфанних) захворювань. *Теорія та практика державного управління*. 2022. Вип. 2 (75). С. 39–69. <http://doi.org/10.26565/1727-6667-2022-2-03>

Вступ. Сьогодні Україна проходить тяжкі випробування, на тлі військової окупації Російською Федерацією території України страждає наша медична система. Вплив вторгнення загрожує створити нові проблеми для громади, яка вже стикається з труднощами після погіршення політичного середовища в 2014 році, коли вибухнув конфлікт. Ситуація стрімко загострюється, ворог руйнує життєво важливі об'єкти інфраструктури, такі як лікарні та центри догляду, загрожує життю цивільного населення.

В цих умовах, спільнота, що потребує підтримки з боку держави та ефективного і довготривалого лікування, є менш мобільною і часто більшою мірою залежить від регулярного догляду. Зараз в Україні приблизно 2 мільйони людей живуть з рідкісними захворюваннями. Держава повинна уникнути потенційної гуманітарної кризи та забезпечити, щоб люди, які живуть з рідкісною хворобою, стан яких часто виснажливий або потребує частоті медичної допомоги, не залишилися позаду.

Так, з моменту російського вторгнення, віддано та рішуче було надано підтримку та запропоновано реальну допомогу українській спільноті рідкісних захворювань. За даними реєстру громадян, які страждають на рідкісні захворювання в Україні (ДУ «Національний науковий центр «Інститут кардіології імені академіка М. Д. Стражеска» НАМН України) медичними закладами і установами країн-учасниць ЄС було прийнято на стаціонарне лікування майже 59 пацієнтів, з них 7 дітей разом з їхніми батьками, 9 чоловік не мали змоги евакуюватись та виїхати. Так Центри легеневої гіпертензії Іспанії, Італії, Латвії, Молдови, Нідерландів, Німеччини, Норвегії, Польщі, Румунії, Франції запропонували та надали підтримку українській спільноті рідкісних захворювань в умовах стаціонарного лікування, продовжують надавати гуманітарну допомогу та забезпечують нашу систему охорони здоров'я необхідними засобами.

Отже постає доволі суттєва проблема щодо удосконалення організації профілактики, діагностики та лікування орфанних захворювань на фоні розробки науково обґрунтованої дієвої нормативно-правової бази за напрямком рідкісні (орфанні) захворювання (Далі – Р(о)З).

Огляд літератури. Ця Національна політика розроблена на основі Конституції та законів України, а також рекомендацій ВООЗ із врахуванням досвіду ЄС та окремих країн ЄС.

Відповідно до Конституції України та Основ законодавства України про охорону здоров'я:

«Життя і здоров'я людини визнаються в Україні одними з найвищих соціальних цінностей» (ст. 3 Конституції);

«Держава створює умови для ефективного і доступного для всіх громадян медичного обслуговування» (ст. 49 Конституції);

«Держава гарантує громадянам України та іншим визначеним законом особам надання необхідних медичних послуг та лікарських засобів (Далі – ЛЗ) за рахунок коштів Державного бюджету України на умовах та в порядку, встановлених законодавством» (ст. 8 Основ законодавства України про охорону здоров'я).

Водночас у кожному суспільстві існують групи людей, які страждають на захворювання, що мають важкий, хронічний, прогресуючий перебіг, загрожують життю людини та потребують довічного і, як правило, дороговартісного лікування. Для таких громадян в розвинутих країнах світу передбачаються додаткові державні гарантії (соціальні, медичні, фінансові тощо), які повинні забезпечити їх життєвонеобхідними послугами та товарами, в тому числі ЛЗ, медичними виробами, продуктами харчування, без надання яких життя та здоров'я таких людей опиняються під загрозою. Пацієнти, які страждають на Р(о)З, належать до особливо вразливої групи громадян, оскільки їх лікування довічне, життєвонеобхідне та дороговартісне.

Відповідно до законодавства України «рідкісне (орфанне) захворювання – це 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 1:2000» (ст. 3 Основ законодавства України про охорону здоров'я).

Одним із основних пріоритетів ВООЗ встановлює забезпечення державами універсального доступу людей до необхідної їм медичної допомоги, у тому числі діагностики та лікування пацієнтів із Р(о)З, не покладаючи на них фінансового тягаря [15]. Забезпечення справедливого, рівного доступу громадян до діагностики, медичної допомоги (лікування), в тому числі громадян з орфанними захворюваннями (Далі – ОЗ), повинно стати одним із стратегічних орієнтирів національного розвитку України на рівні з іншими країнами-членами ООН, які приєдналися до Цілей сталого розвитку на період до 2030 року на засадах принципу «не залишити нікого осторонь» [15, 16, 17].

Протягом останніх років більшість країн ЄС мали чинні національні плани чи стратегії щодо питань ОЗ чи орфанних ЛЗ, які допомогли їм поставити на загальнонаціональний рівень та загострити питання організації надання медичної допомоги пацієнтам із ОЗ і необхідності законодавчого забезпечення.

Частина із таких програмних документів приймалась на певний період, інша частина – без прив'язки до певного часового проміжку. Зокрема, безстрокові національні плани чи стратегії діють у Бельгії, Кіпрі, Данії, Німеччині, Іспанії, Велико-

британії, Швейцарії та Норвегії. Крім того, досі чинними є національні плани чи стратегії щодо ОЗ у таких країнах, як: Австрія, Хорватія, Чехія, Естонія, Франція, Угорщина, Ірландія, Люксембург, Нідерланди, Португалія, Румунія, Словенія та Словаччина, Македонія, Польща, Сербія, Швеція. Національні плани чи стратегії в Болгарії, Греції, Італії, Латвії, Литві та Фінляндії діяли до 2018 року [21, 22, 23, 24].

Натомість, в Україні на сьогодні не запроваджено національної політики, плану чи стратегії щодо питань ОЗ, немає єдиного спеціального закону в сфері ОЗ. Весь законодавчий масив у сфері ОЗ прямо або опосередковано унормований у різних за ієрархією та сферою дії нормативно-правових актах. Така ситуація не дозволяє нашій державі повноцінно та ефективно реалізовувати державні гарантії та політику в сфері ОЗ, а також вирішувати нагальні проблеми у зазначеній сфері такі, як: запобігання новим випадкам ОЗ серед населення України; поліпшення якості життя та зменшення ступеня інвалідизації осіб, які страждають на ОЗ; повноцінна інтеграція таких осіб у суспільство; забезпечення можливості їхньої активної трудової та іншої суспільно корисної діяльності [3, 5].

Мето статті є розробка структурованого комплексного політичного програмного документу, спрямованого на вирішення питань пацієнтів які хворіють на рідкісні (орфанні) захворювання.

Методологія дослідження. Під час розробки зазначеної програми було застосовано системно-діяльнісний підхід, з використанням специфічних критеріїв до становища в якому перебуває наше суспільство. Також в ході опрацювання зазначеної нормативної платформи, для виконання пошукових завдань та практичної реалізації цього плану, використовувались загальнонаукові методи проведення досліджень.

Основні результати дослідження. Отже, обґрунтовуючи мету статті, виклад основного матеріалу дослідження пропонується викласти за наступною структурою:

- загальна частина;
- мета, завдання та строки реалізації Національної Політики;
- забезпечення раннього виявлення, профілактики, діагностики та надання якісної та ефективної медичної допомоги (лікування) ОЗ;
- забезпечення належного відбору основних лікарських засобів для лікування ОЗ, медичних виробів та продуктів спеціального лікувального харчування;
- забезпечення доступності продуктів спеціального лікувального харчування, лікарських засобів та медичних виробів для надання медичної допомоги (лікування) пацієнтам із ОЗ;
- належне фінансування системи забезпечення пацієнтів із ОЗ лікарськими засобами та продуктами спеціального лікувального харчування;
- удосконалення системи постачання лікарських засобів для лікування ОЗ;
- удосконалення державного регулювання та забезпечення якості лікарських засобів для лікування ОЗ;
- підвищення рівня раціонального використання лікарських засобів для лікування ОЗ;
- стимулювання розробки та дослідження лікарських засобів для лікування ОЗ;

- очікувані результати реалізації Національної політики;
- фінансове забезпечення реалізації Національної політики.

I. Загальна частина.

Втілюючи вищезазначені принципи та пріоритети Україна взяла на себе зобов'язання забезпечити пацієнтам з ОЗ заходи з профілактики Р(о)З, організацію надання відповідної медичної допомоги, безперебійний та безоплатний доступ до необхідних ЛЗ та відповідних харчових продуктів для спеціального дієтичного споживання (стаття 53-1 Основ законодавства України про охорону здоров'я). Такі ЛЗ, медичні вироби та продукти спеціального лікувального харчування через їх високу вартість та/або відсутність в Україні не можуть бути придбані пацієнтами самостійно. При цьому без отримання відповідних ЛЗ та/або продуктів спеціального лікувального харчування ці люди приречені на важку інвалідність чи загибель [5].

Проте, як показує досвід інших країн світу, держава позбавлена можливості повноцінно та ефективно планувати та впроваджувати заходи з профілактики ОЗ і забезпечувати осіб, які страждають на ці захворювання, адекватною медичною допомогою, без прийняття комплексного програмного документа (національної політики, національного плану, стратегії тощо) [18].

Розробка окремих комплексних політичних програмних документів, спрямованих на питання ОЗ, належить до найкращих практик розвинутих європейських держав. Перша Програма дій ЄС щодо ОЗ, включаючи генетичні захворювання, була прийнята на період з 1 січня 1999 р. до 31 грудня 2003 р. з метою забезпечення високого рівня охорони здоров'я щодо рідкісних захворювань [19].

8 червня 2009 р. Рада ЄС прийняла Рекомендацію Ради щодо дій у сфері ОЗ № 2009/С 151/02, в якій одним із завдань до держав-членів ЄС було постановлено якнайшвидше, але найкраще до кінця 2013 р., розробити та запровадити національний план чи стратегію, спрямовану на керівництво та структурування відповідних дій у сфері ОЗ у межах їхньої національної системи охорони здоров'я. Серед основних завдань на рівні ЄС та національному рівні, поставлених цим документом рекомендаційного характеру, були також такі:

- забезпечити належне визначення поняття Р(о)З, кодифікацію та класифікацію ОЗ, визнання специфіки ОЗ у національній системі охорони здоров'я та системі реімбурсації;
- збільшити кількість досліджень щодо ОЗ;
- ідентифікувати чи забезпечити створення центрів експертизи щодо ОЗ, включити їх у Європейські довідкові мережі для ОЗ;
- зібратися та обмінюватись на рівні ЄС найкращими методами діагностики та надання медичної допомоги пацієнтам із ОЗ;
- налагодження діалогу з громадськістю, в тому числі з громадськими об'єднаннями;
- забезпечити сталість інфраструктур, розроблених для ОЗ [20].

II. Мета, завдання та строки реалізації Національної Політики.

Метою Національної Політики є забезпечення справедливого та рівного доступу до якісної та висококваліфікованої діагностики та медичної допомоги

(лікування) громадян України із ОЗ, у тому числі до якісних, ефективних та безпечних орфанних ЛЗ, а також медичних виробів, продуктів спеціального лікувального харчування. Зазначене дозволить зменшити захворюваність та смертність від ОЗ, підвищити якість життя пацієнтів із ОЗ.

Основними завданнями Національної Політики є:

- удосконалення раннього виявлення, профілактики, діагностики та надання якісної та ефективної медичної допомоги (лікування) ОЗ;
- забезпечення справедливого доступу пацієнтів із ОЗ до ЛЗ, медичних виробів та продуктів спеціального лікувального харчування;
- удосконалення державного регулювання та забезпечення якості ЛЗ для лікування ОЗ;
- визначення інструментів для прийняття рішень про відбір і включення інноваційних ЛЗ для лікування ОЗ до позитивного переліку ЛЗ, фінансування яких забезпечується за рахунок бюджетних коштів;
- належне фінансування системи забезпечення пацієнтів із ОЗ ЛЗ, медичними виробами та продуктами спеціального лікувального харчування;
- удосконалення системи постачання ЛЗ для лікування ОЗ та медичних виробів;
- стимулювання розробки та дослідження, нових методів діагностики та лікування, в тому числі ЛЗ для лікування ОЗ.

Реалізація Національної Політики передбачається протягом 2022-2027 років.

Завдання Національної Політики відповідають Цілям сталого розвитку на 2016-2030 роки, затвердженим Порядком денним в галузі розвитку на Саміті ООН, що відбувся у вересні 2015 р. в рамках 70-ї сесії Генеральної Асамблеї ООН.

III. Забезпечення раннього виявлення, профілактики, діагностики та надання якісної та ефективної медичної допомоги (лікування) ОЗ.

В Україні щорічно народжується 180 тис. дітей зі спадковими захворюваннями. Більше половини з них мають вроджені вади, близько 35 тис. – хромосомні хвороби і понад 35 тис. – генні хвороби.

Дві третини ОЗ виявляють у ранньому дитячому віці, в 65% випадків ОЗ мають важкий інвалідизуючий перебіг, в 50% – погіршений прогноз для життя, в 35% випадках є причиною смерті протягом 1-го року життя, в 10% – у віці 1-5 років, в 12% – у віці 5-15 років.

За даними Центру медичної статистики МОЗ України у 2018 році на диспансерному обліку з хромосомними та спадковими патологіями перебувало 38 134 особи, з яких 24 371 – діти віком до 17 років, 13 763 – дорослі віком 18 років і старші [3].

Значна кількість ОЗ при ранньому виявленні можуть піддаватися корекції з повною або частковою реабілітацією пацієнтів.

Завдяки сучасним медичним технологіям ОЗ, які раніше вважалися інкурабельними, мають сьогодні можливість патогенетичного або симптоматичного лікування, що дозволяє повернути в суспільство фізично і соціально адаптованих, працездатних людей чи принаймні покращити якість їхнього життя [7].

Відповідно до статті 53-1 Закону України «Основи законодавства України про охорону здоров'я» на МОЗ України покладено повноваження визначити заходи, необхідні для забезпечення профілактики Р(о)З, та встановити порядок надання медичної допомоги громадянам, які страждають на ці захворювання [4].

Однак, станом на сьогодні такі заходи на підзаконному рівні не визначені, що створює суттєві бар'єри на шляху забезпечення належного раннього виявлення, профілактики та діагностики ОЗ.

Згідно з висновками Комітету з питань здоров'я нації, медичної допомоги та медичного страхування Верховної Ради України за результати робочої наради за участю представників МОЗ України, профільних громадських організацій та виробників ЛЗ і продуктів дієтичного харчування, проведеної 23 вересня 2019 року, вітчизняні галузеві стандарти діагностики та лікування багатьох ОЗ відсутні або недосконалі [25]. Це, у свою чергу, призводить до випадків постановлення невчасних або неправильних діагнозів через неможливість встановити точну причину захворювання; лікування інших захворювань замість ОЗ та, як наслідок, збільшення ускладнень та смертності пацієнтів із ОЗ. Крім того неефективне лікування призводить до додаткового бюджетного навантаження та має наслідком необґрунтоване використання бюджетних коштів в умовах обмеженого бюджетного фінансування на медичне забезпечення потреб охорони здоров'я.

З метою раннього виявлення ОЗ (зокрема, фенілкетонурії, вродженого гіпотиреозу, вродженої гіперплазії надниркових залоз, кістозного фіброзу та серпоподібних клітин) у таких розвинутих європейських країнах, як Великобританія та Франція, до груп високого ризику застосовуються скринінгові програми [26, 27]. У США подібні скринінгові програми передбачено для 68 ОЗ [28]. Такі програми дозволяють здійснювати ранню корекцію чи суттєве поліпшення стану здоров'я пацієнтів із ОЗ завдяки зміні способу життя та своєчасного лікування [26, 27].

В Україні в закладах охорони здоров'я проводяться лише 4 програми скринінгу новонароджених за таким ОЗ як: фенілкетонурія, гіпотиреоз, муковісцидоз та андрогенітальний синдром [29].

Крім того, у Великобританії, Франції та США поширеним є застосування неінвазійного пренатального тестування для виявлення ОЗ ще на стадії вагітності, що забезпечує запобігання або уповільнення розвитку ОЗ у дітей шляхом початку лікування на ранніх стадіях практично одразу після народження. Для лікарів усіх ланок закладів охорони здоров'я у Великобританії запроваджено спеціальні тренінги та вища освіта за напрямом геноміка. Для діагностики у цих країнах використовують, у тому числі, генетичні тести.

Також на ранню діагностику, встановлення правильного діагнозу та надання у подальшому ефективного лікування пацієнтам, які страждають на ОЗ, негативно впливає відсутність достатньої кількості спеціалізованих медичних закладів (експертних центрів), лабораторій генетики для таких пацієнтів і брак відповідних фахівців, системи реабілітації.

Зокрема, у Франції та Великобританії створено ряд мультидисциплінарних експертних центрів, неонатальних скринінгових центрів під керівництвом національного координаційного центру [26, 27].

Проблему забезпечення раннього виявлення, профілактики, діагностики та лікування ОЗ передбачається розв'язати шляхом [9]:

– запровадження на законодавчому рівні неонатальних скринінгових програм для раннього виявлення встановленого переліку ОЗ у визначених груп ризику та поступове розширення такого переліку;

- запровадження на законодавчому рівні генетичного тестування та інших методів діагностики ОЗ, а також інноваційних технологій для підвищення ефективності ранньої діагностики ОЗ;

- запровадження на законодавчому рівні неінвазійного пренатального тестування для виявлення встановленого переліку ОЗ на стадії вагітності із врахуванням основних принципів біоетики;

- фінансування за рахунок бюджетних коштів на неонатальні скринінгові програми та неінвазійне пренатальне тестування у межах встановленого переліку ОЗ та визначених груп ризику, а також генетичних тестувань;

- забезпечення заходів повторної діагностики пацієнтів, у яких не встановлено діагноз, на підставі результатів нових наукових досліджень у сфері ОЗ;

- перегляд старих та розробка і затвердження нових галузевих стандартів у сфері охорони здоров'я для виявлення, ранньої діагностики та лікування пацієнтів із ОЗ;

- розвиток національного та міжнародного співробітництва з питань ОЗ, отримання та обмін досвідом щодо скринінгових програм, методів діагностики та лікування пацієнтів із ОЗ;

- забезпечення навчання та підвищення кваліфікації медичних працівників, що беруть участь у профілактиці, виявленні, діагностиці та лікуванні пацієнтів із ОЗ, у тому числі на первинній ланці;

- створення та забезпечення належного фінансування за рахунок субвенції з державного бюджету нових спеціалізованих медичних закладів (експертних центрів) та лабораторій генетики для надання медичної допомоги пацієнтам із ОЗ, фінансова підтримка наявних спеціалізованих медичних закладів та лабораторій генетики;

- створення та забезпечення належного фінансування системи реабілітації для пацієнтів із ОЗ;

- встановлення механізмів доступу пацієнтів з ОЗ до інформації щодо ОЗ.

Удосконалення кадрового забезпечення для діагностики та надання медичної допомоги громадянам із ОЗ.

Низький рівень обізнаності лікарів первинної ланки стосовно виявлення та ранньої діагностики ОЗ, а також відсутність або недосконалість вітчизняних галузевих стандартів діагностики та лікування багатьох ОЗ призводить до постановки невчасних або неправильних діагнозів пацієнтам із ОЗ. Крім того, невелика кількість пацієнтів із певним ОЗ має свою специфіку, що ускладнює процес діагностики та лікування таких пацієнтів.

Слід також зазначити, що за останні роки, особливо серед молоді, зростає кількість медичних працівників, у тому числі лікарів, які від'їжджають працювати за кордон. Така тенденція призводить до дефіциту кваліфікованих фахівців, що має негативні наслідки для кадрового забезпечення як всієї галузі охорони здоров'я, так і для окремих напрямків.

Проблеми у сфері кадрового забезпечення для діагностики та надання медичної допомоги громадянам із ОЗ передбачається розв'язати шляхом:

- підготовки кваліфікованих фахівців з діагностики та лікування ОЗ у вищих навчальних закладах, закладах охорони здоров'я, що спеціалізуються на діагностиці та лікуванні ОЗ;

- забезпечення навчання та підвищення кваліфікації медичних працівників, що беруть участь у профілактиці, виявленні, діагностиці та лікуванні пацієнтів із ОЗ, у тому числі на первинній ланці;
- створення освітніх програм, громадських організацій для надання інформації та підтримки пацієнтам з ОЗ;
- державної підтримки просвітницької, науково-дослідної, технічної, освітньої політики у сфері ОЗ шляхом запровадження інформаційно-довідкових мереж, уніфікованих пацієнтських маршрутів, реалізація освітніх та науково-дослідних програм;
- проведення для лікарів заходів, направлених на обмін досвідом та знаннями з іноземними фахівцями, які спеціалізуються на відповідних ОЗ, у формі тренінгів, семінарів, вебінарів тощо.

IV. Забезпечення моніторингу з питань ОЗ.

Відсутність державного реєстру громадян, які страждають на ОЗ, не дає можливості чітко визначити кількість пацієнтів з ОЗ, їхню потребу в лікуванні, у тому числі ЛЗ, медичних виробів та продуктах спеціального дієтичного харчування, та, як наслідок, необхідний розмір фінансування за рахунок бюджетних та позабюджетних коштів і подальший моніторинг та контроль їхнього використання.

Створення такого державного реєстру передбачено на рівні закону. Відповідно до статті 53-1 Закону України «Основи законодавства України про охорону здоров'я» держава забезпечує заходи з профілактики Р(о)З та організацію надання громадянам, які страждають на такі захворювання, відповідної медичної допомоги [4]. З цією метою центральний орган виконавчої влади, що забезпечує формування державної політики у сфері охорони здоров'я [8]:

- визначає та затверджує перелік Р(о)З та забезпечує офіційну його публікацію;
- в порядку, встановленому Кабінетом Міністрів України, забезпечує створення та ведення державного реєстру громадян, які страждають на ОЗ.

Із наведених вище зобов'язань виконано лише одне – на підзаконному рівні, а саме наказом МОЗ України від 27 жовтня 2014 р. № 778 затверджено перелік ОЗ, який містить 275 позицій із зазначенням кодів Міжнародної статистичної класифікації МКХ-10. При цьому відповідний державний реєстр досі не створено.

У Рекомендації Європейської Ради щодо заходів у сфері ОЗ від 8 червня 2009 р. № 2009/С 151/02 державні реєстри пацієнтів із ОЗ розглядаються як необхідне джерело відомостей про ОЗ, а також як один із ключових елементів національних планів чи стратегій, які рекомендується розробити кожній країні-члену ЄС [30].

Заслуговує на увагу також рекомендація експертного комітету ЄС, створеного 30 листопада 2009 р. на підставі рішення Європейської Комісії № 2009/872/ЕС з метою надання консультативної підтримки Європейській Комісії у підготовці та запровадженні заходів у сфері ОЗ [31]. Згідно з Рекомендацією названого експертного комітету ЄС «Щодо рідкісних захворювань та реєстрації пацієнтів із ОЗ та збору даних» від 5 червня 2009 р. створення реєстрів на засадах державно-приватного партнерства та належна система кодування ОЗ у таких реєстрах надають змогу збирати необхідний масив даних для забезпечення належного стану здоров'я пацієнтів із ОЗ та проведення досліджень у цій сфері [32].

Зокрема, у Великобританії запроваджено систему кодування ОЗ Orphanet, яка відрізняється більшим рівнем стандартизації, ніж Міжнародна статистична класифікація МКХ-10 [26].

Окремо також слід зазначити, що на сьогодні в Україні діє електронна система охорони здоров'я eHealth, яку Європейські експерти з ОЕСР (Організація економічного співробітництва та розвитку) визнали однією з найперспективніших у державному секторі по всьому світу. Система eHealth – це українська інформаційно-телекомунікаційна система, що забезпечує автоматизацію ведення обліку медичних послуг та управління медичною інформацією в електронному вигляді, основний функціонал якої дозволяє пацієнтам отримувати, а лікарям надавати якісні медичні послуги [1], а саме:

- створити «єдиний медичний простір» для координації і інтеграції між рівнями медичної допомоги, а також для запровадження нової системи управління якістю послуг [6];

- виписувати електронні рецепти;

- реалізувати принцип «гроші ходять за пацієнтом»;

- контролювати, наскільки ефективно витрачаються виділені на охорону здоров'я бюджетні кошти;

- у майбутньому кожному пацієнту швидко отримати свою медичну інформацію, а лікарям правильно ставити діагноз з урахуванням цілісної картини здоров'я пацієнта;

- вести електронні державні реєстри у сфері охорони здоров'я.

Враховуючи можливості системи eHealth та той факт, що в ній вже функціонують інші реєстри у сфері охорони здоров'я, державний реєстр громадян, які страждають на ОЗ, доцільно інтегрувати та вести в зазначеній системі. Це дасть можливість акумулювати всі медичні дані про пацієнта з ОЗ та фіксувати кожен його крок щодо лікування (виписаний рецепт, призначені аналізи та їхні результати тощо) в єдиній системі.

Проблеми у сфері моніторингу з питань ОЗ передбачається розв'язати шляхом:

- створення та забезпечення функціонування державного реєстру громадян, які страждають на ОЗ, із уніфікованою системою кодування ОЗ, із включенням до нього інформації про пацієнтів, діагноз яким не вдалось постановити;

- ведення державного реєстру громадян, які страждають на ОЗ, в системі eHealth.

V. Забезпечення належного відбору основних лікарських засобів для лікування ОЗ, медичних виробів та продуктів спеціального лікувального харчування.

Відбір основних ЛЗ для лікування ОЗ є одним з пріоритетних напрямів Національної політики, метою якого є забезпечення доступу пацієнтів із ОЗ у потрібній кількості до життєвонеобхідних ЛЗ протягом усього їхнього життя. Порядок прийняття рішень про відбір основних ЛЗ до позитивного переліку повинен базуватися на єдиних об'єктивних, прозорих, визначених законодавством критеріях відбору ЛЗ до такого переліку [2].

Однак оцінка кожного критерія та його питома вага при прийнятті рішення про включення ЛЗ для лікування ОЗ до позитивного переліку повинна врахову-

вати специфіку таких ЛЗ у порівнянні з іншими ЛЗ (значні витрати на розробку та дослідження, обмежена кількість пацієнтів та невеликі обсяги закупівель, висока ціна тощо).

З 2016 року в Україні запроваджується нова модель відбору основних ЛЗ. На законодавчому рівні визначено механізм та критерії відбору таких ЛЗ, структури, які відповідають за зазначений відбір, а саме: наказом МОЗ України від 11.02.2016 р. № 84 затверджено Положення про Національний перелік основних ЛЗ та Положення про експертний комітет з відбору та використання основних ЛЗ, а наказом МОЗ України від 07.10.2016 р. № 1050 затверджено Положення про здійснення відбору ЛЗ для внесення до Національного переліку основних ЛЗ. Модель відбору основних ЛЗ, яку регламентують вищезазначені накази МОЗ України, заснована на застосуванні системи оцінки медичних технологій [33].

Водночас наявність в Україні визначених різними нормативно-правовими актами численних переліків (Національний перелік основних ЛЗ; перелік та номенклатура ЛЗ і медичних виробів, що закуповуються спеціалізованими організаціями; перелік ЛЗ, які підлягають реімбурсації за програмою медичних гарантій тощо) не дає можливості створити єдиний позитивний перелік ЛЗ, які закуповуються або реімбурсуються за рахунок бюджетних коштів. Так на сьогодні в Україні формуються такі переліки ЛЗ, закупівля або відшкодування вартості яких забезпечуються за рахунок бюджетних коштів:

1) Національний перелік основних ЛЗ, затверджений постановою КМУ від 25 березня 2009 р. № 333 «Деякі питання державного регулювання цін на лікарські засоби і вироби медичного призначення».

З 1 вересня 2017 р. ЛЗ, що в установленому законом порядку зареєстровані в Україні та включені до Національного переліку основних ЛЗ, підлягають закупівлі закладами і установами охорони здоров'я, що повністю або частково фінансуються з державного та місцевих бюджетів.

Національний перелік формується Експертним комітетом відповідно до Положення про здійснення відбору ЛЗ для внесення до Національного переліку основних ЛЗ, затвердженого наказом МОЗ України від 07.10.2016 № 1050 (у редакції наказу МОЗ України від 01.08.2017 № 885);

2) Перелік ЛЗ та медичних виробів, які закуповуються на підставі угод (договорів) щодо закупівлі із спеціалізованими організаціями, які здійснюють закупівлі за напрямами використання бюджетних коштів за бюджетною програмою 2301400 «Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру» (зі змінами та доповненнями), затверджений постановою КМУ від 23 серпня 2016 р. № 557;

На виконання вищезазначеної постанови КМУ від 23 серпня 2016 р. № 557 МОЗ України щороку затверджує своїм наказом номенклатуру ЛЗ та медичних виробів, які закуповуються на підставі угод (договорів) щодо закупівлі із спеціалізованими організаціями, які здійснюють закупівлі за напрямами використання бюджетних коштів у 2016 році за бюджетною програмою 2301400 «Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру» (номенклатура на 2019 рік затверджена наказом МОЗ України від 29.12.2018 р. № 2499).

Відбір ЛЗ та медичних виробів до номенклатури здійснюється Постійною робочою групою МОЗ України з питань профільного супроводу державних закупівель за участю груп експертів та фахівців, що залучаються до роботи Постійної робочої групи (накази МОЗ України від 17 січня 2017 року № 32 «Про затвердження положення про Постійну робочу групу МОЗ України з питань профільного супроводу державних закупівель», від 02 березня 2017 року № 200 «Про затвердження Положення про групи експертів та фахівців, що залучаються до роботи Постійної робочої групи МОЗ України з питань профільного супроводу державних закупівель»);

3) Перелік міжнародних непатентованих назв ЛЗ, які реімбурсуються через НСЗУ, сформований відповідно до постанови КМУ від 17 березня 2017 р. № 152 «Про забезпечення доступності лікарських засобів»;

4) Перелік торговельних назв препаратів інсуліну, вартість яких відшкодується за рахунок бюджетних коштів, сформований відповідно до постанов КМУ від 5 березня 2014 р. № 73, від 23 березня 2016 р. № 239 та наказу МОЗ України від 13 квітня 2016 р. № 359.

Така кількість переліків призводить до:

- відсутності єдиної системи, єдиного підходу до критеріїв щодо формування переліків та послідовності дій щодо відбору ЛЗ та прийняття рішень про відшкодування або закупівлю ЛЗ;

- дублювання переліків та відповідальних за їх формування структур;

- неефективного використання бюджетних коштів, оскільки ЛЗ з однаковими міжнародними непатентованими назвами включаються до різних переліків і одночасно фінансуються з державного та місцевих бюджетів.

Неузгоджений підхід до формування переліків унеможливорює ефективне впровадження оцінки медичних технологій як прозорого інструменту, який надає висновки для обґрунтованих рішень про відшкодування та закупівлю дороговартісних ЛЗ в умовах обмеженого бюджетування, а також стає бар'єром на шляху покращення доступу до інноваційних дороговартісних методів лікування для пацієнтів з ОЗ.

Поняття «дорого вартісного» ЛЗ (англ. high-cost medicines) не визначено в міжнародному аспекті. Але в широкому розумінні та за концепцією його застосування в міжнародних технічних докладах у сфері охорони здоров'я до дороговартісних ЛЗ можна віднести ЛЗ, вартість річного лікування яким перевищує 10 т. євро на одного пацієнта по закупівельним цінам та за рахунок бюджетних коштів [34].

Відсутність єдиного переліку пріоритетних нозологій і станів, у тому числі і ОЗ, які повинні фінансуватися за рахунок бюджетних коштів, також ускладнює процес відбору ЛЗ.

Зазначені вище фактори не дозволяють застосовувати сучасні інструменти для прийняття рішень про відшкодування вартості і закупівлю дороговартісних ЛЗ, до яких відносяться більшість ЛЗ для лікування ОЗ. Відсутність таких механізмів обмежує доступ пацієнтів з ОЗ до життєвонеобхідних їм ЛЗ.

В Україні на сьогодні не визначено та не затверджено граничні показники впливу на бюджет, не затверджено граничні показники економічної доцільності, не розроблені та не застосовуються механізми MEAs (угоди про доступ ЛЗ), процедури прямих переговорів з виробниками та MCDA (мультикритеріальний аналіз прийняття рішень). Також не затверджено чітких критеріїв та інструментів для прийняття рішень щодо пріоритетності захворювань та станів.

Це призводить до того, що прийняття рішень щодо державного фінансування ОЗ відбувається за суб'єктивними критеріями, частину орфанних нозологій включено до національних програм, а інші залишаються поза ними [11, 35].

В багатьох розвинутих країнах світу (Великобританії, Канаді, Італії, Німеччині, Угорщині, Польщі, Нідерландах) для прийняття обґрунтованих рішень щодо питань забезпечення населення ЛЗ використовується мультикритеріальний аналіз прийняття рішень (комплексний аналітичний процес, який дозволяє прозоро враховувати ряд критеріїв, зокрема поширеність, смертність і важкість захворювання; рівень незадоволеної потреби; соціоекономічні наслідки; клінічну ефективність та безпеку; економічну доцільність; вплив на бюджет, та оцінювати їх відповідно до їх важливості). Це дозволяє визначитись із стратегією лікування та встановити рівень фінансового тягаря, який не повинен перекладатися на пацієнта [3].

Застосування наведеного аналізу також рекомендовано керівними рекомендаціями Міжнародного товариства фармакоекономічних досліджень ISPOR та Лондонською школою економіки і політичних наук LSE [12, 13, 14]. В Україні на рівні законодавства такий механізм оцінки рішень відсутній.

Крім того, слід зазначити, що визнаним фактом є те, що ЛЗ для лікування ОЗ не є економічно доцільними. З цим пов'язана складність прийняття рішень про відшкодування вартості цих ЛЗ і прагнення зацікавлених сторін знайти об'єктивний, систематичний, прозорий та повторюваний підхід до вирішення питання фінансування нових методів лікування пацієнтів з ОЗ. Одним із інструментів прийняття рішень, який застосовується у Великобританії, і теж базується на результатах оцінки медичних технологій з використанням показників економічної доцільності та впливу на бюджет і елементами мультикритеріального аналізу, є метод Highly Specialised Technologies Programme (HST).

Не дивлячись на відсутність економічної доцільності як головного критерію при відборі ЛЗ для лікування ОЗ, метод HST передбачає використання показника економічної доцільності для прийняття рішень про відшкодування вартості ЛЗ для лікування ОЗ.

Метод HST використовує індекс QALY (збереження років життя, скоригованих за якістю) як спосіб кількісно проілюструвати те, що насправді має значення для пацієнтів (додаткова терапевтична користь). Тільки у випадку доведеної терапевтичної користі технології прийнятні більш високі порогові показники економічної доцільності і технологія визнається економічно доцільною.

Застосування методу HST як інструменту відбору ЛЗ для лікування ОЗ дозволяє включати ЛЗ до переліку, враховуючи їхню доведену терапевтичну користь та ефективність лікування для пацієнта як один із основних критеріїв при оцінюванні таких ЛЗ.

Проблему відбору основних ЛЗ в Україні для лікування ОЗ, а також продуктів спеціального лікувального харчування передбачається розв'язати шляхом:

- гармонізація стратегії застосування і фінансування Національного переліку як єдиного позитивного переліку відповідно до кращих міжнародних практик. У таких країнах світу як Румунія, Чехія, Бельгія, Франція, Естонія національний перелік включає ЛЗ для лікування ОЗ;

- формування позитивного переліку виробів медичного призначення та спеціального лікувального харчування;

- удосконалення законодавства щодо формування та фінансування Національного переліку як єдиного позитивного переліку ЛЗ;

- розробка порядку прийняття рішень щодо включення ЛЗ для лікування ОЗ до Національного переліку із застосуванням мультикритеріального аналізу, переговорної процедури та договорів про доступ на ринок;

- затвердження такого порядку на законодавчому рівні з урахуванням існуючого технічного та кадрового потенціалу;

- затвердження на законодавчому рівні використання мультикритеріального аналізу для визначення пріоритетних захворювань та станів серед яких рідкі хвороби та патологічні стани, які їх супроводжують;

- регулярне оновлення Національного переліку за принципами прозорості та відкритості процесу відбору із застосуванням методів оцінки медичних технологій і інструментів прийняття рішень (MCDA та MEA) з урахуванням того факту, що ЛЗ для лікування ОЗ не є економічно доцільними [9];

- розробка механізмів формування та фінансування позитивного переліку медичних виробів та продуктів спеціального лікувального харчування пацієнтів з ОЗ, що закуповуються за бюджетні кошти;

- формування переліку медичних виробів і продуктів спеціального лікувального харчування з урахуванням потреб регіонів України.

VI. Забезпечення доступності продуктів спеціального лікувального харчування, лікарських засобів та медичних виробів для надання медичної допомоги (лікування) пацієнтам із ОЗ.

Особливістю ЛЗ для лікування ОЗ, спеціального лікувального харчування, що використовується для лікування ОЗ, є їхня надзвичайно висока вартість у порівнянні з іншими ЛЗ, медичними виробами, що спричинено розподілом вартості на досить незначну кількість пацієнтів із ОЗ. Крім того у собівартості ЛЗ для лікування ОЗ питому вагу складають витрати на розробку та дослідження таких ЛЗ, що також впливає на їхню високу вартість на ринку [3]. Як наслідок, фінансова доступність медичних виробів, ЛЗ для лікування ОЗ та спеціальних продуктів харчування є вкрай низькою для переважної більшості пацієнтів, які страждають на ОЗ. Самостійне їх придбання пацієнтами із ОЗ призводить до непомірних фінансових витрат домогосподарств на охорону здоров'я [1, 3].

У результаті значна кількість пацієнтів із ОЗ позбавлені можливості отримувати необхідну їм медичну допомогу (лікування), у тому числі ЛЗ для лікування ОЗ.

На сьогодні джерелами для фінансування закупівлі ЛЗ для лікування ОЗ виступають, як правило, державний та місцеві бюджети, міжнародні організації, громадські та благодійні організації, приватні спонсори.

Кожній країні притаманні свої процедури фінансового забезпечення доступу пацієнтів до ЛЗ для лікування ОЗ, які застосовуються окремо або у поєднанні, серед найпоширенішими з яких є:

- встановлення вільної ціни ЛЗ для лікування ОЗ (у США, Німеччині);
- процедури державних закупівель ЛЗ для лікування ОЗ, у тому числі через спеціалізовані організації;

- державне регулювання цін на ЛЗ для лікування ОЗ (у Португалії, Іспанії, Канаді та Японії), які включають референтне ціноутворення, яке, як правило, не призводить до зниження ціни, або встановлення граничного рівня ціни із врахуванням вартості розробки та дослідження орфанних ЛЗ та відсотку прибутку, що інколи сприяє зниженню вартості таких ЛЗ на 40% у порівнянні із вільними цінами;

- державний контроль за прибутком фармацевтичних компаній (у Бельгії, Греції та Італії);

- процедури прямих переговорів з виробниками ЛЗ для лікування ОЗ (у Тайвані, а також більшості країн ЄС, у тому числі Італії, Великобританії, Франції, Німеччині, Фінляндії, Португалії, Нідерландах, Швеції, Бельгії, Мальті, Кіпрі, Іспанії, Ірландії, Румунії, Словенії, Хорватії);

- процедури реімбурсації (у Німеччині, Данії, Великобританії, Польщі, Іспанії, Італії, Бельгії, Нідерландах, Франції, Австралії, Латвії, Румунії, Литві, Естонії, Словаччині, Чехії, Хорватії) [21, 36, 37, 38, 39, 40, 41, 46].

При застосуванні процедури реімбурсації ЛЗ для лікування ОЗ зазначені країни здебільшого застосовують оцінку медичних технологій, яка передбачає аналіз економічної ефективності, заснованої на таких показниках, як збереження років життя, скоригованих за якістю (індекс QALY), та інкрементальний показник ефективності витрат (ICER) [42].

Як свідчить досвід країн ЄС процедури прямих переговорів з виробниками ЛЗ, як правило, містять конфіденційні умови щодо ціни закупівлі. З усіх країн лише Італія відмовилась від конфіденційної складової таких переговорів. Ціна ЛЗ визначається виходячи із оцінки значення цих ЛЗ для пацієнтів та системи охорони здоров'я та адаптується під медичні та економічні потреби окремої країни [36, 37, 39, 43].

Свою дієвість у зменшенні цін на орфанні ЛЗ, що сприяло зменшенню фінансового тягаря пацієнтів із ОЗ, також показали процедури прямих переговорів із виробниками зазначених препаратів на підставі спільного договору про закупівлі Бельгії, Австрії, Нідерландів та Люксембургу, а також аналогічного договору між Болгарією та Румунією. Основою прямих переговорів із виробниками є три основні принципи: оцінка вартості, кількість пацієнтів із ОЗ, які отримують лікування, та постійне забезпечення доказовості лікування після проходження ЛЗ для лікування ОЗ процедури реєстрації [44, 45, 46].

В Україні наведений вище дієвий механізм прямих переговорів з виробниками законодавчо не передбачений та, як наслідок, не реалізований, що ускладнює закупівлі іноземних дороговартісних ЛЗ для лікування ОЗ.

Водночас забезпечення населення ЛЗ та підвищення рівня їх доступності є невід'ємною складовою державної політики у сфері охорони здоров'я, яка спрямована на створення системи, орієнтованої на пацієнта, як це впроваджено у розвинутих європейських державах (Державна стратегія реалізації державної політики забезпечення населення ЛЗ на період до 2025 року, затверджена постановою Кабінету Міністрів України від 5 грудня 2018 р. № 1022).

У пацієнтів із ОЗ наявні проблеми із доступністю ЛЗ залежно від потреби. Не зважаючи на те, що обсяг фінансування в Україні ЛЗ для лікування ОЗ до 2020 року становив 25% усього розміру видатків Державного бюджету України на закупівлю ЛЗ, потреба пацієнтів із ОЗ забезпечувалась лише на 50 %. Зокрема, пацієнти із гемофілією змушені були ділити добову дозу ЛЗ на 2-3 рази.

Проблему забезпечення доступності ЛЗ для лікування ОЗ передбачається розв'язати шляхом:

- запровадження процедури прямих переговорів з виробником для закупівлі ЛЗ для лікування ОЗ;
- запровадження як винятку призначення ЛЗ поза межами інструкції для медичного застосування за відсутності в Україні необхідних ЛЗ для лікування пацієнтів із ОЗ;
- визначення порядку прийняття рішень про відбір до Національного переліку ЛЗ для лікування ОЗ;
- створення додаткових гарантій пожиттєвої державної підтримки в сфері медичної допомоги для дітей-сиріт, які страждають на ОЗ.

VII. Належне фінансування системи забезпечення пацієнтів із ОЗ лікарськими засобами та продуктами спеціального лікувального харчування.

Національна політика у сфері фінансування системи забезпечення громадян із ОЗ ЛЗ повинна бути спрямована на зменшення фінансового тягаря на таких громадян, створення та функціонування ефективного механізму відбору та подальшого фінансування таких витрат, що сприятиме підвищенню фінансової доступності ЛЗ для лікування ОЗ.

Відсутність механізму, чітких критеріїв та інструментів для формування та прийняття рішень щодо пріоритетності захворювань та станів та, як наслідок, закупівлі ЛЗ для лікування ОЗ, в умовах обмеженого фінансування, розмір якого щороку змінюється, не дозволяє забезпечити постійний економічно прогнозований доступ пацієнтів із ОЗ до необхідних їм ЛЗ.

На сьогодні часткове фінансування медикаментозного забезпечення пацієнтів з ОЗ передбачене в загальній бюджетній програмі за КПКВК 2301400 «Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру», головним розпорядником якої є МОЗ України, за напрямом «Закупівля ЛЗ, медичних виробів, інших товарів і послуг» у частині «Закупівля медикаментів для громадян, як страждають на орфанні метаболічні захворювання». Зокрема, із 275 лише на 16 нозологій у 2019 році виділено державне фінансування для надання медичної допомоги пацієнтам із такими ОЗ. Згідно з паспортом бюджетної програми «Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру»

на 2019 рік, затвердженого наказом МОЗ України від 11 березня 2019 р. № 552, бюджетні кошти у названому році спрямовувались на фінансування таких ОЗ: муковісцидозу, первинних (вроджених) імунодефіцитів, хворобу Гоше, фенілкетонурию, вродженого гіпотиреозу, адреногенітального синдрому, мукополісахаридозу, легеневої артеріальної гіпертензії, бульозного епідермолізу, гемофілію типів А або В, хворобу Віллебранда, орфанних метаболічних захворювань, резистентної форми ювеніального ревматоїдного артриту, ідіопатичної сімейної дистонії, спастичної кривошиї, ідіопатичної рото-лицевої дистонії.

У 2020 році бюджет державних закупівель ЛЗ, продуктів спеціального харчування та медичних виробів збільшився – на 1,5 млрд грн. Передбачалось 8,1 млрд на закупівлі. Для порівняння – у 2019 році на закупівлі було передбачено 6,6 млрд грн. А у попередні два роки поспіль – 2017, 2018 – на закупівлю ЛЗ та медичних виробів виділялося з держбюджету по 5,9 млрд грн на рік.

Серед програм, за якими здійснюються закупівлі, – і лікування Р(о)З.

Передбачається, що закупівлі ліків продовжуватимуть здійснювати міжнародні організації (Програма розвитку ООН (ПРООН), Дитячий фонд ООН (ЮНІСЕФ), Crown Agents), а також створене у 2018 році ДП «Медичні закупівлі України».

Формування номенклатури ЛЗ, медичних виробів та продуктів дієтичного харчування для здійснення публічних закупівель для пацієнтів з ОЗ також не повною мірою відповідає реальним потребам таких пацієнтів.

В Україні також відсутня якісна система моніторингу та контролю за обігом коштів державного та місцевих бюджетів, призначених для закупівлі ЛЗ, у тому числі для лікування ОЗ.

Проблему фінансування системи забезпечення пацієнтів із ОЗ ЛЗ передбачається розв'язати шляхом:

- запровадження централізованої процедури закупівель за рахунок бюджетних коштів, у тому числі за рахунок місцевих бюджетів, дороговартісних ЛЗ для лікування ОЗ та продуктів спеціального лікувального харчування. Централізована процедура закупівель дороговартісних товарів, яка проводиться одним замовником в сфері охорони здоров'я, дозволить застосування прямих переговорів між замовником та виробником, укладання договорів про доступ на ринок (МЕА), що забезпечить зниження закупівельних цін, оскільки останні є, як правило, конфіденційними і не можуть діяти в умовах децентралізованих закупівель;

- створення юридичної особи, уповноваженої на здійснення централізованих закупівель дороговартісних ЛЗ, медичних виробів, інших товарів і послуг у сфері охорони здоров'я за кошти державного бюджету та місцевих бюджетів для виконання державних та регіональних програм, направлених на здійснення заходів з охорони здоров'я;

- створення системи моніторингу та контролю за обігом коштів державного та місцевих бюджетів, призначених для закупівлі ЛЗ для лікування ОЗ;

- створення податкових стимулів для застосування позабюджетного фінансування шляхом: віднесення витрат юридичних осіб, пов'язаних із допомогою на лікування пацієнтів із ОЗ, на валові витрати виробництва та обігу, а також

звільнення таких пацієнтів від податку на доходи фізичних осіб при отриманні відповідної допомоги на лікування та ЛЗ;

– оптимізація наявних фінансових ресурсів шляхом запровадження процедури прямих переговорів з виробником, яка матиме наслідком забезпечення ЛЗ більшої кількості пацієнтів в умовах обмежених ресурсів.

VIII. Удосконалення системи постачання лікарських засобів для лікування ОЗ.

В Україні відсутня якісна система моніторингу та контролю за розподілом ЛЗ для лікування ОЗ, їх обліком у державних та комунальних закладах охорони здоров'я. Крім того, відсутній механізм контролю за обігом ЛЗ, які ввозяться в Україну як гуманітарна допомога. Поширеним є випадки ввезення неякісних незареєстрованих ЛЗ для лікування ОЗ на територію України.

Проблему у сфері постачання ЛЗ для лікування ОЗ передбачається розв'язати шляхом:

– створення та функціонування електронної системи обліку залишків ЛЗ для лікування ОЗ із використанням даних із державного реєстру громадян, які страждають на ОЗ;

– запровадження механізму контролю за обігом ЛЗ, які ввозяться в Україну як гуманітарна допомога;

– запровадження механізму контролю якості незареєстрованих ЛЗ для лікування ОЗ, що ввозяться в Україну.

IX. Удосконалення державного регулювання та забезпечення якості лікарських засобів для лікування ОЗ.

Державне регулювання обігу ЛЗ для лікування ОЗ повинно здійснюватися на усіх етапах такого обігу (від виготовлення до медичного застосування) на підставі нормативно-правових актів, прийнятих у відповідності до міжнародної практики, здійснення контролю за їх виконанням усіма учасниками процесу.

Чинна система державного регулювання у сфері обігу ЛЗ для лікування ОЗ потребує удосконалення шляхом гармонізації законодавства України із законодавством ЄС, а також спрощення процедур для збільшення доступності ЛЗ пацієнтам із ОЗ. Зокрема, доцільним є запровадження в Україні процедури автоматичного визнання сертифікатів належної виробничої практики, виданих за результатами інспектування уповноваженими регуляторними органами виробничих дільниць, розташованих на території Сполучених Штатів Америки (Далі – США), Швейцарії, Японії, Австралії, Канади, а також держав – членів Європейського Союзу (Далі – ЄС) [9].

На сьогодні в Україні спрощена процедура державної реєстрації поширюється на ЛЗ, зареєстровані компетентним органом США, Швейцарії, Японії, Австралії, Канади, та за централізованою процедурою Європейським агентством з ЛЗ (ст. 9 Закону України «Про ЛЗ»). Відповідно до Порядку державної реєстрації (перереєстрації) ЛЗ, затвердженого постановою Кабінету Міністрів України від 26 травня 2005 р. № 376, державна реєстрація ЛЗ, зареєстрованого компетентним органом США, Швейцарії, Японії, Австралії, Канади, за централізованою процедурою компетентним органом ЄС для застосування на території таких країн чи

держав – членів ЄС, здійснюється на підставі заяви та висновку Центру, складеного за результатами проведення у визначеному МОЗ України порядку розгляду доданих до заяви матеріалів. Спрощена процедура державної реєстрації передбачена також для ЛЗ, що закуповуються спеціалізованими організаціями, визначеними відповідно до Закону України «Про публічні закупівлі».

Також на митну територію України можуть ввозитися незареєстровані ЛЗ для лікування ОЗ за рішенням МОЗ України. Це положення стосується лише ЛЗ, розроблених виключно для лікування ОЗ, які в установленому порядку допущені до застосування на території США або держав – членів ЄС, незалежно від того, чи зареєстровані вони як ЛЗ компетентними органами США або ЄС (ст. 17 Закону України «Про ЛЗ»).

Водночас на відміну від ЄС у законодавчому полі України відсутнє визначення терміну «орфанний ЛЗ», а також немає критеріїв віднесення ЛЗ до орфанних. Зокрема, визначення орфанних ЛЗ, порядок і критерії віднесення ЛЗ до орфанного передбачено Регламентом (ЄР) від 16 грудня 1999 р. № 141/2000 щодо орфанних ЛЗ (далі – Регламент щодо орфанних ЛЗ) [47].

Регламентом щодо орфанних ЛЗ встановлено, що реєстрація орфанних ЛЗ, які відповідають встановленим критеріям, повинна здійснюватися на підставі Регламенту ЄЕС № 2309/93, тобто за централізованою процедурою [48].

ЛЗ для лікування ОЗ є життєво необхідними для пацієнтів, мають ряд ознак, які, як правило, не притаманні решті ЛЗ, оскільки вони розробляються/виготовляються/поставляються для незначної кількості осіб.

Тому для забезпечення стимулювання введення на фармацевтичний ринок та поставки ЛЗ для лікування ОЗ, а також можливості доступу до них пацієнтів, ЛЗ для лікування ОЗ потребують спеціального державного регулювання на рівні закону.

Так у світовій практиці до основних стимулюючих заходів фармацевтичного ринку ЛЗ для лікування ОЗ, зокрема, належать:

- безкоштовна консультативна допомога для розробки протоколів клінічних випробувань орфанних ЛЗ (для виробників усіх країн-членів ЄС на підставі Регламенту щодо орфанних ЛЗ, а також для виробників у США);
- система зменшення розмірів або повного звільнення від сплати зборів на процедури, пов'язані із державною реєстрацією ЛЗ для лікування ОЗ;
- зменшення розмірів або повного звільнення від сплати зборів на державну реєстрацію, внесення змін до матеріалів реєстраційного дос'є, інспекції, щорічні збори протягом першого року після державної реєстрації орфанних ЛЗ для виробників усіх країн-членів ЄС на підставі Регламенту щодо орфанних ЛЗ;
- зменшення розмірів на державну реєстрацію орфанних ЛЗ для виробників у США [49, 50, 51, 52].

З моменту запровадження в ЄС стимулюючих заходів на підставі Регламенту щодо орфанних ЛЗ кількість доступних пацієнтам із ОЗ орфанних ЛЗ зростає із 8 до 164 станом на початок 2019 року, а кількість поданих заяв на віднесення ЛЗ до орфанних зростає із 548 на початку 2000-х років до 1151 у період з 2010-2015 років [53].

Проблему державного регулювання та забезпечення якості ЛЗ для лікування ОЗ передбачається розв'язати шляхом [10]:

- прийняття Закону України «Про орфанні захворювання» із визначенням терміну «орфанний ЛЗ», а також критеріїв віднесення ЛЗ до орфанних, запровадження стимулюючих заходів для державної реєстрації ЛЗ для лікування ОЗ;
- автоматичного визнання в Україні сертифікатів належної виробничої практики, виданих за результатами інспектування уповноваженими регуляторними органами виробничих дільниць, розташованих на території США, Швейцарії, Японії, Австралії, Канади, а також держав – членів ЄС;
- державної реєстрації ЛЗ, зареєстрованого компетентним органом США, Швейцарії, Японії, Австралії, Канади, за централізованою процедурою компетентним органом ЄС для застосування на території таких країн чи держав – членів ЄС;
- зменшення розмірів зборів для державної реєстрації ЛЗ для лікування ОЗ;
- міжнародної співпраці щодо обміну інформацією про ефективність та безпеку ЛЗ для лікування ОЗ із уповноваженими регуляторними органами іноземних держав.

Х. Підвищення рівня раціонального використання лікарських засобів для лікування ОЗ.

Удосконалення кадрового забезпечення та вітчизняних галузевих стандартів діагностики і лікування ОЗ, ведення державного реєстру громадян, які страждають на ОЗ, запровадження централізованої електронної системи обліку залишків ЛЗ, обов'язкове забезпечення контролю за відпуском пацієнтам ЛЗ для лікування ОЗ виключно на підставі рецептів дозволять підвищити рівень раціонального використання ЛЗ для лікування ОЗ.

Підвищення рівня раціонального використання ЛЗ для лікування ОЗ дасть змогу пацієнтам, які страждають на ОЗ, одержувати медикаментозне забезпечення у достатніх дозуваннях, вчасно та відповідно до їхніх індивідуальних клінічних потреб.

Підвищення рівня раціонального використання ЛЗ для лікування ОЗ можливе шляхом:

- перегляду старих та розробки і затвердження нових галузевих стандартів у сфері охорони здоров'я для виявлення, ранньої діагностики та лікування пацієнтів із ОЗ;
- забезпечення систематичного оновлення Національного переліку;
- створення та функціонування електронної системи обліку залишків ЛЗ для лікування ОЗ із використанням даних із державного реєстру громадян, які страждають на ОЗ;
- удосконалення системи освіти медичних та фармацевтичних працівників з урахуванням нових розробок та інновацій у сфері ОЗ.

XI. Стимулювання розробки та дослідження лікарських засобів для лікування ОЗ.

Стимулювання наукової розробки, досліджень у сфері ОЗ, проведення клінічних випробувань, а також введення в обіг ЛЗ для лікування ОЗ є важливими

чинниками для розуміння патофізіологічних механізмів та перебігу таких захворювань, забезпечення доступності методів діагностики, профілактики пацієнтів із ОЗ, їхнього лікування безпечними та ефективними ЛЗ. Такі заходи потребують додаткового законодавчого врегулювання.

Заданими міжнародних організацій у сфері охорони здоров'я (ВООЗ, EURORDIS тощо) у світі налічується близько 400 млн людей, які страждають на ОЗ.

На сьогодні 80% ОЗ мають генетичну природу, решта ОЗ є результатом інфекційних уражень, алергії, дії чинників зовнішнього середовища тощо. При цьому у 1956 році було відомо лише 700 форм спадкових захворювань, число яких до 1986 року збільшилося до 2000. У 1992 році кількість відомих спадкових хвороб зросла до 5710, а в 2017 році їх вже налічувалося більше 7 тисяч.

Із цих нозологій лише близько 300 мають свій код у Міжнародній класифікації хвороб, 275 із яких внесено до Переліку Р(о)З, що призводять до скорочення тривалості життя хворих або їх інвалідизації, та для яких існують визнані методи лікування, затвердженого наказом МОЗ України від 27 жовтня 2014 р. № 778. Таким чином, для більшості ОЗ як на національному, так і світовому рівні досі не розроблено методів діагностики, профілактики та лікування.

При цьому наукова література свідчить, що лише близько 10% клінічних досліджень у сфері ОЗ у світі проводились без фінансового стимулювання із державних, місцевих чи інших джерел. Пов'язується це, головним чином, із недостатньою вмотивованістю виробників ЛЗ на проведення вартісних клінічних досліджень для невеликого кола пацієнтів із певним ОЗ [54].

Наприклад, запровадження фінансових та нефінансових стимулів для проведення наукових досліджень, клінічних випробувань, розроблених на базі національного плану із питань ОЗ, дозволило Франції стати європейським лідером у сфері діагностики та лікування ОЗ [27].

Так само доступними є державні гранти на проведення клінічних випробувань орфанних ЛЗ на рівні ЄС та у США [51, 55].

Відповідно до оновленого звіту ВООЗ «Пріоритети ЛЗ для Європи та світу 2013» фінансування за рахунок бюджетних коштів фундаментальних досліджень у сфері ОЗ, у тому числі генної терапії, терапевтичних генних модуляцій, орфанних ЛЗ, на державному рівні зі створенням належної інфраструктури, є необхідним чинником встановлення причин, симптомів ОЗ, забезпечення належних діагностики та лікування пацієнтів із ОЗ. Так само державне фінансування клінічних випробувань є необхідною складовою для стимулювання розробки ЛЗ для лікування ОЗ.

Одним із ефективних напрямків дослідження орфанних ЛЗ ВООЗ вбачає практику «перепрофілювання ЛЗ», тобто розробку на основі формули ЛЗ, зареєстрованого за одним показанням, для лікування ОЗ з іншими показаннями [56].

Проблеми у сфері розробки та дослідження ЛЗ для лікування ОЗ передбачається розв'язати шляхом [11, 12]:

- створення середовища для клінічних випробувань ЛЗ для лікування ОЗ;
- створення належного технічного та кадрового забезпечення закладів охорони здоров'я, які беруть участь у клінічних випробуваннях орфанних ЛЗ;

- забезпечення підвищення кваліфікації медичних працівників, що беруть участь у клінічних випробуваннях орфанних ЛЗ;
- забезпечення фінансової підтримки на державному та місцевому рівнях, запровадження стимулів для позабюджетного фінансування в Україні клінічних випробувань ЛЗ для лікування ОЗ;
- стимулювання розробки у майбутньому в Україні ЛЗ для лікування ОЗ;
- використання наявних та залучення нових джерел фінансування наукових досліджень процесів захворювання для ранньої діагностики та підвищення розуміння ОЗ, інноваційних методів діагностики та лікування ОЗ;
- створення інфраструктури для проведення науково-дослідної роботи, модернізації існуючих дослідницьких баз на території України.

XII. Очікувані результати реалізації Національної політики.

Реалізація Національної політики дозволить:

- підвищити показники здоров'я громадян із ОЗ;
- підвищити рівень доступу громадян із ОЗ до своєчасних виявлення, діагностики та лікування, у тому числі якісними, ефективними та безпечними ЛЗ, медичними виробами та продуктами спеціального лікувального харчування;
- знизити витрати громадян із ОЗ на ЛЗ та підвищити рівень забезпечення ЛЗ державою;
- визначити інструменти для прийняття рішень про відбір і включення інноваційних ЛЗ для лікування ОЗ до позитивного переліку ЛЗ, фінансування яких забезпечується за рахунок бюджетних коштів;
- забезпечити регулярне оновлення Національного переліку за принципами прозорості та відкритості процесу відбору із застосуванням методів оцінки медичних технологій і інструментів прийняття рішень (MCDA та MEA) з урахуванням того факту, що ЛЗ для лікування ОЗ не є економічно доцільними;
- забезпечити раціональне застосування ЛЗ для лікування ОЗ відповідно до клінічних потреб пацієнтів із ОЗ;
- збільшити кількість наукових досліджень нових методів діагностики та лікування, а також клінічних випробувань орфанних ЛЗ, проведених на базі вітчизняних закладів охорони здоров'я.

XIII. Фінансове забезпечення реалізації Національної політики

Фінансування заходів щодо реалізації Національної політики здійснюється за рахунок коштів державного та місцевих бюджетів у межах асигнувань, що передбачаються на відповідний рік, а також інших джерел, не заборонених законодавством.

Оцінка процесу реалізації Національної політики проводиться шляхом здійснення щорічного моніторингу.

Поточний моніторинг та координація виконання Національної політики здійснюються МОЗ України.

Висновки з даного дослідження і перспективи подальших досліджень.

Таким чином, практичним значенням цієї державної політики є:

1. Визначення правових, організаційних, економічних та соціальних засад хворих на Р(о)З в Україні за умов існуючих загроз.

2. Здійснення суспільних відносин у цій сфері з метою забезпечення працездатності і довголітнього активного життя громадян хворих на Р(о)З.

3. Попередження і зниження захворюваності, інвалідності та смертності, поліпшення спадковості.

4. Розробка та впровадження клінічних протоколів із діагностики та лікування пацієнтів хворих на Р(о)З.

5. Ведення реєстру хворих на Р(о)З та дієвого спостереження за ними.

СПИСОК ВИКОРИСТАНИХ ДЖЕРЕЛ.

1. Закон України «Про державні фінансові гарантії медичного обслуговування населення» (Відомості Верховної Ради (ВВР), 2018, № 5, ст.31) [Електронний ресурс]. – Режим доступу: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/2168-19#Text>

2. Пояснювальна записка до проекту Постанови Кабінету міністрів України «Про внесення змін до пункту 8 Порядку визначення розміру реімбурсації лікарських засобів» 24-02/46/99-21 від 16.04.2021 [Електронний ресурс]. – Режим доступу : [dokument-2971_0_1_19-21.pdf](https://www.drs.gov.ua/dokument-2971_0_1_19-21.pdf) (drs.gov.ua).

3. Розпорядження Кабінету міністрів України від 28 квітня 2021 р. № 377-р «Про схвалення Концепції розвитку системи надання медичної допомоги громадянам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, на 2021–2026 роки» [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.apteka.ua/article/593338>

4. Закон України про внесення змін до основ законодавства України «Про охорону здоров'я щодо забезпечення профілактики та лікування рідкісних (орфанних) захворювань» (Відомості Верховної Ради (ВВР), 2014, № 26, ст.894) [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/1213-18#Text>

5. Закон України Законопроект щодо внесення змін до основ законодавства України «Про охорону здоров'я» № 11 (882) 18 Березня 2013 р. [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.apteka.ua/article/217621>

6. Розпорядження Кабінету міністрів України від 30 листопада 2016 р. № 1013-р «Про схвалення Концепції реформи фінансування системи охорони здоров'я» [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.kmu.gov.ua/npas/249626689>

7. Політична пропозиція щодо схвалення Концепції розвитку системи надання допомоги громадянам, що страждають на рідкісні (орфанні) захворювання на 2020 – 2025 роки [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://acr.moz.gov.ua/uploads/ckeditor/%D0%93%D1%80%D0%BE%D0%BC%D0%B0%D0%B4%D1%81%D1%8C%D0%BA%D0%B5%20%D0%BE%D0%B1%D0%B3%D0%BE%D0%B2%D0%BE%D1%80%D0%B5%D0%BD%D0%BD%D1%8F/2020/1-1/12/01/%D0%9F%D0%9E%D0%9B%D0%86%D0%A2%D0%98%D0%A7%D0%9D%D0%90%20%D0%9F%D0%A0%D0%9E%D0%9F%D0%9E%D0%97%D0%98%D0%A6%D0%86%D0%AF.pdf>;

8. Рідкісні (орфанні) захворювання: як забезпечити пацієнтів лікуванням? [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <http://te.gov.ua/tepebovlyanska/ua/news/print/190666.htm>

9. Постанова Кабінету міністрів України від 5 грудня 2018 р. № 1022 щодо затвердження «Державної стратегії реалізації державної політики забезпечення населення лікарськими засобами на період до 2025 року» [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.apteka.ua/article/482099>

10. Звіт про управління державного підприємства «Державний експертний центр Міністерства охорони здоров'я України» за 2020 рік [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2021/03/1614767343306131.pdf>

11. Положення про Міністерство охорони здоров'я України [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.kmu.gov.ua/npas/53786660>
12. Schey, C., Krabbe, P.F.M., Postma, M.J. et al. Multi-criteria decision analysis (MCDA): testing a proposed MCDA framework for orphan drugs. *Orphanet J Rare Dis* 12, 10 (2017). Accessible at: <https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-016-0555-3>
13. Baran-Kooiker A, Czech M, Kooiker C. Multi-Criteria Decision Analysis (MCDA) Models in Health Technology Assessment of Orphan Drugs—a Systematic Literature Review. Next Steps in Methodology Development?. *Front Public Health*. 2018. Accessible at: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6197072/>
14. Multi-criteria decision analysis to support HTA agencies – benefits, limitations and the way forward. / Baltussen, Rob; Marsh, K; Thokala, Praveen; Diaby, V; Cleemput, I; Garau, M.; Iskrov, G; Olyaeemanesh, A; Mirelman, Andrew; Mobinizadeh, M; Morton, Alec; Tringali, M; van Til, J; Valentim, J; Wagner, M; Youngkong, Sitaporn; Zah, Vladimir; Toll, A; Jansen, M; Bijlmakers, M J; Oortwijn, W; Broekhuizen, B. In: *Value in Health*, Vol. 22, No. 11, 15.10.2019, p. 1283–1288. Accessible at: https://strathprints.strath.ac.uk/68608/7/Baltussen_etal_ViH2019_Multi_criteria_decision_analysis_to_support_HTA_agencies.pdf
15. Statement for Rare Disease Day by Dr Tedros Adhanom Ghebreyesus, WHO Director-General. February 2018. Accessible at: <https://www.who.int/mediacentre/news/statements/2018/rare-disease-day/en/>
16. What does it mean to leave no one behind? A UNDP discussion paper and framework for implementation July 2018. Accessible at: <https://www.undp.org/content/undp/en/home/librarypage/poverty-reduction/what-does-it-mean-to-leave-no-one-behind.html>
17. Указ Президента України №722/2019 від 30 вересня 2019 року «Про Цілі сталого розвитку України на період до 2030 року» [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.president.gov.ua/documents/7222019-29825>
18. How to develop and implement a national drug policy. January 2003, World Health Organization. Accessible at: <https://apps.who.int/medicinedocs/pdf/s4869e/s4869e.pdf>
19. Communication from the Commission to the European Parliament, the Council, the European Economic and Social Committee and the Committee of the Regions on Rare Diseases: Europe's challenges, Brussels, 11.11.2008 COM(2008) 679 final. Accessible at: https://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rare_com_en.pdf
20. Council Recommendation of 8 June 2009 on an Action in the Field of Rare Diseases (2009/C 151/02). Accessible at: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=celex%3A32009H0703%2802%29>
21. Overview Report on the State of the Art of Rare Disease Activities in Europe 2018 Version RD-ACTION WP6 Output. Accessible at: <http://www.rd-action.eu/wp-content/uploads/2018/09/Final-Overview-Report-State-of-the-Art-2018-version.pdf>
22. The European Project for Rare Diseases National Plans Development (EUROPLAN). Accessible at: <http://www.europlanproject.eu/NationalPlans?idMap=1>
23. A compilation of national plans, policies and government actions for rare diseases in 23 countries. Accessible at: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6290840/>
24. Dharssi S., Wong-Rieger D., Harold M., Terry S. Review of 11 national policies for rare diseases in the context of key patient needs. *Orphanet J Rare Dis*. 2017 Mar 31. Accessible at: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/28359278>
25. Комітет з питань здоров'я нації, медичної допомоги та медичного страхування на-працював рекомендації щодо вирішення проблем у сфері надання медичної допомоги хворим на рідкісні (орфанні) захворювання. Інформаційне управління Апарату Верхо-

вної Ради України, опубліковано 21 жовтня 2019 [Електронний ресурс]. – Режим доступу : https://rada.gov.ua/news/news_kom/183160.html

26. The UK Strategy for Rare Diseases 2019 update to the Implementation Plan for England. Accessible at: https://assets.publishing.service.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/781472/2019-update-to-the-rare-diseases-implementation-plan-for-england.pdf

27. French National Plan for Rare Diseases 2018-2022 Sharing innovation, a diagnosis and a treatment. Accessible at: https://solidarites-sante.gouv.fr/IMG/pdf/pnmr3_-_en.pdf

28. Як забезпечити лікуванням пацієнтів з орфанними захворюваннями: Прес-центр Українського кризового медіа-центру: 10.10.2019 [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://uacrisis.org/uk/73567-orphan-diseases>

29. Для чого потрібен неонатальний скринінг? 24.10.2018 [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <http://www.mvk.if.ua/profzahv/48838>

30. Council Recommendation of 8 June 2009 on an Action in the Field of Rare Diseases, 2009/C 151/02. Accessible at: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=celex%3A32009H0703%2802%29>

31. Commission Decision of 30 November 2009 establishing a European Union Committee of Experts on Rare Diseases, 2009/872/EC, Accessible at: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX%3A32009D0872>

32. EUCERD Recommendations on Rare Disease Patient Registration and Data Collection (5 June 2013). Accessible at: http://www.eucerd.eu/wp-content/uploads/2013/06/EUCERD_Recommendations_RDRegistryDataCollection_adopted.pdf

33. Glossary of HTA Adaptation Terms, november 2007 [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.eunetha.eu/wp-content/uploads/2018/01/Glossary-of-HTA-Adaptation-Terms.pdf>

34. Доступ к новым лекарственным средствам в Европе: Технический доклад о политических инициативах и возможностях для сотрудничества и исследований [Електронний ресурс]. – Режим доступу : http://www.euro.who.int/__data/assets/pdf_file/0011/292844/Access-new-medicines-TR-PIO-collaboration-research-ru.pdf?ua=1

35. Доступ к основным лекарственным средствам, вакцинам и медицинским технологиям, Всемирная организация здравоохранения, 2018 г. [Електронний ресурс]. – Режим доступу : https://www.euro.who.int/__data/assets/pdf_file/0007/376477/fact-sheet-sdg-essential-medicines-rus.pdf

36. Simoens, S. Pricing and reimbursement of orphan drugs: the need for more transparency. *Orphanet J Rare Dis* 6, 42 (2011) Accessible at: <https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/1750-1172-6-42>

37. WHO. Accessible at: https://www.who.int/medicines/technical_briefing/tbs/TBS2016_Pricing_Policies.pdf

38. Zamora, B., Maignen, F., O'Neill, P. et al. Comparing access to orphan medicinal products in Europe. *Orphanet J Rare Dis* 14, 95 (2019). Accessible at: <https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-019-1078-5>

39. Orphan Medicines in Europe Are they really breaking the bank? 2019 Accessible at: http://download2.eurordis.org.s3.amazonaws.com/symposium/2019/Presentations/Breakout_3_Angela_McFarlane.pdf

40. Katherine Eve Young, Imen Soussi, Michiel Hemels & Mondher Toumi (2017) A comparative study of orphan drug prices in Europe, *Journal of Market Access & Health Policy*, Accessible at: <https://www.tandfonline.com/doi/full/10.1080/20016689.2017.1297886>

41. Policies for Orphan Diseases and Orphan Drugs KCE reports 112C, 2009. Accessible at: https://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/policies_orphan_en.pdf

42. Evaluating and Valuing Drugs for Rare Conditions: No Easy Answers. Ollendorf DA(1), Chapman RH(2), Pearson SD(2). Accessible at: https://icer-review.org/wp-content/uploads/2019/09/Ollendorf-2018_Rare-Conditions.pdf

43. Reimbursement of Orphan Drugs in Europe in Relation to the Type of Authorization by the European Medicines Agency and the Decision Making Based on Health Technology Assessment. Malinowski Krzysztof Piotr, Kawalec Paweł, Trabka Wojciech, Sowada Christoph, Pilc Andrzej. Accessible at: <https://www.frontiersin.org/articles/10.3389/fphar.2018.01263/full>

44. «Божевільна» європейська система ціноутворення на орфанні ліки має закінчитися. 29.07.2016 року [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://pink.pharmaintelligence.informa.com/PS118869/Crazy-European-Orphan-Drug-Pricing-System-Has-To-End>

45. BENELUXA: First results of multi-country cooperation on medicine price negotiations. Reflection Paper, September 2017. Accessible at: <https://epha.org/wp-content/uploads/2017/10/EPHA-Reflection-Paper-Beneluxa-A2M.pdf>

46. Луджі ван ден Борн Новий прорив у переговорах навколо орфанних ліків, 23 червня 2016 року [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://qbd.eu/en/news/new-breakthrough-in-negotiations-around-orphan-drugs/>

47. Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. Accessible at: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX%3A32000R0141>

48. Council Regulation (EEC) No 2309/93 of 22 July 1993 laying down Community procedures for the authorization and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Agency for the Evaluation of Medicinal Products Accessible at: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=celex%3A31993R2309>

49. FDA Guidance Documents [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.fda.gov/industry/developing-products-rare-diseases-conditions/designating-orphan-product-drugs-and-biological-products>

50. The European Medicines Agency [Електронний ресурс]. – Режим доступу : https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/fee-reductions-designated-orphan-medicinal-products_en.pdf

51. The European Medicines Agency [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/orphan-designation/orphan-incentives>

52. EURORDIS-Rare Diseases Europe [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.eurordis.org/content/promoting-orphan-drug-development>

53. EMA. Orphan medicines figures 2000- 2018. Accessible at: https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/orphan-medicines-figures-2000-2018_en.pdf

54. Access to orphan drugs: a comprehensive review of legislations, regulations and policies in 35 countries. PLoS One. 2015. Accessible at: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4599885/>

55. FDA Guidance Documents [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.fda.gov/industry/developing-products-rare-diseases-conditions/orphan-products-clinical-trials-grants-program>

56. Priority medicines for Europe and the World 2013 update. W Kaplan, VJ Wirtz, A Mantel-Teeuwisse. Organización Mundial de la Salud. Universiteit Utrecht. Accessible at: https://www.who.int/medicines/areas/priority_medicines/MasterDocJune28_FINAL_Web.pdf

Стаття надійшла до редакції 08.11.2022

Стаття рекомендована до друку 16.12.2022

Iryna Zhyvylo, Candidate of Medical Sciences,
Doctoral Student of the Department of Public Policy
of the Educational and Scientific Institute «Institute of Public Administration»,
V. N. Karazin Kharkiv National University, 4 Svobody Sq., Kharkiv, 61022, Ukraine
ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0001-8141-363X> e-mail: zhivilka28@gmail.com

NATIONAL POLICY OF UKRAINE ON RARE (ORPHAN) DISEASES

Abstract: According to the Ministry of Health of Ukraine, 80% of patients with rare diseases in Ukraine die within 5 years due to the lack of systematic diagnosis and qualified treatment. This is more than, for example, 50% in France. As Russia's military incursion continues to disrupt basic health services, major efforts are needed to restore and strengthen health services, including access to medicines and medical equipment.

Under these circumstances, the heroic work of doctors, both on the territory of our country and abroad, who, despite the challenges faced by the community of rare diseases in Ukraine, did not stop for a moment their work to support and help the community of patients with rare diseases and the mobilization of political advocacy and legislation at the national level.

Currently, humanitarian organizations and the international community are making maximum efforts to generally protect the most vulnerable segment of the population, which is affected by the conflict, cannot leave and does not have access to humanitarian aid. The current situation should not undermine the reality that the needs of people living with a rare disease are real, enormous and unmet.

The creation of legal, economic and administrative mechanisms for the realization of the constitutional rights of the population of Ukraine suffering from rare (orphan) diseases, preservation and strengthening of their health, extension of the period of active longevity and length of their lives is one of the main tasks of the state.

So, the article proposes a structured complex political program document aimed at solving the issues of patients suffering from rare (orphan) diseases. During the development and formation of this state policy, the best practices of developed European countries were used. An overview of the state and problems of national regulatory and organizational support in the field of access to treatment for patients with rare (orphan) diseases was also conducted. Scientific achievements of domestic and foreign researchers, statistical data of state authorities, international organizations and own author's research were taken into account.

Keywords: *rare (orphan) diseases, pulmonary arterial hypertension, drugs, program documents, medical assistance to patients.*

In cites: Zhyvylo I. (2022). National policy of Ukraine on Rare (Orphan) Diseases. *Theory and Practice of Public Administration*. 2022, 2 (75), pp. 39–69. DOI: <https://doi.org/10.26565/1727-6667-2022-2-03> [in Ukrainian].

REFERENCES.

1. Zakon Ukrainy` «Pro derzhavni finansovi garantiyi medy`chnogo obslugovuvannya naselennya» (Vidomosti Verkhovnoyi Rady` (VVR), 2018, # 5, st.31) [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/2168-19#Text> [in Ukrainian].

2. Poyasnyval`na zapy`ska do proyektu Postanovy` Kabinetu ministriv Ukrainy` «Pro vnesennya zmin do punktu 8 Poryadku vy`znachennya rozmiru reimbursaciyi likars`ky`x

zasobiv» 24-02/46/99-21vid 16.04.2021 [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : dokument-2971_0_1_19-21.pdf (drs.gov.ua) [in Ukrainian].

3. Rozporyadzhennya Kabinetu ministriv Ukrainy vid 28 kvitnya 2021 r. # 377-r «Pro sxvalennya Koncepciyi rozvytku sy`stemy nadannya medychnoyi dopomogy gromadyanam, yaki strazhdayut na ridkisni (orfanni) zaxvoryuvannya, na 2021–2026 roky» [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu: <https://www.apteka.ua/article/593338> [in Ukrainian].

4. Zakon Ukrainy pro vnesennya zmin do osnov zakonodavstva Ukrainy «Pro oxoronu zdorov`ya shhodo zabezpechennya profilaktyky ta likuvannya ridkisnyx (orfannyx) zaxvoryuvan`» (Vidomosti Verxovnoyi Rady (VVR), 2014, # 26, st.894) [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/1213-18#Text> [in Ukrainian].

5. Zakon Ukrainy Zakonoproekt shhodo vnesennya zmin do osnov zakonodavstva Ukrainy «Pro oxoronu zdorov`ya» # 11 (882) 18 Bereznya 2013 r. [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : <https://www.apteka.ua/article/217621> [in Ukrainian].

6. Rozporyadzhennya Kabinetu ministriv Ukrainy vid 30 ly`stopada 2016 r. # 1013-r «Pro sxvalennya Koncepciyi reformy finansuvannya sy`stemy oxorony zdorov`ya» [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : <https://www.kmu.gov.ua/npas/249626689> [in Ukrainian].

7. Politychna propozy`ciya shhodo sxvalennya Koncepciyi rozvytku sy`stemy nadannya dopomogy gromadyanam, shho strazhdayut na ridkisni (orfanni) zaxvoryuvannya na 2020 – 2025 roky [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : <https://acp.moz.gov.ua/uploads/ckeditor/%D0%93%D1%80%D0%BE%D0%BC%D0%B0%D0%B4%D1%81%D1%8C%D0%BA%D0%B5%20%D0%BE%D0%B1%D0%B3%D0%BE%D0%B2%D0%BE%D1%80%D0%B5%D0%BD%D0%BD%D1%8F/2020/11/12/01/%D0%9F%D0%9E%D0%9B%D0%86%D0%A2%D0%98%D0%A7%D0%9D%D0%90%20%D0%9F%D0%A0%D0%9E%D0%9F%D0%9E%D0%97%D0%98%D0%A6%D0%86%D0%AF.pdf> [in Ukrainian].

8. Ridkisni (orfanni) zaxvoryuvannya: yak zabezpechyty paciientiv likuvannyam? [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : <http://te.gov.ua/tepebovlyanska/ua/news/print/190666.htm> [in Ukrainian].

9. Postanova Kabinetu ministriv Ukrainy vid 5 grudnya 2018 r. # 1022 shhodo zatverdzhennya «Derzhavnoyi strategiyi realizaciyi derzhavnoyi polityky zabezpechennya naselennya likarsky`my` zasobamy na period do 2025 roku» [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : <https://www.apteka.ua/article/482099> [in Ukrainian].

10. Zvit pro upravlinnya derzhavnogo pidpry`yemstva «Derzhavny`j ekspertny`j centr Ministerstva oxorony zdorov`ya Ukrainy» za 2020 rik [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : <https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2021/03/1614767343306131.pdf> [in Ukrainian].

11. Polozhennya pro Ministerstvo oxorony zdorov`ya Ukrainy [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : <https://www.kmu.gov.ua/npas/53786660> [in Ukrainian].

12. Schey, C., Krabbe, P.F.M., Postma, M.J. et al. Multi-criteria decision analysis (MCDA): testing a proposed MCDA framework for orphan drugs. *Orphanet J Rare Dis* 12, 10 (2017). Accessible at: <https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-016-0555-3>

13. Baran-Kooiker A, Czech M, Kooiker C. Multi-Criteria Decision Analysis (MCDA) Models in Health Technology Assessment of Orphan Drugs—a Systematic Literature Review. Next Steps in Methodology Development?. *Front Public Health*. 2018. Accessible at: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6197072/>

14. Multi-criteria decision analysis to support HTA agencies – benefits, limitations and the way forward. / Baltussen, Rob; Marsh, K; Thokala, Praveen; Diaby, V; Cleemput, I; Garau, M.; Iskrov, G; Olyaeemanesh, A; Mirelman, Andrew; Mobinizadeh, M; Morton, Alec; Tringali, M; van

Til, J; Valentim, J; Wagner, M; Youngkong, Sitaporn; Zah, Vladimir; Toll, A; Jansen, M; Bijlmakers, M J; Oortwijn, W; Broekhuizen, B. In: Value in Health, Vol. 22, No. 11, 15.10.2019, p. 1283–1288. Accessible at: https://strathprints.strath.ac.uk/68608/7/Baltussen_etal_ViH2019_Multi_criteria_decision_analysis_to_support_HTA_agencies.pdf

15. Statement for Rare Disease Day by Dr Tedros Adhanom Ghebreyesus, WHO Director-General. February 2018. Accessible at: <https://www.who.int/mediacentre/news/statements/2018/rare-disease-day/en/>

16. What does it mean to leave no one behind? A UNDP discussion paper and framework for implementation July 2018. Accessible at: <https://www.undp.org/content/undp/en/home/librarypage/poverty-reduction/what-does-it-mean-to-leave-no-one-behind.html>.

17. Ukaz Prezydenta Ukrainy` #722/2019 vid 30 veresnya 2019 roku «Pro Cili stalogo rozvy`tku Ukrainy` na period do 2030 roku» [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : <https://www.president.gov.ua/documents/7222019-29825> [in Ukrainian].

18. How to develop and implement a national drug policy. January 2003, World Health Organization. Accessible at: <https://apps.who.int/medicinedocs/pdf/s4869e/s4869e.pdf>

19. Communication from the Commission to the European Parliament, the Council, the European Economic and Social Committee and the Committee of the Regions on Rare Diseases: Europe's challenges, Brussels, 11.11.2008 COM(2008) 679 final . Accessible at: https://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rare_com_en.pdf

20. Council Recommendation of 8 June 2009 on an Action in the Field of Rare Diseases (2009/C 151/02). Accessible at: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=celex%3A32009H0703%2802%29>

21. Overview Report on the State of the Art of Rare Disease Activities in Europe 2018 Version RD-ACTION WP6 Output. Accessible at: <http://www.rd-action.eu/wp-content/uploads/2018/09/Final-Overview-Report-State-of-the-Art-2018-version.pdf>

22. The European Project for Rare Diseases National Plans Development (EUROPLAN). Accessible at: <http://www.europlanproject.eu/NationalPlans?idMap=1>

23. A compilation of national plans, policies and government actions for rare diseases in 23 countries. Accessible at: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6290840/>

24. Dharssi S., Wong-Rieger D., Harold M., Terry S. Review of 11 national policies for rare diseases in the context of key patient needs. Orphanet J Rare Dis. 2017 Mar 31. Accessible at: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/28359278>

25. Komitet z py`tan` zdorov`ya nacyi, medy`chnoyi dopomogy` ta medy`chnogo straxuvannya napracuyuvav rekomendaciyi shhodo vy`rishennya problem u sferi nadannya medy`chnoyi dopomogy` xvory`m na ridkisni (orfanni) zaxvoryuvannya. Informacijne upravlinnya Aparatu Verhovnoyi Rady` Ukrainy`, opublikovano 21 zhovtnya 2019 [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : https://rada.gov.ua/news/news_kom/183160.html [in Ukrainian].

26. The UK Strategy for Rare Diseases 2019 update to the Implementation Plan for England. Accessible at: https://assets.publishing.service.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/781472/2019-update-to-the-rare-diseases-implementation-plan-for-england.pdf

27. French National Plan for Rare Diseases 2018-2022 Sharing innovation, a diagnosis and a treatment. Accessible at: https://solidarites-sante.gouv.fr/IMG/pdf/pnmr3_-_en.pdf

28. Yak zabezpechy`ty` likuvannyam paciyentiv z orfanny`my` zaxvoryuvannyamy`: Prescentr Ukrainy`ns`kogo kry`zovogo media-centru: 10.10.2019 [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : <https://uacrisis.org/uk/73567-orphan-diseases> [in Ukrainian].

29. Dlya chogo potriben neonatal'nyj skry'ning? 24.10.2018 [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : <http://www.mvk.if.ua/profzahv/48838> [in Ukrainian].
30. Council Recommendation of 8 June 2009 on an Action in the Field of Rare Diseases, 2009/C 151/02. Accessible at: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=celex%3A32009H0703%2802%29>
31. Commission Decision of 30 November 2009 establishing a European Union Committee of Experts on Rare Diseases, 2009/872/EC, Accessible at: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX%3A32009D0872>
32. EUCERD Recommendations on Rare Disease Patient Registration and Data Collection (5 June 2013). Accessible at: http://www.eucerd.eu/wp-content/uploads/2013/06/EUCERD_Recommendations_RDRRegistryDataCollection_adopted.pdf
33. Glossary of HTA Adaptation Terms, november 2007 [Elektronnyj resurs]. – Rezhim dostupu : <https://www.eunethta.eu/wp-content/uploads/2018/01/Glossary-of-HTA-Adaptation-Terms.pdf>
34. Dostup k novym lekarstvennym sredstvam v Evrope: Tekhnicheskij doklad o polytycheskix y'ny'sy'aty'vax y' vozmozhnosti'ax dlya sotrudny'chestva y' y'ssledovany'j [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : http://www.euro.who.int/_data/assets/pdf_file/0011/292844/Access-new-medicines-TR-PIO-collaboration-research-ru.pdf?ua=1 [in Ukrainian].
35. Dostup k osnovnym lekarstvennym sredstvam, vakcy'nam y' medycynskym texnologiyam, Vsemu'rnaya organy'zacya zdavoohraneny'a, 2018 g. [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : https://www.euro.who.int/_data/assets/pdf_file/0007/376477/factsheet-sdg-essential-medicines-rus.pdf [in Ukrainian].
36. Simoens, S. Pricing and reimbursement of orphan drugs: the need for more transparency. *Orphanet J Rare Dis* 6, 42 (2011) Accessible at: <https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/1750-1172-6-42>
37. WHO. Accessible at: https://www.who.int/medicines/technical_briefing/tbs/TBS2016_Pricing_Policies.pdf
38. Zamora, B., Maignen, F., O'Neill, P. et al. Comparing access to orphan medicinal products in Europe. *Orphanet J Rare Dis* 14, 95 (2019). Accessible at: <https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-019-1078-5>
39. Orphan Medicines in Europe Are they really breaking the bank? 2019 Accessible at: http://download2.eurordis.org.s3.amazonaws.com/symposium/2019/Presentations/Break-out_3_Angela_McFarlane.pdf
40. Katherine Eve Young, Imen Soussi, Michiel Hemels & Mondher Toumi (2017) A comparative study of orphan drug prices in Europe, *Journal of Market Access & Health Policy*, Accessible at: <https://www.tandfonline.com/doi/full/10.1080/20016689.2017.1297886>
41. Policies for Orphan Diseases and Orphan Drugs KCE reports 112C, 2009. Accessible at: https://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/policies_orphan_en.pdf
42. Evaluating and Valuing Drugs for Rare Conditions: No Easy Answers. Ollendorf DA(1), Chapman RH(2), Pearson SD(2). Accessible at: https://icer-review.org/wp-content/uploads/2019/09/Ollendorf-2018_Rare-Conditions.pdf
43. Reimbursement of Orphan Drugs in Europe in Relation to the Type of Authorization by the European Medicines Agency and the Decision Making Based on Health Technology Assessment. Malinowski Krzysztof Piotr, Kawalec Paweł, Trabka Wojciech, Sowada Christoph, Pilc Andrzej. Accessible at: <https://www.frontiersin.org/articles/10.3389/fphar.2018.01263/full>
44. «Bozhevil'na» yevropejs'ka sy'stema cinoutvorennya na orfanni liky` maye zakinchy'ty'sya. 29.07.2016 roku [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : <https://pink.phar>

maintelligence.informa.com/PS118869/Crazy-European-Orphan-Drug-Pricing-System-Has-To-End [in Ukrainian].

45. BENELUXA: First results of multi-country cooperation on medicine price negotiations. Reflection Paper, September 2017. Accessible at: <https://epha.org/wp-content/uploads/2017/10/EPHA-Reflection-Paper-Beneluxa-A2M.pdf>

46. Luyidzhi van den Born Novy`j prory`v u peregovorax navkolo orfanny`x likiv, 23 chervnya 2016 roku [Elektronnyj resurs]. – Rezhym dostupu : <https://qbd.eu/en/news/new-breakthrough-in-negotiations-around-orphan-drugs/> [in Ukrainian].

47. Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. Accessible at: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX%3A32000R0141>

48. Council Regulation (EEC) No 2309/93 of 22 July 1993 laying down Community procedures for the authorization and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Agency for the Evaluation of Medicinal Products Accessible at: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=celex%3A31993R2309>

49. FDA Guidance Documents [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.fda.gov/industry/developing-products-rare-diseases-conditions/designating-orphan-product-drugs-and-biological-products>

50. The European Medicines Agency [Електронний ресурс]. – Режим доступу : https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/fee-reductions-designated-orphan-medicinal-products_en.pdf

51. The European Medicines Agency [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/orphan-designation/orphan-incentives>

52. EURORDIS-Rare Diseases Europe [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.eurordis.org/content/promoting-orphan-drug-development>

53. EMA. Orphan medicines figures 2000- 2018. Accessible at: https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/orphan-medicines-figures-2000-2018_en.pdf

54. Access to orphan drugs: a comprehensive review of legislations, regulations and policies in 35 countries. PLoS One. 2015. Accessible at: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4599885/>

55. FDA Guidance Documents [Електронний ресурс]. – Режим доступу : <https://www.fda.gov/industry/developing-products-rare-diseases-conditions/orphan-products-clinical-trials-grants-program>

56. Priority medicines for Europe and the World 2013 update. W Kaplan, VJ Wirtz, A Mantel-Teeuwisse. Organización Mundial de la Salud. Universiteit Utrecht. Accessible at: https://www.who.int/medicines/areas/priority_medicines/MasterDocJune28_FINAL_Web.pdf

The article was received by the editors 08.11.2022

The article is recommended for printing 16.12.2022