

СОЦІАЛЬНИЙ МАРКЕТИНГ ТА ФАРМАКОЕКОНОМІЧНІ ДОСЛІДЖЕННЯ

УДК 615.4

<https://doi.org/10.24959/sphhcj.23.291>

Н. А. СЛІПЦОВА, В. М. НАЗАРКІНА

Національний фармацевтичний університет
Міністерства охорони здоров'я України, м. Харків

АНАЛІЗ СТАНУ ТА ПРОБЛЕМ ФАРМАЦЕВТИЧНОГО ЗАБЕЗПЕЧЕННЯ ХВОРИХ НА БУЛЬОЗНИЙ ЕПІДЕРМОЛІЗ

Мета – здійснити аналіз медичних технологій (МТ) для лікування бульозного епідермолізу (БЕ) та їх доступності для пацієнтів і системи охорони здоров'я (ОЗ).

Матеріали та методи. Об'єкти дослідження: наукові публікації, нормативно-правові акти, керівні настанови (протоколи), статистичні дані, мережа Orphanet, офіційні дані МОЗ та ДП «Медичні закупівлі України», маркетингова інформація. Методи: контент-аналіз, структурно-логічний, порівняння, узагальнення, маркетинговий аналіз.

Результати дослідження. Проведено дослідження сучасних підходів до класифікації видів БЕ та проаналізовано епідеміологічні показники, узагальнено рекомендації клінічних протоколів. З'ясовано, що наразі у світі не існує доступних специфічних МТ для лікування цього тяжкого хронічного захворювання. Міжнародні клінічні настанови рекомендують використовувати лікарські засоби (ЛЗ) і медичні вироби (МВ) для полегшення симптомів (догляд за ранами, зниження болю і свербіжу), профілактики вторинних патологій та покращення якості життя пацієнтів з БЕ. Вартість лікування БЕ залежить від тяжкості захворювання і віку хворого. Тягар захворювання та вплив на бюджет оцінено як високі. Держава не може забезпечити 100 % потреби в необхідних ЛЗ і МВ через обмеженість бюджету. Проаналізовано вітчизняну нормативно-правову базу щодо забезпечення хворих на рідкісні (орфанні) захворювання, зокрема й БЕ, необхідними ЛЗ і МВ. Виявлено, що лише 9 МНН з рекомендованих протоколом семи груп ЛЗ внесено до Національного переліку, тож їх можна закупити за бюджетні кошти. Досліджено річну потребу, номенклатуру та обсяги закупівель засобів для лікування БЕ. За даними ДП МЗУ, на 2023 рік заплановано закупівлю МВ для хворих на БЕ восьми груп медичних товарів для догляду за шкірою та ранами за 20 найменуваннями на суму 119,8 млн грн.

Висновки. З метою удосконалення підходів до фармацевтичного забезпечення хворих на БЕ надзвичайно важливим є застосування оцінки медичних технологій (ОМТ) для виявлення найбільш ефективних і економічно доцільних ЛЗ і МВ.

Ключові слова: бульозний епідермоліз; рідкісні (орфанні) захворювання; лікарські засоби; медичні вироби.

N. A. SLIPTSOVA, V. M. NAZARKINA

National University of Pharmacy of the Ministry of Health of Ukraine, Kharkiv

ANALYSIS OF THE STATE AND PROBLEMS OF PHARMACEUTICAL SUPPLY FOR PATIENTS WITH EPIDERMOLYSIS BULLOSA

Aim. To analyze medical technologies (MT) for the treatment of epidermolysis bullosa (EB) and their availability to patients and the healthcare system.

Materials and methods. The study objects were scientific publications, normative legal acts, guidelines (protocols), statistical data, the Orphanet network, official data of the Ministry of Health and the State Enterprise "Medical Procurement of Ukraine", marketing information. The methods of content analysis, structural and logical, comparison, generalization, marketing analysis were used.

Results. Modern approaches to the classification of types of EB were studied; epidemiological indicators were analyzed; recommendations of clinical protocols were summarized. It has been found that currently there are no available specific MT in the world for the treatment of this severe chronic disease. International clinical guidelines recommend the use of medicines and medical products to relieve symptoms (wound care, reduce pain and itching), prevent secondary pathologies and improve the quality of life of patients with EB. The cost of treating EB depends on the severity of the disease and the patient's age. The burden of the disease and the impact on the budget are assessed to be high. The state cannot provide 100 % of

the need for the necessary medicines and medical products due to budget constraints. The analysis of the national legal framework for providing patients with rare (orphan) diseases, including EB, with the necessary medicines and medical products was carried out. It has been determined that only 9 INN of the seven groups of medicines recommended by the protocol are included in the National List and can be purchased for budget funds. The annual need, nomenclature and volumes of purchases of drugs for the treatment of EB were studied. According to the State Enterprise "Medical Procurement of Ukraine" in 2023, for patients with EB it is planned to purchase eight groups of medical products for skin and wound care under 20 names in the amount of UAH 119.8 million.

Conclusions. In order to improve approaches to the pharmaceutical provision of patients with EB, it is extremely important to use health technology assessment (HTA) to identify the most effective and economically feasible medicines and medical products.

Key words: epidermolysis bullosa; rare (orphan) diseases; medicines; medical products.

Постанова проблеми. Бульозний епідермоліз (БЕ) становить групу рідкісних (орфанних) генетичних захворювань, що характеризуються надмірною чутливістю шкіри й слизових оболонок до подразнень та утворенням пухирів і ерозій у разі незначного механічного впливу або навіть без нього. Частота БЕ у світі становить 17 випадків на 1 млн новонароджених [1-3]. Так, в Австрії з населенням близько 9 млн осіб на БЕ страждають 500 осіб, у США, за деякими оцінками, до 50 тис. таких пацієнтів серед 340 млн громадян, у Великій Британії на 67 млн жителів 5 тис. хворих на БЕ. В Україні через відсутність реєстру пацієнтів точні дані щодо їх кількості відсутні, понад 90 % хворих не мають підтвердженого діагнозу. За даними спеціалізованого кабінету дерматологів «Охматдиту» та центру допомоги пацієнтам з БЕ міжнародної організації «DEBRA-Україна», в Україні близько 300 осіб страждають на це захворювання різного ступеня тяжкості, з них 199 – діти. Діагностика і лікування БЕ потребують системного підходу, бо це захворювання може викликати тяжкі ускладнення різних органів і системи людини. БЕ належить до невиліковних захворювань, тому основні клінічні рекомендації спрямовані на профілактику вторинних патологій, полегшення симптомів та психосоціальні заходи.

В Україні відповідно до «Основ законодавства України про охорону здоров'я» та «Концепції розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання» пацієнти з БЕ можуть безоплатно отримувати належне лікування для подовження тривалості та покращення якості життя [3]. Попри сформоване правове підґрунтя, передбачені законом державні гарантії для орфанних хворих, зокрема щодо безоплатного

надання їм необхідних ЛЗ і МВ, не забезпечено в повному обсязі коштом державного та місцевого бюджетів через брак фінансових ресурсів, виділюваних на ОЗ. Складнощі у задоволенні потреб таких хворих зумовлено високою вартістю відповідних медичних технологій (МТ) або їх відсутністю на ринку країни на тлі дефіциту бюджетних коштів.

Аналіз останніх досліджень і публікацій та виділення не вирішених раніше частин загальної проблеми. Загальні положення стосовно сучасних підходів до лікування орфанних захворювань, зокрема й БЕ, висвітлено в медико-технологічних і нормативно-правових документах [1-6] та переважно закордонних наукових публікаціях [7-17]. Через незначну кількість орфанних хворих інформаційна база є обмеженою. Отже, аналіз останніх досліджень і публікацій засвідчив, що практично відсутні роботи, де було б окреслено організаційно-економічні проблеми фармацевтичного забезпечення хворих на БЕ як в Україні, так і за кордоном.

Формулювання цілей статті. Метою роботи є аналіз МТ для лікування БЕ та їх доступності для пацієнтів і системи охорони здоров'я (ОЗ).

Викладення основного матеріалу дослідження. Розрізняють чотири основні форми: простий бульозний епідермоліз (ПБЕ); межовий бульозний епідермоліз (МБЕ); дистрофічний бульозний епідермоліз (ДБЕ); синдром Кіндлер. Перші прояви захворювання найчастіше з'являються протягом першого року життя. На сьогодні ідентифіковано понад 1000 різноманітних мутацій 14 структурних генів, що кодують структурні білки кератиноцитів та базальної мембрани шкіри й слизових. Загальною властивістю цих білків є участь в утворенні міцних зв'язків між епітелієм та базальною

мембраною. Характер мутацій та їх локалізація визначають важкість клінічних проявів. Наразі відомо про понад 30 підтипів БЕ, всі вони характеризуються підвищеною вразливістю шкіри та схильністю до утворення пухирів і ран (від локальних ділянок на руках і ногах до більш генералізованих) [4].

Нами проаналізовано та систематизовано дані мережі Orphanet щодо структури захворюваності на БЕ за видами (за Міжнародною статистичною класифікацією хвороб (МКХ-10 та МКХ-11) та спеціальними кодами ORPHAcode) [5, 6]. Результати наведено в табл. 1.

Таблиця 1

АНАЛІЗ СТРУКТУРИ ЗАХВОРЮВАНОСТІ НА БУЛЬОЗНИЙ ЕПІДЕРМОЛІЗ ЗА ВИДАМИ

МКХ 10	МКХ 11	Захворювання	ORPHA код	К-ть випадків	Перелік РЗ України	
1	2	3	4	5	6	
Q81.0 – простий БЕ	EC30	ПБЕ з м'язовою дистрофією – EBS-MD	257	40	так	
		Простий – EB simplex (EBS)	304	0.656*	так	
		Аутосомно-домінантний генералізований, важкий (EBS Даулінга-Меара)	79396	–	так	
		Аутосомно-домінантний генералізований, проміжна форма; EBS Кебнера	79399	–	так	
		Локалізований (долоні й підшви); (EBS-loc; Вебера-Коккейна)	79400	–	так	
		Аутосомно-рецесивний генералізований – Autosomal recessive general. EBS	89838	19	–	
			ПБЕ через дефіцит BP230 – EBS due to BP230 deficiency	412181	2	–
		–	Проміжний, пов'язаний з PLEC, без позашкірного ураження – PLEC-related intermediate EBS without extracutaneous involvement	79401	6	–
			ПБЕ через дефіцит екзофіліну – EBS due to exophilin 5 deficiency	412189	3	–
	Проміжний з кардіоміопатією – Intermediate EBS with cardiomyopathy		508529	14	–	
Q81.1 – БЕ летальний, Херліца	EC31	Важкий генералізований – Severe general. JEB (JEB letalis; JEB-H; тип Герліца)	79404	0.17 * за народж.	так	
Q81.2 – БЕ дистрофічний	EC32	Дистрофічний (дермолітичний) – DEB	303	0.572*	так	
		Рецесивний дистрофічний зворотний БЕ – Recessive DEB inversa	79409	100	–	
		Самовідновлювальний дистрофічний БЕ – Self-improving DEB	79411	30	–	
		Дистрофічний свербіжний БЕ – DEB pruriginosa	89843	100	–	
		–	Аутосомно-домінантний DEB, Коккейна-Турена (DDEB)	79407	–	так
			Аутосомно-рецесивний генералізований DEB, важка форма (тяжкий генералізований RDEB, Галлопо-Сіменса)	79408	–	так
			Локалізований дистрофічний, претибіальна форма – Local. DEB, pretibial form	79410	40	–
			Локалізований дистрофічний, акральна форма – Local. DEB, acral form	158673	10	–
			Локалізований дистрофічний, тільки нігті – Local. DEB, nails only	158676	10	–
–	EC31	Межовий (атрофічний) БЕ – JEB	305	–	так	

Продовження табл. 1

1	2	3	4	5	6
	–	Проміжний генералізований (атрофічний, доброякісний)	79402	–	так
Q81.8 – інший БЕ	EC31	Межовий з атрезією пілорусу (синдром Кармі) – JEB-PA	79403	100	так
	EC31	Межовий зворотний – JEB inversa	79405	9	–
	EC31	Пізній межовий (прогресивний) БЕ – Late-onset JEB	79406	37	–
	LD2B	БЕ Кіндлер (вроджена бульозна пойкилодермія) – Kindler EB	2908	250	так
	–	Пізній локалізований межовий БЕ-синдром розумової відсталості – Late-onset local. JEB-intellectual disability syndrome	231556	2	–
	–	Локалізований межовий БЕ – Local. JEB	251393	20	–
–	–	Спадковий БЕ – Inherited EB	79361	0.8*	–
L12.3 – БЕ набутий	EB43	Набутий БЕ – EB acquisita	46487	0.03**	так

Примітка: * – поширеність у розрахунку на 100 тисяч населення, ** – захворюваність.

Відповідно до чинного законодавства (Наказ МОЗ України № 778 від 27.10.2014 р.) до переліку рідкісних (орфанних) захворювань, що призводять до скорочення тривалості життя або до інвалідизації хворих та для яких існують визнані методи лікування, віднесено:

- *набутий бульозний епідермоліз* (розділ VI. Рідкісні хвороби шкіри та підшкірної клітковини), код за МКХ-10 – L12.3, ORPHAcode – 46487;
- *бульозний епідермоліз* (розділ VII. Рідкісні природжені вади розвитку, деформації та хромосомні аномалії), код за МКХ-10 Q81, за 14 ORPHA кодами.

Ступінь важкості захворювання варіює від утворення пухирів на шкірі кінцівок унаслідок травмування чи тертя до генералізованого ураження та летальних випадків. У хворих на БЕ розвиваються стенози й стриктури дихальної, шлунково-кишкової та урогенітальної систем, м'язова дистрофія. До інших ускладнень БЕ відносять анемію, остеопороз, затримку росту та статевого дозрівання, ризик виникнення агресивної плоскоклітинної карциноми [7, 8].

Лікування пацієнтів із БЕ відповідно до рекомендацій є переважно підтримувальним. За щоденного догляду за шкірою дітей із БЕ, яка зазвичай є сухою і легко травмується, застосовують м'які очищувальні засоби з антибактеріальною дією та пом'якшувальні

зволожувальні креми. Під час водних процедур застосовують антибактеріальні гелі чи дезінфікувальні засоби для запобігання росту синьогнійної палички та стафілококу. Тактика перев'язування за простого БЕ спрямована на запобігання інфікуванню, охолодження ділянок з пухирями та захист шкіри від травмування. Проте в результаті опитування пацієнтів з'ясовано, що накладення пов'язки на пухирі може бути недоцільним та поставати додатковим подразнювальним фактором [9].

Настановами з найкращої практики з догляду за шкірою та ранами (консенсус міжнародної експертної групи 2017 р.) у разі простого БЕ рекомендовано такі перев'язувальні матеріали (табл. 2). Найкращим вибором вважають Spycra Protect (ReSkin / Bullen Healthcare) або Kerralite Cool (Crawford Healthcare) [9].

Через те що БЕ наразі вважають невиліковним, численні клінічні рекомендації спрямовані на профілактику вторинних патологій, полегшення симптомів і психосоціальні покращення. А проте тривають дослідження в цьому напрямі й у травні 2023 р. FDA було схвалено засіб генної терапії VYJUVEK™ (B-VEC) компанії Krystal Biotech для лікування дистрофічного БЕ у пацієнтів від 6 місяців. Цей засіб у вигляді гелю для місцевого застосування наносять на поверхню шкіри – він усуває генетичну причину

Таблиця 2

РЕКОМЕНДОВАНІ ПОВ'ЯЗКИ В РАЗІ ЛОКАЛІЗОВАНОГО ТА ГЕНЕРАЛІЗОВАНОГО ПБЕ

Тип перев'язувальних матеріалів	Показання / функція	Торгова назва, виробник
М'який силікон, що розтягується в обох напрямках	Захист ділянки з невеликими пухирями і рани без ексудації	Spycra Protect (ReSkin, Бельгія)
Листовий гідрогель	Захист ділянки з пухирями, охолодження, зменшення болю	Kerralie Cool/Kerralite Cool Border (Crawford Healthcare)
		ActiFormCool (Activa Healthcare)
Обрамлена губчаста пов'язка	Захист ділянки з пухирями	Mepilex Border/Border Lite (Mölnlycke Health Care)
		Biatain Silicone Lite (Coloplast)
		Allevyn Gentle Border Allevyn Lite Allevyn adhesive (n/silicone) (Smith & Nephew)
		UrgoTul Absorb Border (Urgo Medical)
М'яка силіконова сітка	Контактний рановий шар	Mepitel, Mepitel One (Mölnlycke Health Care)
		Adaptic Touch (Acelity)
		Cuticell Contact (BSN Medical)
Ліпідно-колоїдні	Контактний рановий шар	UrgoTul (Urgo Medical)
Гідрогель	Охолодження, зменшення болю	Intrasite Conformable (Smith & Nephew)
Губка	Захист	Mepilex Mepilex Lite Mepilex Transfer (Mölnlycke Health Care)
		Siltape (Advancis Medical)
		Mepitac (Mölnlycke Health Care)
		CoFlex Haft (Aspen Medical Europe)
Фіксувальний бандаж	Утримання	Soft-One (Snogg)
		Acti-Wrap (Activa Healthcare)
		Кукурудзяне борошно (крохмаль)
Порошок	Підсушування пухирів, зменшення тертя	Кукурудзяне борошно (крохмаль)

ДБЕ, відновлює функціональні копії ушкоджених генів для покращення загоєння ран. Клінічні дослідження підтвердили ефективність – повне загоєння ран через 3 і 6 міс. Європейським агентством з ЛЗ (ЕМА) присвоєно В-ВЕС статус орфанного препарату, що передбачає спрощену процедуру отримання дозволу на маркетинг в ЄС [10].

За результатами досліджень [11, 12], 47 % опитаних хворих на БЕ застосовували ЛЗ для знеболювання, а саме: парацетамол (35 %) і нестероїдні протизапальні засоби (НПЗЗ) (12 %). Лише чверть опитаних зазначили, що використовували засоби від свербіж, зокрема антигістамінні ЛЗ. Від болю та свербіж найчастіше призначали парацетамол (81 %), НПЗЗ (68 %), опіоїди (41 %) та антигістамінні ЛЗ (37 %). Третина

опитаних пацієнтів (37 %) не використовувала жоден з названих ЛЗ [12].

Прояви БЕ суттєво впливають на якість життя пацієнтів та їхніх родин. Постійні пухирі і рани, які супроводжуються болем і свербіжем у разі важких форм; великі площі ураження та ускладнення, які призводять до інвалідизації, спричиняють соціальну дезадаптацію, ускладнюють процеси навчання та праці. Догляд, лікування і профілактика ускладнень БЕ потребують значних економічних витрат. Ключовою складовою комплексу лікування є догляд за ранами, зокрема використання захисних пов'язок на уражену ділянку для зменшення болю, запобігання утворенню пухирів, рубцюванню та інфекції. Догляд потребує багато часу (понад 4 годин на день для хворих із важкими

Таблиця 3

**ЗВЕДЕННЯ СЕРЕДНІХ РІЧНИХ ВИТРАТ НА ЛІКУВАННЯ БЕ
РІЗНОГО СТУПЕНЯ ТЯЖКОСТІ В ДІТЕЙ**

	Витрати залежно від типу БЕ і віку хворого				
	ДЕВ дуже важкий		ЕВ простий		ДЕВ помірний
	2,5 роки	7 років	10 років	8 років	9 років
Вартість ЛЗ і МВ для лікування ран, євро	27 252	89 780	62 699	17 732	5986
Загальні медичні витрати на рік, євро	71 421	149 421	116 649	20 279	7377

формами БЕ), високовартісних перев'язувальних матеріалів та засобів [12, 13].

Вартість лікування пацієнтів із БЕ дуже висока (залежить від тяжкості захворювання). За деякими оцінками, пересічно витрати можуть коливатися від 9,5 тис. євро у Швеції до 46 тис. євро на рік у Німеччині. У США пересічні витрати можуть становити 20,8-48,5 тис. дол. залежно від тяжкості захворювання. Значну частку становлять витрати на неофіційний догляд, витрати на догляд за пацієнтами дитячого віку є значно вищими [14-16].

Як засвідчив аналіз наукових публікацій, досліджень, що стосуються економічної складової лікування БЕ, майже немає. До того ж, складно отримати й стандартизувати дані. Проте ірландські вчені провели опитування батьків і доглядачів та визначили середні річні витрати для дітей різного віку з БЕ різного ступеня тяжкості (табл. 3) [17].

Як видно з табл. 3, прямі витрати коливаються від 7 377 євро (для пацієнтів із захворюванням більш легкої форми) до 149 421 євро на рік (у дуже важких станах). Разом із тим, витрати на ЛЗ і МВ для оброблення ран можуть становити від 38 до 87 % від загальної суми медичних витрат.

В Україні відповідно до вимог чинного законодавства, а саме статті 53¹ «Основ законодавства про охорону здоров'я» та «Концепції розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання», пацієнти з БЕ можуть безоплатно отримувати належне лікування для подовження тривалості та покращення якості життя. Системні, хронічні, тяжкі захворювання шкіри віднесено до категорій захворювань, у разі амбулаторного лікування яких ЛЗ

відпускають безоплатно згідно з Постановою КМУ від 17.08.1998 р. №1303. Це стосується ЛЗ, що входять до Національного переліку ОЛЗ.

Уніфікованим клінічним протоколом первинної, вторинної (спеціалізованої) та третинної (високоспеціалізованої) медичної допомоги (УКПМД) «Бульозний епідермоліз», затвердженим Наказом МОЗ від 25.02.2016 р. № 135, для комплексного лікування БЕ рекомендовано застосовувати такі сім груп ЛЗ з урахуванням тяжкості й перебігу захворювання [1] (рис.).

Варто зауважити, що з усіх цих ЛЗ для симптоматичного лікування БЕ до Національного переліку ОЛЗ внесено лише дев'ять МНН: ібупрофен, парацетамол, диклофенак, декспантенол, хлоргексидин, повідон-йод, мупіроцин; лоратадин та бетаметазон. Отже, за бюджетні кошти можна закупити лише зазначені ЛЗ.

За результатами аналізу визначено, що основною проблемою у лікуванні хворих на БЕ є забезпечення спеціальними засобами й перев'язувальними матеріалами для догляду за ранами.

Починаючи з 2015 р. централізовані закупівлі ЛЗ і МВ у рамках реформи системи ОЗ здійснювали міжнародні спеціалізовані закупівельні організації (МСЗО), а саме: ПРООН, UNICEF та британське агентство «Crown Agents». З 2023 р. ДП «Медичні закупівлі України» (МЗУ) стає єдиною централізованою закупівельною агенцією у сфері ОЗ, проте Україна ще отримує вакцини, медичні товари для лікування БЕ та інші ЛЗ за попередніми контрактами МСЗО.

Відповідно до Постанови КМУ № 216 «Деякі питання закупівлі лікарських засобів, медичних виробів та допоміжних засобів до них» від 07.03.2022 р. визначено перелік

1. Нестероїдні протизапальні засоби:

- ібупрофен, парацетамол, німесулід, диклофенак

2. Ранозагоювальні засоби:

- декспантенол (Пантекрем, Рекреол, Декспантенол, Пантенол, Хепідерм-Здоров'я, Пантексол Ядран, Бепантен, Пантенол-Тева, Д-Пантенол);
- депротеїнізований гемодериват з крові телят (Солкосерил, Актвегін)

3. Антисептичні засоби:

- хлоргексидин (Хлоргексидин, Хлоргексидин-Здоров'я);
- октенідин + феноксіетанол (Октенісепт);
- декаметоксин (Горостен, Санідар, Декасан);
- мірамістин (Мірамістин-Дарниця, Мірамістин, Веромістин);
- терпентин модрина + терпентинова олія (Ілон);
- сульфатіазол (Аргосульфан);
- повідон-йод (Браунодин, Йод Печаєвський, Бетадин, Раностоп, Йодіксол, Відін, Бетайод-здоров'я, Йодадін, Повідон-йод Ваюм);
- цинку оксид + бензиловий спирт + бензілоат + бензил цинамат (Судокрем);
- цинку оксид (Валіскін, Цинкова мазь)

4. Антибактеріальні засоби для локального застосування:

- кислота фузидова (Бактафуз, Фузікутан, Фузідерм);
- бацитрацин + неоміцин (Банеоцин, Неоміцин Плюс);
- мупіроцин (Бактопік, Мупіроцин, Бактробан, Бондерм, Бактіаліс);
- хлорамфенікол + метилурацил (Левомеколь);
- амікацин + німесулід + бензалконій + лідокаїн (Інфларакс);
- офлоксацин + лідокаїн (Офлокаїн-Дарниця);
- гентаміцин гель 0,1 % (Хітозан-Гента)

5. Антибактеріальні засоби для системного застосування:

- згідно з показниками інфікування та чутливості

6. Антигістамінні засоби:

- лоратадин, цетиризин, левоцетиризин, дезлоратадин, хлоропірамін

7. Глюкокортикостероїди для локального застосування:

- бетаметазон (Целестодерм-В, Бетаметазон, Бетазон, Содерм, Мезодерм, Бетлібен, Белодерм);
- мометазон (Елоком, Елодерм, Момедерм, Елозон, Момейд, Молескін, Мометазон);
- метилпреднізолон (Адвантан, Метизолон, Стерокорт);
- триамцинолон (Фторокорт);
- флутиказон (Флутиказон-Здоров'я, Флутіксон, Назофан);
- клобетазол (Дермовейт, Кловейт, Клобескін, Делор, Поверкорт, Дерілайф, Карізон)

Рис. Лікарські засоби, рекомендовані УКПМД «Бульозний епідермоліз»

ЛЗ, МВ, що закупаються для виконання програм та здійснення централізованих заходів з ОЗ.

Планування та розрахунки потреби у МВ для громадян, які страждають на БЕ, здійснюються відповідно до методичних рекомендацій, затверджених Наказом МОЗ України від 17.12.2019 р. № 2498. Номенклатуру ЛЗ та МВ за напрямом «Медичні вироби для громадян, які страждають на бульозний епідермоліз» затверджено Наказом МОЗ України

від 11.08.2021 р. № 1723 (зі змінами). До переліку ЛЗ і МВ, які закупаються за кошти бюджету для виконання програм та здійснення централізованих заходів з ОЗ, внесено такі МВ для лікування хворих на БЕ: бинт еластичний фіксувальний, засіб для відкритих ран, пов'язки спеціальні, серветки з нетканого матеріалу. Потребу в МВ визначають індивідуально, спеціальна комісія ухвалює рішення щодо актуальної річної потреби кожного пацієнта у МВ відповідно

Таблиця 4

**РІЧНИЙ ОБСЯГ ПОТРЕБИ В МЕДИЧНИХ ВИРОБАХ ДЛЯ ПАЦІЄНТІВ,
ЯКІ СТРАЖДАЮТЬ НА БУЛЬОЗНИЙ ЕПІДЕРМОЛІЗ (ЗА 2021-2022 рр.)**

МНН ЛЗ / Назва медичних виробів	Назва предмета закупівлі	Річний обсяг потреби, од.	
		2021	2022
Абсорбувальна пов'язка	Абсорбувальна губчаста пов'язка з м'якого силікону для відкритих ран, що не влипає, стер., 20 × 50 см (± 10 %)	32 234	8439
	Абсорбувальна губчаста пов'язка для відкритих ран, що не влипає, стер., 20 × 20 см (± 5 см)	22 320	–
	Абсорбувальна обрамлена губчаста пов'язка для відкритих ран, що не влипає, стер., 10 × 20 см (± 5 см)	21 987	–
Пов'язка для відведення ексудату	Губчаста пов'язка для відкритих ран, що не влипає, стерильна, 20 × 50 см (± 10 %)	23 934	14 475
	Пов'язка з полімерної мембрани для відкритих ран, що не влипає, стер., 20 × 20 см (± 5 см)	5 931	9 401
Контактний шар на рану	Контакт. шар на рану, проникний, стер., 10 × 20 см (± 2 см)	39 371	15 304
	Ліпідно-колоїдний контактний шар на рану, 20 × 30 см	39 149	29 119
Серветки	Серветки з нетканого матеріалу, стер., 10 × 10 см (2 шт.)	143 800	104 925
Трубчастий бинт	Tubifast TM Red Line, 10 м / eq	1 340	1 302
	Tubifast TM Green Line, 10 м / eq	1 944	1 805
	Tubifast TM Blue Line, 10 м / eq	1 740	1 860
	Tubifast TM Yellow Line, 10 м / eq	540	1 283
	Tubifast TM Purple Line, 10 м / eq	495	937
Бинт еластичний фіксувальний	BATIST® Fixa-Crep, 4 см × 4 м / eq	27 760	10 992
	BATIST® Fixa-Crep, 6 см × 4 м / eq	16 780	15 001
	BATIST® Fixa-Crep, 8 см × 4 м / eq	14 320	15 280
	BATIST® Fixa-Crep, 10 см × 4 м / eq	27 320	19 910
	BATIST® Fixa-Crep, 12 см × 4 м / eq	22 980	10 757
Р-н д/ іригації ран	Prontosan, фл. 350 мл / eq	4 550	3 389
Гель для ран	Prontosan X, туба 250 г / eq	3 645	1 918

Примітка: eq – еквівалент.

до затвердженої номенклатури. Загальну потребу розраховують на основі узагальнення даних, поданих регіональними установами ОЗ за адміністративно-територіальними одиницями. Зведені показники 100 % потреби у ЛЗ, МВ та допоміжних засобах до них, що закуповує ДП «МЗУ» за напрямами використання бюджетних коштів у 2023 р. за бюджетною програмою КПКВК 2301400 «Забезпечення медичних заходів окремих державних програм та комплексних заходів програмного характеру», затверджено Наказом МОЗ України від 21.02.2023 р. № 352 (зі змінами).

Проаналізовано номенклатуру закупівель МВ у 2021-2022 рр. для пацієнтів, які страждають на БЕ. Результати наведено в табл. 4.

Як свідчать результати аналізу, закупівлі підлягають вісім груп медичних товарів для догляду за шкірою та ранами: спеціальні пов'язки й засоби, що забезпечують контактний шар на рану, серветки, трубчасті та еластичні бинти для фіксації, засоби для оброблення ран (загалом 20 найменувань).

За офіційними даними щодо здійснення державних закупівель ЛЗ і МВ за напрямом БЕ із залученням МСЗО за кошти держбюджету на 2021 р., агенцією «Crown Agents» було замовлено 452 140 од. МВ відповідно до виділеної суми бюджету 168,9 млн грн. У результаті було закуплено 718,2 тис. одиниць, що становить 159 % від замовлення. Отже, централізовані закупівлі дозволяють досягти суттєвої економії обмежених

Таблиця 5

**АНАЛІЗ ЗАКУПЛЕНИХ МЕДИЧНИХ ВИРОБІВ ДЛЯ ПАЦІЄНТІВ
ІЗ БУЛЬОЗНИМ ЕПІДЕРМОЛІЗОМ (ЗА ДАНИМИ ДП «МЗУ»)**

Предмет закупівлі	Еквівалент	Ціна закуп. за од., грн	К-ть пак.	К-ть бинтів/ пов'язок	Сума, тис. грн
Бинт еласт. д/фікс. Batist® Fixa-Crep, 12 см × 4 м	Бинт еласт. д/фікс. Peha-fix® 12 см × 4 м / Paul Hartmann, Німеччина	5,15	524	10 480	54,0
Засіб для відкр. ран, стерил., Meritel®, 10 × 18 см	Пов'язка атравм. Atrauman® Silicone 10 см × 20 см / Paul Hartmann, Німеччина	41,75	1 693	8 465	353,4
Пов'язки спец. Tubifast Red Line, 10 м	Постійно еласт. трубч. бинт Coverflex® fast, розмір 1 (3,5 см × 10 м) / Paul Hartmann, Німеччина	150,25	281	281	42,2
Пов'язки спец. Tubifast Green Line 10 м	Постійно еласт. трубч. бинт Coverflex® fast, Розмір 2 (5 см × 10 м) / Paul Hartmann, Німеччина	172,16	1 457	1 457	250,8
Пов'язки спец. Tubifast Blue Line, 10 м	Постійно еласт. трубч. бинт Coverflex® fast, розмір 3 (7,5 см × 10 м) / Paul Hartmann, Німеччина	206,60	1 015	1 015	209,7
Пов'язки спец. Tubifast Yellow Line 10 м	Постійно еласт. трубч. бинт Coverflex® fast, розмір 4 (10,75 см × 10 м) / Paul Hartmann, Німеччина	253,55	960	960	243,4
Пов'язки спец. Tubifast Purple Line 10 м	Постійно еласт. трубч. бинт Coverflex® fast, розмір 5 (17,5 см × 10 м) / Paul Hartmann, Німеччина	397,54	288	288	114,5
Загальна вартість					1268,0

ресурсів за рахунок ефекту масштабу і прямих зв'язків з постачальниками.

Розподіл закуплених централізовано МВ для громадян, які страждають на БЕ, за адміністративно-територіальними одиницями здійснюють відповідно до наказів МОЗ. Як свідчить аналіз, для проведення закупівель з більшості позицій предмет закупівлі обрано як еквівалент з мінімальною ціною (табл. 5).

Відповідно до даних ДП МЗУ на 2023 рік заплановано закупівлю МВ для хворих на БЕ за 20 найменуваннями на суму 119,8 млн грн (пересічно 900 тис. грн на одного пацієнта на рік).

Висновки та перспективи подальших досліджень. Дослідження організаційно-економічних проблем фармацевтичного

забезпечення хворих на рідкісні захворювання, зокрема й на БЕ, свідчить, що гарантоване законодавством безоплатне надання пацієнтам усіх необхідних ЛЗ і МВ неможливе через дефіцит ресурсів та неврегульованість нормативно-правової бази. Складнощі в задоволенні потреб таких хворих зумовлено значними річними витратами на забезпечення комплексного лікування (насамперед догляду за ранами) на тлі дефіциту бюджетних коштів.

З метою удосконалення підходів до фармацевтичного забезпечення хворих на БЕ надзвичайно важливим є застосування оцінки медичних технологій (ОМТ) для виявлення найбільш ефективних і економічно доцільних ЛЗ і МВ.

Конфлікт інтересів: відсутній.

Перелік використаних джерел інформації

1. Уніфікований клінічний протокол первинної, вторинної (спеціалізованої) та третинної (високоспеціалізованої) медичної допомоги. Бульозний епідермоліз : Наказ МОЗ від 25.02.2016 р. № 135. URL: <https://www.dec.gov.ua/mtd/buloznyj-epidermoliz/>.
2. Бульозний епідермоліз. Адаптована клінічна настанова, заснована на доказах. ДЕЦ. 2016. 77 с. URL: https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2019/11/2016_135_akn_be.pdf.

3. Про схвалення Концепції розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, на 2021-2026 роки : Розпорядження КМУ від 28.04.2021 р. № 377-р. URL: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/377-2021-%D1%80#Text>.
4. Denyer J., Pillay E. Best practice guidelines for skin and wound care in epidermolysis bullosa. International Consensus. DEBRA, 2012. URL: <https://wounds-uk.com/consensus-documents/best-practice-guidelines-skin-and-wound-care-epidermolysis-bullosa/>.
5. Orphanet Report Series – Prevalence of rare diseases : Bibliographic data – January 2022. URL: https://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/Prevalence_of_rare_diseases_by_alphabetical_list.pdf.
6. Orphanet Nomenclature Pack For Coding. URL: <https://www.orphadata.com/pack-nomenclature/>.
7. So J. Y., Teng J. Epidermolysis Bullosa Simplex. *GeneReviews*. 1998. URL: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK1369/>.
8. Rashidghamat E., Mellerio J. E. Management of chronic wounds in patients with dystrophic epidermolysis bullosa: challenges and solutions. *Chronic Wound Care Management and Research*. 2017. No. 4. P. 45–54.
9. Деньєр Ж., Піллай Е., Клапем Дж. Настанови з найкращої практики з догляду за шкірою та ранами при бульозному епідермолізі. Міжнародний консенсус. *Wounds International*, 2017. 60 с.
10. Bader K. B-VEC Approved for the Treatment of Dystrophic Epidermolysis Bullosa. *Dermatologytimes*. 2023. URL: <https://www.dermatologytimes.com/view/b-vec-approved-for-the-treatment-of-dystrophic-epidermolysis-bullosa>.
11. Schröder N. H. B., Korte E. W. H., Duipmans J. C., Stewart R. E., Bolling M. C., Wolff A. P. Identifying Epidermolysis Bullosa Patient Needs and Perceived Treatment Benefits: An Explorative Study Using the Patient Benefit Index. *Journal of Clinical Medicine*. 2021. No. 10 (24). P. 5836. DOI: 10.3390/jcm10245836.
12. Pain and quality of life evaluation in patients with localized epidermolysis bullosa simplex / J. Brun et al. *Orphanet Journal of Rare Diseases*. 2017. No. 12. P. 119.
13. Occupational therapy for epidermolysis bullosa: clinical practice guidelines / J. M. Chan et al. *Orphanet Journal of Rare Diseases*. 2019. No. 14. P. 129. DOI: <https://doi.org/10.1186/s13023-019-1059-8>.
14. Social-economic costs and health-related quality of life in patients with epidermolysis bullosa in Europe / A. Angelis et al. *The European Journal of Health Economics*. 2016. No. 7. P. 31–42.
15. Flannery D., Doyle C., Hickey S., Aherne F., Kennan A. Direct Costs of Epidermolysis Bullosa by Disease Severity. *Acta Dermato-Venereologica*. 2020. No. 100 (8). P. 5715. DOI: 10.2340/10.2340/00015555-3456.
16. Pillay E., Clapham J. Development of best clinical practice guidelines for epidermolysis bullosa. *Wounds International*. 2018. Vol. 9, No. 4. URL: <https://www.woundsme.com/uploads/resources/83e41a6d33fa875ba1efbf1ade2f1230.pdf>.
17. Clinical characteristics, healthcare use, and annual costs among patients with dystrophic epidermolysis bullosa / J. A. Feinstein et al. *Orphanet Journal of Rare Diseases*. 2022. No. 17. P. 367. DOI: <https://doi.org/10.1186/s13023-022-02509-0>.

References

1. MOZ. (2016). Nakaz vid 25.02.2016 r. "Unifikovanyi klinichniy protokol pervynnoi, vtorynnoi (spetsializovanoi) ta tretynnoi (vysokospetsializovanoi) medychnoi dopomohy. Buloznyi epidermoliz". *dec.gov.ua*. Available at: <https://www.dec.gov.ua/mtd/buloznyj-epidermoliz/>.
2. Buloznyi epidermoliz. Adaptovana klinichna nastanova, zasnovana na dokazakh. (2016). *DETs*, 77. Available at: https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2019/11/2016_135_akn_be.pdf.
3. KМУ. (2021). Rozporiadzhennia vid 28.04.2021 r. No.377-r. "Pro skhvalennia Kontseptsii rozvytku systemy nadannia medychnoi dopomohy patsientam, yaki strazhdaiut na ridkisini (orfanni) zakhvoriuvannia, na 2021-2026 roky". *zakon.rada.gov.ua*. Available at: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/377-2021-%D1%80#Text>.
4. Denyer, J., Pillay, E. (2012). Best practice guidelines for skin and wound care in epidermolysis bullosa. International Consensus. *DEBRA*. Available at: <https://wounds-uk.com/consensus-documents/best-practice-guidelines-skin-and-wound-care-epidermolysis-bullosa/>.
5. Orphanet Report Series – Prevalence of rare diseases: Bibliographic data – January 2022. Available at: https://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/Prevalence_of_rare_diseases_by_alphabetical_list.pdf.
6. Orphanet Nomenclature Pack For Coding. Available at: <https://www.orphadata.com/pack-nomenclature/>.

7. So, J. Y., Teng, J. (1998). Epidermolysis Bullosa Simplex. *GeneReviews*. Available at: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK1369/>.
8. Rashidghamat, E., Mellerio, J. E. (2017). Management of chronic wounds in patients with dystrophic epidermolysis bullosa: challenges and solutions. *Chronic Wound Care Management and Research*, 4, 45–54.
9. Denier, Zh., Pillai, E., Klapem, Dzh. (2017). *Nastanovy z naikrashchoi praktyky z dohliadu za shkiroi u ta ranamy pry buloznomu epidermolizi izhnarodnyi konsensus*. Wounds International.
10. Bader, K. (2023). B-VEC Approved for the Treatment of Dystrophic Epidermolysis Bullosa. *Dermatologytimes*. Available at: <https://www.dermatologytimes.com/view/b-vec-approved-for-the-treatment-of-dystrophic-epidermolysis-bullosa>.
11. Schröder, N. H. B., Korte, E. W. H., Duipmans, J. C., Stewart, R. E., Bolling, M. C., Wolff, A. P. (2021). Identifying Epidermolysis Bullosa Patient Needs and Perceived Treatment Benefits: An Exploratory Study Using the Patient Benefit Index. *Journal of Clinical Medicine*, 10 (24), 5836. doi: 10.3390/jcm10245836.
12. Brun, J., Devos, C., Leclerc-Mercier, S., Mazereeuw, J., Bourrat, E., Maruani, A. et al. (2017). Pain and quality of life evaluation in patients with localized epidermolysis bullosa simplex. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 12, 119.
13. Chan, J. M., King, A., Maksomski, S. et al. (2019). Occupational therapy for epidermolysis bullosa: clinical practice guidelines. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 14, 129. doi: <https://doi.org/10.1186/s13023-019-1059-8>.
14. Angelis, A., Kanavos, P., López-Bastida, J., Linertova, R., Oliva-Moreno, J., Serrano-Aguilar, P. et al. (2016). Social-economic costs and health-related quality of life in patients with epidermolysis bullosa in Europe. *The European Journal of Health Economics*, 7, 31–42.
15. Flannery, D., Doyle, C., Hickey, S., Aherne, F., Kennan, A. (2020). Direct Costs of Epidermolysis Bullosa by Disease Severity. *Acta Dermato-Venereologica*, 100 (8), 5715. doi: 10.2340/10.2340/00015555-3456.
16. Pillay, E., Clapham, J. (2018). Development of best clinical practice guidelines for epidermolysis bullosa. *Wounds International*, 9 (4). Available at: <https://www.woundsme.com/uploads/resources/83e41a6d33fa875ba1efbf1ade2f1230.pdf>.
17. Feinstein, J. A., Bruckner, A. L., Chastek, B. et al. (2022). Clinical characteristics, healthcare use, and annual costs among patients with dystrophic epidermolysis bullosa. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 17, 367. doi: <https://doi.org/10.1186/s13023-022-02509-0>.

Відомості про авторів:

Сліпцова Н. А., аспірантка кафедри організації та економіки фармації, Національний фармацевтичний університет Міністерства охорони здоров'я України (<https://orcid.org/0000-0002-4041-5396>). E-mail: apteka111888111@gmail.com
Назаркіна В. М., докторка фармацевтичних наук, професорка кафедри організації та економіки фармації, Національний фармацевтичний університет Міністерства охорони здоров'я України (<http://orcid.org/0000-0002-0767-6180>). E-mail: victory.nazarkina@gmail.com

Information about authors:

Sliptsova N. A., postgraduate student of the Organization and Economics of Pharmacy Department, National University of Pharmacy of the Ministry of Health of Ukraine (<https://orcid.org/0000-0002-4041-5396>). E-mail: apteka111888111@gmail.com
Nazarkina V. M., Doctor of Pharmacy (Dr. habil.), professor of the Organization and Economics of Pharmacy Department, National University of Pharmacy of the Ministry of Health of Ukraine (<http://orcid.org/0000-0002-0767-6180>). E-mail: victory.nazarkina@gmail.com

Надійшла до редакції 10.05.2023 р.