

Качество жизни пациентов с разными формами гемофилии (на примере Нижегородской области)

© Фокина Д. С.¹, Жукова О. В.¹, Волкова С. А.¹, Хохлов А. Л.²

¹ — ФГБОУ ВО «Приволжский исследовательский медицинский университет» Минздрава России, Нижний Новгород, Российская Федерация

² — ФГБОУ ВО «Ярославский государственный медицинский университет» Минздрава России, Ярославль, Российская Федерация

Аннотация. Актуальность. Для здравоохранения важно отслеживать и улучшать показатели здоровья населения с помощью системы оценки качества жизни (КЖ) пациента вне зависимости от нозологии заболевания. Применение оценки КЖ даёт органам здравоохранения инструмент для дополнительного анализа работы медицинских служб и для принятия решений о приоритетных направлениях финансирования. Определение КЖ является одним из решающих факторов при расчёте QALY, поскольку оно измеряет эффективность медицинского лечения с точки зрения того, насколько оно продлевает и/или улучшает жизнь пациентов. **Целью исследования** является определение КЖ пациентов с гемофилией в Нижегородской области посредством проведения электронного анкетирования с применением опросника SF-36. **Методы.** В исследовании применяли валидированный опросник краткой формы SF-36, который был разослан взрослым пациентам с гемофилией А, В и болезнью Виллебранда в Нижегородской области вместе с краткой формой информированного добровольного согласия. В анкетировании приняли участие 28 человек. Расчёт общих и итоговых показателей КЖ вели согласно инструкции по обработке данных, полученных с помощью опросника SF-36. **Результаты** Наименьшее количество баллов среди всех опрошенных было набрано по показателю GH «Общее состояние здоровья» при среднем значении 61,00, а наибольшее — по показателю PF «Физическое функционирование» со средним значением в 81,43. В ходе проведённого исследования выявлено, что большая часть опрошенных пациентов получают Эмицизумаб (42,86%). После сравнения диапазонов значений итоговых показателей физического (PH) и психического (MH) здоровья у пациентов с разными формами гемофилии наиболее высокие значения показателей КЖ наблюдаются у пациентов с гемофилией В. **Заключение.** У пациентов с разными формами гемофилии определены удовлетворительные значения показателей КЖ, так как все полученные в ходе анкетирования результаты находятся выше среднего значения показателей. Средние показатели КЖ у пациентов, получающих эмицизумаб, находятся на схожем уровне в сравнении с пациентами, принимающими прочие лекарственные препараты (ЛП), а колебания показателей КЖ у таких пациентов менее заметны, чем у остальных опрошенных пациентов с гемофилией А.

Ключевые слова: гемофилия; болезнь Виллебранда; орфанные заболевания; качество жизни; оценка технологий здравоохранения; анкета SF-36

Для цитирования: Фокина Д. С., Жукова О. В., Волкова С. А., Хохлов А. Л. Качество жизни пациентов с разными формами гемофилии (на примере Нижегородской области). *Качественная клиническая практика*. 2023; (4):58-67. <https://doi.org/10.37489/2588-0519-2023-4-58-67>

Поступила: 07.11.2023. **В доработанном виде:** 20.11.2023. **Принята к печати:** 15.12.2023. **Опубликована:** 30.12.2023

Quality of life of patients with different forms of hemophilia on the example of Nizhny Novgorod region

© Daria S. Fokina¹, Olga V. Zhukova¹, Svetlana A. Volkova¹, Alexander L. Khokhlov²

¹ — FSBEI HE "Privolzhsky Research Medical University" MOH Russia, Nizhny Novgorod, Russian Federation

² — FSBEI HE "Yaroslavl State Medical University" MOH Russia, Yaroslavl, Russian Federation

Abstract. It is important for public health to monitor and improve the health indicators of the population using the system of patient's quality of life (HRQoL) assessment regardless of the nosology of the disease. The use of HRQoL assessment provides health authorities with a tool for additional analysis of the performance of health services and for making decisions about funding priorities. The definition of HRQoL is one of the decisive factors in the calculation of QALYs because it measures the effectiveness of medical treatment in terms of how much it prolongs and/or improves patients' lives. The aim of the study is to determine the QALYs of hemophilia patients in Nizhny Novgorod region by means of electronic questionnaire using the SF-36 questionnaire. **Methods.** A validated SF-36 short form questionnaire was used in the study, which was distributed to adult patients with hemophilia A, B and Willebrand's disease of Nizhny Novgorod region together with a short form of informed voluntary consent. Twenty-eight people participated in the questionnaire. Calculation of general and final indicators of the HRQoL was carried out according to the instructions for processing data obtained with the SF-36 questionnaire. **Results.** The lowest score among all respondents was for GH "General Health Status" with a mean value of 61.00, and the highest score was for PF "Physical Functioning" with a mean value of 81.43. The study revealed that the majority of the surveyed patients were receiving Emicizumab (42.86%).

After comparing the ranges of values of the final indicators of physical (PH) and mental (MN') health in patients with different forms of hemophilia, the highest values of HRQoL indicators are observed in patients with hemophilia B, and the highest range of extreme values — in patients with hemophilia A. **Conclusion.** Patients with different forms of hemophilia are determined to have satisfactory values of HRQoL indicators, as all the results obtained in the course of the questionnaire are above the average value of the indicators. Mean HRQoL scores in patients receiving emicizumab are at a similar level compared to patients receiving other LPs, and fluctuations in HRQoL scores in these patients are less marked than in the other patients with hemophilia A.

Keywords: hemophilia; Willebrand disease; orphan diseases; quality of life; health technology assessment; SF-36 questionnaire

For citation: Fokina DS, Zhukova OV, Volkova SA, Khokhlov AL. Quality of life of patients with different forms of hemophilia on the example of Nizhny Novgorod region. *Kachestvennaya klinicheskaya praktika = Good Clinical Practice*. 2023; (4):58-67. (In Russ.). <https://doi.org/10.37489/2588-0519-2023-4-58-67>

Received: 07.11.2023. **Revision received:** 20.11.2023. **Accepted:** 15.12.2023. **Published:** 30.12.2023

Введение / Introduction

Гемофилия по достаточно редкой распространённости заболевания в общей популяции (1:10000 населения) относится к группе орфанных (редких) заболеваний. Пациенты обеспечиваются достаточно дорогостоящим лечением за счёт государственной программы льготного обеспечения в амбулаторных условиях пациентов, страдающих редкими и высокозатратными нозологиями (с 2020 г. — 14 ВЗН) [1].

Численность пациентов с нозологией гемофилии в федеральном реестре ВЗН за 2022 год составила 11151 человек, при этом число пациентов, получающих терапию — 9184 человека. Доля пациентов, получающих терапию гемофилии А, В или болезни Виллебранда, в 2022 году составила 4,77% от общего числа пациентов, входящих в федеральный реестр ВЗН. При этом финансирование гемофилии в 2022 году составило 21,55 млрд рублей или 25,06% от общей стоимости заявки ВЗН [2].

Согласно клиническим рекомендациям формы гемофилии по степени тяжести классифицируют на лёгкую, среднетяжёлую и тяжёлую, базируясь на активность факторов свертывания крови (в %) VIII (FVIII) и IX (FIX). У пациентов со среднетяжёлой (1–5%) и тяжёлой (<1%) формами гемофилии наблюдаются преимущественно эпизоды спонтанного кровотечения или кровотечения при незначительной травме (преимущественно гемартрозы и гематомы мягких тканей различных локализаций) [3].

Стандартом медицинской помощи для лечения и профилактики кровотечений и их осложнений является поддержание адекватного уровня активности фактора свертывания крови путём периодического внутривенного введения необходимой концентрации. Пациенты получают медикаментозную терапию в виде профилактики или в виде лечения по требованию для купирования эпизодов кровотечений. Для

пациентов с тяжёлой формой кровотечения профилактическое лечение является стандартом терапии [4]. При отсутствии необходимой лекарственной терапии у пациентов с гемофилией А наступает ранняя инвалидизация, а продолжительность жизни не превышает 30–40 лет [5].

Для профилактической медицины и здравоохранения в целом важно отслеживать и улучшать показатели здоровья населения. Благодаря развитию IT-технологий данная задача упрощается, например, с помощью специально разработанной и валидированной системы оценки качества жизни (КЖ) пациента вне зависимости от нозологии заболевания.

Исследование КЖ пациента отражает не отсутствие у него болезней, а удовлетворение им его потребностей и его адаптацию в физической, психологической и социальной сферах [6].

Если человек без труда для себя, благополучно ведёт физическую, психическую и социальную деятельность и доволен уровнем своего функционирования и контролем болезни или симптомов, связанных с её лечением, то можно сказать, что КЖ характеризуется как состояние благополучия для пациента [7].

В медицинской практике КЖ рассчитывается в различных целях: во-первых, чтобы оценить эффективность методов и технологий современной клинической медицины; во-вторых, чтобы оценить степень тяжести состояния больного, чтобы спрогнозировать течение заболевания [6].

На данный момент используются методики определения КЖ для различных групп заболеваний. Этот процесс является составной частью комплексного анализа новых методов диагностики, лечения и профилактики. Применение оценки КЖ даёт органам здравоохранения инструмент для дополнительного анализа работы медицинских служб, а также для принятия решений о приоритетных направлениях финансирования [6].

Одним из главных методов оценки КЖ пациента являются анкеты (опросники), как общие, так и специфические. Среди современных общих опросников наибольшей популярностью пользуется опросник MOS-SF-36 (короткая форма), или сокращенно SF-36 [8].

Методика переведена на русский язык и апробирована Институтом клинико-фармакологических исследований в Международном центре исследования КЖ (МЦИКЖ, Санкт-Петербург). Результаты апробирования показали, что российская версия обладает надежными психометрическими свойствами и может быть рекомендована для популяционных исследований КЖ в России [8].

В мировой практике достаточно давно проводится оценка КЖ у пациентов с гемофилией посредством проведения анкетирования. Немецкое исследование показало, что у пациентов, проходящих профилактику, был лучший показатель КЖ по сравнению с пациентами, получающими лечение по требованию, особенно с точки зрения трёх аспектов: общего состояния здоровья, физической роли и эмоционально-ролевого функционирования [9].

Многоцентровое когортное исследование пациентов из шести центров лечения гемофилии по всей территории США показало, что взрослые пациенты с тяжёлой формой гемофилии А имели более низкий физический КЖ по сравнению с нормальной популяцией в США, но сопоставимый психологический компонент КЖ [10].

Взрослые пациенты с гемофилией в США, которые всегда проходили профилактическое лечение, имеют лучшее физическое функционирование и физический показатель КЖ, по сравнению с теми, кто не проходил профилактику в течение всей своей жизни [11].

Использование стандартных опросников является одним из инструментов расчёта QALY (Quality-Adjusted Life Year) — показателя ценности результатов в области здравоохранения, который объединяет изменения в качественном и количественном соотношении в единый показатель. Наиболее распространённые опросники: индекс EuroQoL (EQ-5D), 36-позиционный краткий опросник здоровья (SF-36), индекс полезности здоровья (HUI) и т.д. Некоторые из них, например EQ-5D и SF-36, используются для оценки предпочтений в здравоохранении, а также в других отраслях, ориентированных на потребителя [12].

В международной практике разработаны и применяются стандартизированные методики расчёта QALY, что позволяет использовать этот показатель в качестве универсального критерия эффективности

при оценке медицинских технологий. Его универсальность позволяет принимать решения о финансировании медицинских технологий для лечения различных заболеваний в рамках ограниченного бюджета. При этом финансовые ресурсы распределяются таким образом, чтобы максимизировать прирост QALY [13].

Опросник SF-36 позволяет оперативно применять его для больших групп сравнения, выявляя общие проблемы, неспецифичные для различных возрастных или нозологических групп. Данный опросник подходит как для самостоятельного заполнения пациентом на бумаге или с помощью компьютерного опроса, так и с помощью обученного человека при личном общении, а время его заполнения достаточно мало.

Определение КЖ является одним из решающих факторов при расчёте QALY, поскольку оно измеряет эффективность медицинского лечения с точки зрения того, насколько оно продлевает и / или улучшает жизнь пациентов [14].

Целью данного исследования / The purpose of this work является определение КЖ пациентов с гемофилией Нижегородской области посредством проведения электронного анкетирования с применением опросника SF-36.

Материалы и методы / Materials and methods

Для определения КЖ использовали валидированный опросник краткой формы SF-36. Вопросы полностью и без изменений были перенесены в Google-форму, которая была разослана взрослым пациентам с гемофилией А, В и болезнью Виллебранда Нижегородской области вместе с краткой формой информированного добровольного согласия при участии региональной организации Нижегородской области Всероссийского общества гемофилии. Исследование одобрено локальным этическим комитетом Приволжского исследовательского медицинского Университета ПИМУ выпиской из протокола № 9 от 30 июня 2023 года.

В анкетировании приняли участие 28 человек, среди них 10,71% — пациенты женского пола и 89,29% — мужского пола. Среди всех опрошенных 46,43% ($n=13$) пациентов, у которых поставлен диагноз до года, 25% ($n=7$) — от 1 года до 5 лет, 10,71% ($n=3$) — от 5 лет до 10 лет и 17,86% ($n=5$) пациентов с выявленным диагнозом больше 10 лет назад.

Среди опрошенных преобладали пациенты, страдающие гемофилией А (в т.ч. ингибиторная форма гемофилии) (табл. 1).

Таблица 1
Распределение пациентов по заболеваниям

Distribution of patients by disease

Table 1

Заболевание	Количество, чел.
Гемофилия А (в т. ч. ингибиторная форма гемофилии)	21 (3)
Гемофилия В	4
Болезнь Виллебранда	3

Расчёт общих и итоговых показателей КЖ вели согласно инструкции по обработке данных, полученных с помощью опросника SF-36, представленного в Google-форме.

Анкета состояла из 36 вопросов, распределённых по 8 шкалам. В ходе расчёта были определены 2 суммарных показателя (физическое здоровье «РН» и психическое здоровье «МН»), которыми объединяются шкалы. Интервал каждого из показателей 8 шкал анкеты в числовом выражении находился в диапазоне от 0 до 100, где 0 — это наименьшее значение, определяющее низкие значения КЖ, а 100 — это наибольшее значение, показывающее удовлетворённость КЖ.

Для определения КЖ количественно оценивали следующие показатели:

1. Физическое функционирование (*Physical Functioning — PF*), отражающее степень, в которой физическое состояние ограничивает выполнение физических нагрузок (самообслуживание, ходьба, подъём по лестнице, переноска тяжестей и т.п.). Низкие показатели по этой шкале свидетельствуют о том, что физическая активность пациента значительно ограничивается состоянием его здоровья.

2. Ролевое функционирование, обусловленное физическим состоянием (*Role-Physical Functioning — RP*) — влияние физического состояния на повседневную ролевую деятельность (работу, выполнение повседневных обязанностей). Низкие показатели по этой шкале свидетельствуют о том, что повседневная деятельность значительно ограничена физическим состоянием пациента.

3. Интенсивность боли (*Bodily pain — BP*) и её влияние на способность заниматься повседневной деятельностью, включая работу по дому и вне дома. Низкие показатели по этой шкале свидетельствуют о том, что боль значительно ограничивает активность пациента.

4. Общее состояние здоровья (*General Health — GH*) — оценка больным своего состояния здоровья

в настоящий момент и перспектив лечения. Чем ниже баллы по этой шкале, тем ниже оценка состояния здоровья.

5. Жизненная активность (*Vitality — VT*) подразумевает ощущение себя полным сил и энергии или, напротив, обессиленным. Низкие баллы свидетельствуют об утомлении пациента, снижении жизненной активности.

6. Социальное функционирование (*Social Functioning — SF*) определяется степенью, в которой физическое или эмоциональное состояние ограничивает социальную активность (общение). Низкие баллы свидетельствуют о значительном ограничении социальных контактов, снижении уровня общения в связи с ухудшением физического и эмоционального состояния.

7. Ролевое функционирование, обусловленное эмоциональным состоянием (*Role-Emotional — RE*) предполагает оценку степени, в которой эмоциональное состояние мешает выполнению работы или другой повседневной деятельности (включая большие затраты времени, уменьшение объёма работы, снижение её качества и т.п.). Низкие показатели по этой шкале интерпретируются как ограничение в выполнении повседневной работы, обусловленное ухудшением эмоционального состояния.

8. Психическое здоровье (*Mental Health — MH*) характеризует настроение, наличие депрессии, тревоги, общий показатель положительных эмоций. Низкие показатели свидетельствуют о наличии депрессивных, тревожных переживаний, психическом неблагополучии.

Данные от 8 вышеперечисленных показателей группируются в два ключевых показателя — «физический компонент здоровья» и «психологический компонент здоровья»:

1. Физический компонент здоровья (*Physical health — PH*) включает в себя следующие шкалы: PF, RP, BP, GH.

2. Психологический компонент здоровья (*Mental Health — MH*) объединяет шкалы MH, RE, SF, VT.

Для комплексных показателей РН и МН проводится стандартизация. Для каждого респондента по всем 8 шкалам рассчитывался Z-показатель по отношению разницы трансформированного значения каждой шкалы с его средним значением в популяции к стандартному отклонению.

Z-показатель показывает, на сколько стандартных отклонений заданное значение отклоняется от среднего значения. Для расчёта данного показателя обычно используется следующая формула (1):

$$Z = (X - \mu) / \sigma (1)$$

где:

X — это одно необработанное значение данных;

μ — среднее значение;

σ — стандартное отклонение.

Полученный Z -показатель для отдельного значения интерпретируется следующим образом: положительный Z -показатель показывает, что полученное отдельное значение больше среднего, отрицательный Z -показатель — меньше среднего, а если Z -показатель равен 0, то индивидуальное значение равно среднему.

Чем больше абсолютное значение Z -показатель, тем дальше отдельное значение находится от среднего [15].

Расчет Z -показателя — один из последовательных шагов перевода показателей в стандартные значения согласно валидированному опроснику SF-36. Для стандартизации значений каждой шкалы при разработке анкеты был выбран 50% уровень от «идеального» здоровья и одинаковое стандартное отклонение, равное 10 [16].

Результаты и обсуждение / Results and discussion

Анализ структуры лекарственных препаратов (ЛП), получаемых пациентами, участвующими в анкетировании, показал, что наибольшее количество назначений по данным опросника у опрошенных пациентов приходится на Эмицизумаб — 42,86% (табл. 2).

Структура ЛП, получаемых пациентами с разными формами гемофилии по данным опроса

Таблица 2

Table 2

Structure of LPs received by patients with different forms of hemophilia according to the survey data

МНН	Пациенты, %
Эмицизумаб	42,86%
Фактор свертывания крови IX	14,29%
Симоктоког альфа (фактор свертывания крови VIII человеческий рекомбинантный)	10,71%
Фактор свертывания крови VIII + Фактор Виллебранда	10,71%
Эфмороктоког альфа	7,14%
Октоког альфа	7,14%
Фактор свертывания крови VIII	3,57%
Не указан ЛП	3,57%
ВСЕГО:	100%

По заполненным данным валидированной анкеты SF-36 рассчитывали ряд показателей КЖ пациента (табл. 3). Чем выше числовое значение каждого из показателей, тем выше КЖ пациента по данному показателю.

Таблица 3

Показатели КЖ пациентов с различными формами гемофилии согласно анкете SF-36

Table 3

KJ indicators of patients with different forms of hemophilia according to the SF-36 questionnaire

Показатель	Среднее значение ± стандартное отклонение (σ)	Минимальное значение	Максимальное значение
PF Физическое функционирование	81,43 ± 17,57	20	100
RP Роль в функционировании	64,29 ± 38,63	0	100
BP Интенсивность боли	72,43 ± 21,84	31	100
GH Общее состояние здоровья	61,00 ± 19,93	20	95
VT Жизненная активность	64,82 ± 13,85	20	85
SF Социальное функционирование	79,02 ± 18,62	37,5	100
RE Роль в функционировании	78,57 ± 32,38	0	100
MH Психическое здоровье	67,57 ± 10,49	36	80

Наименьшее количество баллов было набрано по показателю GH «Общее состояние здоровья» при среднем значении 61,00, наибольшее — по показателю PF «Физическое функционирование» — 81,43 (рис. 1).

Точки на рисунке 1 показывают выпадающие значения из всей совокупности показателей, т.е. те показатели, которые сильно отличаются от среднего значения. Они принадлежат пациентам, у которых наиболее низкие показатели КЖ.

По итогам расчёта и приведения показателей анкеты SF-36 к двум итоговым значениям, был рассчитан Z-показатель для физического (РН) (а) и психического (МН') компонентов (б) здоровья (рис. 2).

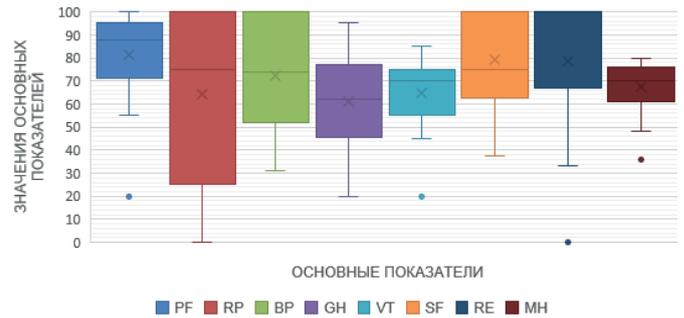


Рис. 1. Распределение показателей качества жизни пациентов с гемофилией по 8 шкалам

Fig. 1. Distribution of quality of life indicators of hemophilia patients according to 8 scales

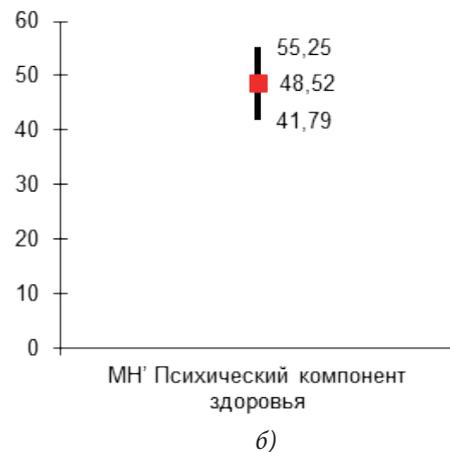
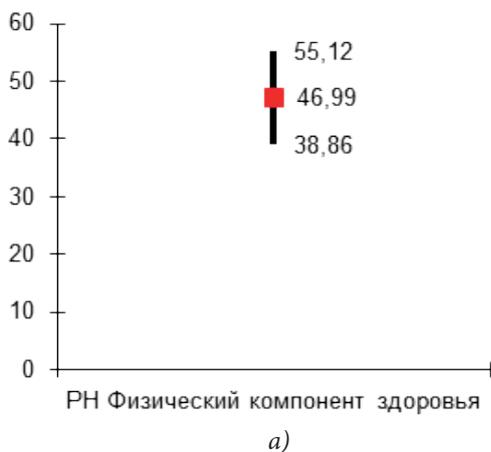


Рис. 2. Стандартизированные показатели компонентов здоровья пациентов с различными формами гемофилии, прошедших анкетирование

Fig. 2. Standardized indicators of health components of patients with different forms of hemophilia who completed the questionnaire

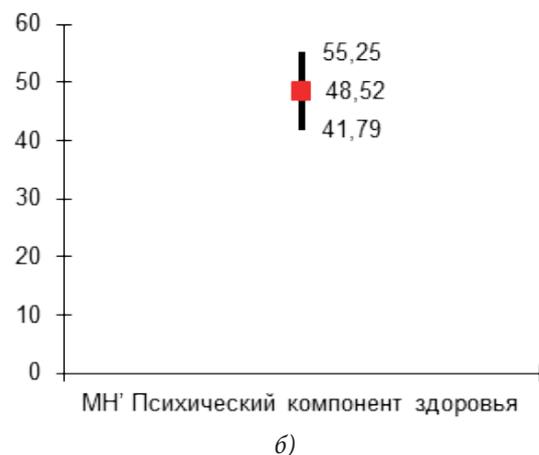
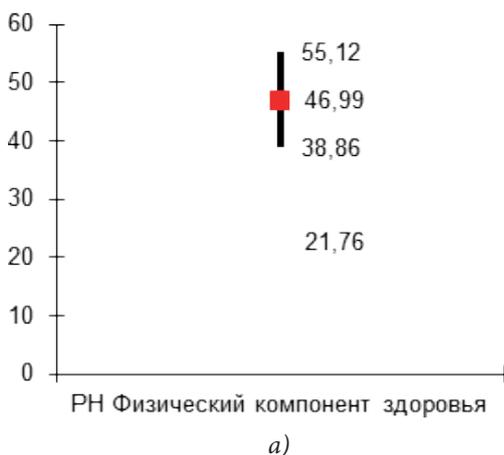


Рис. 3. Физический (РН) и психический компоненты (МН') здоровья пациентов с разными формами гемофилии по данным проведённого анкетирования

Fig. 3. Physical (РН) and mental components (МН') of health of patients with different forms of hemophilia according to the conducted questionnaire

Среднее значение физического компонента здоровья у пациентов с гемофилией составило $46,99 \pm$

$8,13$ (а), психического — $48,52 \pm 6,73$ (б). У одного пациента с гемофилией А, диагностированной более

10-лет назад, показатель физического компонента здоровья составил 21,76, что в 2,16 раза ниже среднего значения анализируемой группы (рис. 3).

В таблице 4 представлено сравнение показателей КЖ у пациентов с разными формами гемофилии по 8 шкалам в числовом выражении. Можно отметить,

что в среднем показатели КЖ выше у пациентов с гемофилией А, а у пациентов с болезнью Виллебранда отмечаются наиболее низкие показатели. Самым низким показателем является общее состояние здоровья (GH) у пациентов с болезнью Виллебранда (42,33).

Таблица 4

Показатели качества жизни пациентов с разными формами гемофилии, прошедших анкетирование

Table 4

Quality of life indicators of patients with different forms of hemophilia who completed the questionnaire

	Вид значения	PF	RP	BP	GH	VT	SF	RE	MH
Гемофилия А	Среднее ± σ	79,05 ± 25,00	63,10 ± 52,40	71,95 ± 21,96	63,33 ± 42,05	64,29 ± 21,84	79,76 ± 23,36	80,95 ± 213,40	66,67 ± 33,86
	Min	20,00	0,00	31,00	37,00	20,00	37,50	0,00	36,00
	Max	100	100	100	95	85	100	100	80
Гемофилия В	Среднее ± σ	90,00 ± 11,66	75,00 ± 32,44	78,50 ± 22,62	62,75 ± 24,64	71,25 ± 8,43	78,13 ± 16,26	75,00 ± 43,45	72,00 ± 7,72
	Min	80,00	25,00	52,00	25,00	65,00	62,50	0,00	64,00
	Max	100	100	100	87	80	100	100	80
Болезнь Виллебранда	Среднее ± σ	86,67 ± 8,14	58,33 ± 31,74	67,67 ± 24,88	42,33 ± 26,82	60,00 ± 15,49	75,00 ± 20,80	66,67 ± 29,71	68,00 ± 9,81
	Min	80,00	25,00	41,00	20,00	45,00	50,00	33,33	56,00
	Max	95	100	100	67	80	100	100	80

На рисунке 4 представлены диапазоны значений итоговых показателей физического (PH) и психического (MH) здоровья у пациентов с разными формами гемофилии. По представленным данным можно

отметить, что наиболее высокие значения показателей КЖ наблюдаются у пациентов с гемофилией В, а наибольший диапазон крайних значений наблюдается у пациентов с гемофилией А.

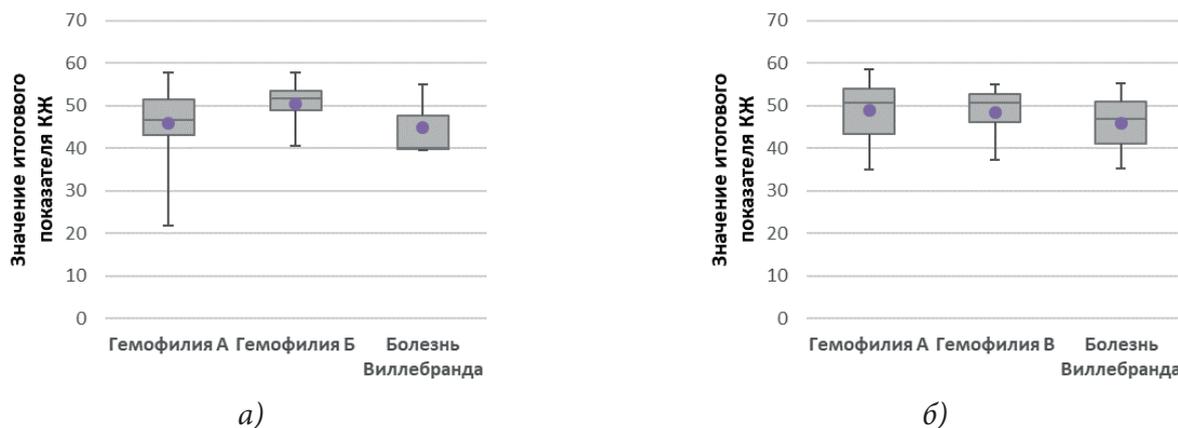


Рис. 4. Диапазон итоговых значений физического (PH) и психического (MH) компонентов здоровья пациентов с разными формами гемофилии по данным анкетирования

а) показатели итоговых значений физического (PH) компонента здоровья;
 б) показатели итоговых значений психического (MH) компонента здоровья.

Fig. 4. Range of final values of physical (PH) and mental (MH) health components of patients with different forms of hemophilia according to the questionnaire data

а) indicators of the final values of the physical (PH) component of health;
 б) indicators of the final values of the mental (MH) component of health.



Рис. 5. Сравнение средних показателей качества жизни у пациентов с гемофилией А, принимающих эмицизумаб и прочие ЛП для терапии гемофилии А

Fig. 5. Comparison of mean quality of life scores in hemophilia A patients receiving emicizumab and other hemophilia A therapies

Заключение / Conclusion

В ходе проведенного исследования выявлено, что большая часть опрошенных пациентов получают эмицизумаб (42,86%). При этом средние показатели КЖ у таких пациентов находятся на схожем уровне в сравнении с пациентами, принимающими прочие ЛП, а колебания показателей КЖ у пациентов, принимающих эмицизумаб, менее заметны, чем у остальных опрошенных пациентов с гемофилией А.

По рассчитанным общим показателям КЖ выявлено, что наименьшее количество баллов среди всех опрошенных пациентов было набрано по показателю GH «Общее состояние здоровья» при среднем значении 61,00, а наибольшее — по показателю PF «Физическое функционирование» со значением в 81,43.

После сравнения диапазонов значений итоговых показателей физического (РН) и психического (МН) здоровья у пациентов с разными формами гемофилии определили, что наиболее высокие значения показателей КЖ наблюдаются у пациентов с гемофилией В, а наибольший диапазон крайних значений — у пациентов с гемофилией А. Но стоит отметить, что у пациента с гемофилией А, диагностированной

более 10-лет назад, который имеет сопутствующие заболевания, показатель физического компонента здоровья имеет достаточно низкий показатель и составил 21,76, что в 2,16 раза ниже среднего значения анализируемой группы.

У пациентов с разными формами гемофилии определены удовлетворительные значения 8 основных показателей КЖ, а также физического и психического компонентов здоровья, так как все полученные в ходе анкетирования результаты находятся выше среднего значения показателей.

ДОПОЛНИТЕЛЬНАЯ ИНФОРМАЦИЯ ADDITIONAL INFORMATION

Конфликт интересов. Авторы заявляют об отсутствии конфликта интересов, требующего раскрытия в данной статье.

Conflict of interests. The authors declare no conflict of interest requiring disclosure in this article.

Благодарности. Авторы выражают признательность региональной организации Нижегородской области Всероссийского общества гемофилии за оказанную помощь при проведении данного исследования.

Участие авторов. Фокина Д. С. — концепция и дизайн исследования, сбор, анализ и интерпретация результатов работы, написание текста; Жукова О. В. — концепция и дизайн исследования, редактирование текста, утверждение окончательного варианта статьи для публикации; Хохлов А. Л. — редактирование текста, утверждение окончательного варианта статьи для публикации; Волкова С. А. — редактирование текста, утверждение окончательного варианта статьи для публикации.

Participation of authors. Fokina DS — concept and design of the work, collection, analysis and interpretation of the results of the work, writing the text; Zhukova OV — concept and design of the study, writing the text, approval of the final version of the article for publication; Khokhlov AL — text editing, approval of the final version of the article for publication; Volkova SA — text editing, approval of the final version of the article for publication.

СВЕДЕНИЯ ОБ АВТОРАХ

Фокина Дарья Сергеевна*Автор, ответственный за переписку*

e-mail: dsfokina4@mail.ru

ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0003-3937-7617>

Аспирант, старший лаборант кафедры фармацевтической химии и фармакогнозии фармацевтического факультета ФГБОУ ВО «ПИМУ» Минздрава России, Нижний Новгород, Российская Федерация

Жукова Ольга ВячеславовнаORCID ID: <https://orcid.org/0000-0002-6454-1346>

д. фарм. н., доцент, заведующий кафедрой фармацевтической химии и фармакогнозии фармацевтического факультета ФГБОУ ВО «ПИМУ» Минздрава России, Нижний Новгород, Российская Федерация

Волкова Светлана АлександровнаORCID ID: <https://orcid.org/0000-0002-6476-7281>

к. м. н., доцент кафедры госпитальной терапии им. В. Г. Вогралика ФГБОУ ВО «ПИМУ» Минздрава России, Нижний Новгород, Российская Федерация

Хохлов Александр ЛеонидовичORCID ID: <https://orcid.org/0000-0002-0032-0341>

д. м. н., профессор, академик РАН, зав. кафедрой фармакологии и клинической фармакологии, ректор ФГБОУ ВО ЯГМУ Минздрава России, Ярославль, Российская Федерация

ABOUT THE AUTHORS

Daria S. Fokina*Corresponding author*

e-mail: dsfokina4@mail.ru

ORCID ID: <https://orcid.org/0000-0003-3937-7617>

Postgraduate student, Senior Laboratory Assistant of the Department of Pharmaceutical Chemistry and Pharmacognosy of the Faculty of Pharmacy FSBEI HE PRMU MOH Russia, Nizhny Novgorod, Russian Federation

Olga V. ZhukovaORCID ID: <https://orcid.org/0000-0002-6454-1346>

PhD, Dr. Sci. (Pharm), Associate Professor, Head of the Department of Pharmaceutical Chemistry and Pharmacognosy of the Faculty of Pharmacy FSBEI HE PRMU MOH Russia, Nizhny Novgorod, Russian Federation

Svetlana A. VolkovaORCID ID: <https://orcid.org/0000-0002-6476-7281>

PhD, Cand. Sci. (Med.), Associate Professor of the Department of Hospital Therapy named after V. G. Vogralik FSBEI HE PRMU MOH Russia, Nizhny Novgorod, Russian Federation

Alexander L. KhokhlovORCID ID: <https://orcid.org/0000-0002-0032-0341>

Dr. Sci (Med.), Professor, Academician of the Russian Academy of Sciences, Head of the Department of Pharmacology and Clinical Pharmacology, Rector FSBEI HE YaSMU MOH Russia, Yaroslavl, Russian Federation

Список литературы / References

1. Распоряжение Правительства РФ от 12.10.2019 N 2406-р (ред. от 24.12.2022) «Об утверждении перечня жизненно необходимых и важнейших лекарственных препаратов, а также перечней лекарственных препаратов для медицинского применения и минимального ассортимента лекарственных препаратов, необходимых для оказания медицинской помощи». [Order of the Government of the Russian Federation of 12.10.2019 N 2406-r (ed. of 24.12.2022) «Ob utverzhdenii perechnya zhiznennno neobhodimyyh i vazhnejshih lekarstvennyh preparatov, a takzhe perechney lekarstvennyh preparatov dlya medicinskogo primeneniya i minimal'nogo assortimenta lekarstvennyh preparatov, neobhodimyyh dlya okazaniya medicinskoj pomoshchi». (In Russ.)].
2. Максимкина Е. А. Лекарственное обеспечение пациентов, страдающих редкими (орфанными) заболеваниями, в рамках исполнения программы высокотратных нозологий (ВЗН) и деятельности Фонда «Круга добра». [Maksimkina EA. Lekarstvennoe obespechenie pacientov, stradayushchih redkimi (orfannymi) zabolevaniyami, v ramkah ispolneniya programmy vysokozatratnyh nozologij (VZN) i deyatel'nosti Fonda «Krugа dobra». (In Russ.)]. Доступно по: http://komitet2-2.km.duma.gov.ru/upload/site21/Maksimkina_pptx. (дата обращения: 25.06.2023)
3. Клинические рекомендации «Гемофилия» / Национальное общество детских гематологов, онкологов, Национальное гематологическое общество (Год пересмотра 2023). — 65 с. [Klinicheskie rekomendacii «Gemofiliya» / Nacional'noe obshchestvo detskikh gematologov, onkologov, Nacional'noe gematologicheskoe obshchestvo. (Revision year 2023). (In Russ.)].
4. Алгоритмы диагностики и протоколы лечения заболеваний системы крови. Под ред. В. Г. Савченко. В двух томах. Том 1. — М.: Практика, 2018. С. 333–357. [Algoritmy diagnostiki i protokoly lecheniya zabolevaniy sistemy krovi. Ed by VG Savchenko. In two volumes. Volume 1. Moscow: Practice, 2018. p. 333–357. (In Russ.)].
5. White II GC, Aster RH, Aster SE. Looking Back — Looking Forward: 40 Years in Hemophilia Research. *The Hematologist: ASH News & Reports*. July 2014;11 (4). doi: 10.1182/hem. V11.4.3025.
6. Потёмкина Т. Е., Кузнецова С. В., Перешейн А. В., и др. Качество жизни в здравоохранении: критерии, цели, перспективы. *Российский остеопатический журнал*. 2018; (3-4):98–106. [Potemkina TE, Kuznetsova SV, Pereshein AV, et al. Quality of life in healthcare services: criteria, goals, prospects. *Russian Osteopathic Journal*. 2018; (3-4):98–106. (In Russ.)]. doi: 10.32885/2220-0975-2018-3-4-98-106.
7. What quality of life? The WHOQOL Group. World Health Organization Quality of Life Assessment. *World Health Forum*. 1996;17 (4):354–6.
8. Новик А. А., Ионова Т. И., Шевченко Ю. Л. Руководство по исследованию качества жизни в медицине. 2-е изд. — М.: ОЛМА Медиа Групп; 2007; 320 с. [Novik AA, Ionova TI, Shevchenko YL. Manual on the study of quality of life in medicine. 2nd ed. Moscow: OLMA Media Group; 2007. (In Russ.)].
9. Szucs TD, Öffner A, Schramm W. Socioeconomic impact of haemophilia care: results of a pilot study. *Haemophilia*. 1996 Oct;2 (4):211–7. doi: 10.1111/j. 1365–2516.1996. tb00139. x.
10. Poon JL, Doctor JN, Nichol MB. Longitudinal changes in health-related quality of life for chronic diseases: an example in hemophilia A.

- J Gen Intern Med.* 2014 Aug;29 Suppl 3 (Suppl 3):S760–6. doi: 10.1007/s11606-014-2893-y.
11. Duncan N, Kronenberger W, Roberson C, Shapiro A. VERITAS-Pro: a new measure of adherence to prophylactic regimens in haemophilia. *Haemophilia.* 2010 Mar;16 (2):247–55. doi: 10.1111/j. 1365–2516.2009.02129. x.
 12. Ягудина Р. И., Куликов А. Ю., Литвиненко М. М. Qaly: история, методология и будущее метода. *Фармакоэкономика. Современная фармакоэкономика и фармакоэпидемиология.* 2010;3 (1):7–11. [Yagudina R, Kulikov A, Litvinenko M. Qaly: history, methodology and the method future. *FARMAKOEKONOMIKA. Modern Pharmacoeconomics and Pharmacoepidemiology.* 2010;3 (1):7–11. (In Russ.)]. URL: <https://cyberleninka.ru/article/n/qaly-istoriya-metodologiya-i-budushee-metoda> (дата обращения: 13.10.2023).
 13. Мусина Н. З., Федяева В. К. Методы расчета QALY как интегрального показателя эффективности в процессе комплексной оценки лекарственных препаратов. *Фармакоэкономика. Современная фармакоэкономика и фармакоэпидемиология.* 2017;10 (1):66–71. [Musina NZ, Fedyaeva VK. The use of QALY as an integral measure of effectiveness in the evaluation of medical technologies. *FARMAKOEKONOMIKA. Modern Pharmacoeconomics and Pharmacoepidemiology.* 2017; (10) 1:66–71 (In Russ.)]. doi: 10.17749/2070–4909.2017.10.1.066–071.
 14. Prieto L, Sacristán JA. Problems and solutions in calculating quality-adjusted life years (QALYs). *Health Qual Life Outcomes.* 2003 Dec 19;1:80. doi: 10.1186/1477-7525-1-80.
 15. Z-score: Definition, Formula, and Uses. URL: <https://statisticsbyjim.com/basics/z-score/> (дата обращения: 06.09.2023).
 16. 36-Item Short Form Survey (SF-36) // URL: https://www.rand.org/health-care/surveys_tools/mos/36-item-short-form.html (дата обращения: 20.07.2023)