

В. М. Назаркіна¹, В. В. Тутук¹, Н. А. Сліпцова²

¹ Національний фармацевтичний університет Міністерства охорони здоров'я України

² Донецький національний медичний університет Міністерства охорони здоров'я України, м. Кропивницький

Дослідження стану та проблем фармацевтичного забезпечення орфанних пацієнтів лікарськими засобами за договорами керованого доступу

Мета – комплексне дослідження стану і проблем забезпечення орфанних пацієнтів інноваційними лікарськими засобами (ЛЗ), що закуповуються на умовах договорів керованого доступу (ДКД).

Матеріали та методи. Проведено аналіз, узагальнення і систематизацію нормативно-правових актів, наукових публікацій, аналітично-звітних даних, інформації офіційних сайтів уповноважених органів (Міністерства охорони здоров'я України, центральної закупівельної організації ДП «Медичні закупівлі України», ДП «Державний експертний центр МОЗ України») та електронної системи закупівель (ЕСЗ) «Prozorro» стосовно закупівлі орфанних ЛЗ на умовах ДКД.

Результати та їхнє обговорення. Аналіз світового досвіду показав, що для розширення доступу до інноваційних високовартісних ЛЗ як на державному рівні, так і для окремого пацієнта застосовуються ДКД (фінансові або орієнтовані на клінічні результати). За результатами проведених досліджень встановлено, що станом на вересень 2025 р. в Україні на умовах ДКД закуповується 23 найменування ЛЗ (17 МНН), з них 13 МНН – для лікування рідкісних захворювань (мукополісахаридоз, хвороба Фабрі, хвороба Гоше, гемофілія А, первинні (вроджені) імунodefіцити, спінальна м'язова атрофія (СМА)). Усі ці ЛЗ попередньо пройшли державну оцінку медичних технологій (ОМТ), а саме порівняльну оцінку ефективності, безпечності і впливу на бюджет, та визнані оптимальним варіантом для забезпечення терапії рідкісних (орфанних) захворювань (Р(О)З). Аналіз даних ЕСЗ «Prozorro» свідчить, що деякі ЛЗ до укладання ДКД закуповувалися децентралізовано. Наразі у зв'язку зі змінами до законодавства створюється прозорий багаторівневий механізм ДКД з можливістю залучення різних джерел фінансування, що дозволить підвищити ефективність, адресність фармацевтичної допомоги та її доступність.

Висновки. Доведено, що ДКД (які також називають угодами про розподіл ризиків) є перспективним напрямом удосконалення системи фармацевтичного забезпечення орфанних пацієнтів, які потребують безперервного високовартісного лікування. Гнучкість умов ДКД дозволяє розширювати доступ пацієнтів до ЛЗ, раціонально витрачати обмежені фінансові ресурси та здійснювати збір реальних даних про клінічну ефективність ЛЗ. Визначені ключові проблеми закупівлі ЛЗ за ДКД: недостатня прозорість умов укладання угод, відсутність реєстру пацієнтів, обмежена аналітична база для оцінки клінічних результатів.

Ключові слова: лікарські засоби; рідкісні (орфанні) захворювання; договори керованого доступу; публічні закупівлі; оцінка медичних технологій.

V. M. Nazarkina¹, V. V. Tutuk¹, N. A. Sliptsova²

¹ National University of Pharmacy of the Ministry of Health of Ukraine

² Donetsk National Medical University of the Ministry of Health of Ukraine, Kropyvnytskyi

The study of the state and problems of pharmaceutical provision of orphan patients with medicines under managed entry agreements

Aim. To conduct a comprehensive study of the state and problems of providing orphan patients with innovative medicines purchased under managed entry agreements (MEA).

Materials and methods. The analysis, generalization, and systematization of regulatory and legal acts, scientific publications, analytical and reporting data, information from the official websites of authorized bodies (the Ministry of Health of Ukraine, the central procurement organization SE "Medical Procurement of Ukraine," State Expert Center of the Ministry of Health of Ukraine) and the "Prozorro" electronic procurement system regarding the purchase of orphan drugs under the terms of MEA were carried out.

Results. The analysis of global experience has shown that MEAs (financial or clinical outcome-based) are used to expand access to innovative high-cost medicines both at the state level and for individual patients. According to the results of the studies conducted it has been found that as of September 2025, 23 names of drugs (17 INNs) are purchased in Ukraine under the conditions of MEA; among them, 13 INNs are for the treatment of rare diseases (mucopolysaccharidosis, Fabry disease, Gaucher disease, hemophilia A, primary (congenital) immunodeficiencies, spinal muscular atrophy (SMA)). All these medicines have previously undergone a state health technology assessment (HTA), including a comparative evaluation of their effectiveness, safety, and impact on the budget, and have been recognized as the optimal option for providing therapy for rare diseases. The analysis of "Prozorro" data shows that some medicines were purchased in a decentralized manner prior to the signing of the MEA. Currently, due to changes in the legislation, a transparent multi-level MEA mechanism is being created with the possibility of attracting various sources of funding, which will increase the effectiveness, targeting, and availability of pharmaceutical care.

Conclusions. It has been proven that MEAs (also known as risk-sharing agreements) are a promising direction for improving the system of pharmaceutical provision for orphan patients who require continuous, high-cost treatment. The flexibility of the terms of MEAs makes it possible to expand the patients' access to medicines, use rationally the limited financial resources, and collect real data on the clinical effectiveness of medicines. Key problems in the procurement of medicines under MEAs, such as insufficient transparency of the terms of agreements, lack of a patient registry, and a limited analytical base for evaluating clinical outcomes, have been identified.

Keywords: medicines; rare (orphan) diseases; managed entry agreements; public procurement; health technology assessment.

Вступ. Рідкісні (орфанні) захворювання (Р(О)З) є однією з найгостріших медико-соціальних проблем сучасності, оскільки вони характеризуються високими незадоволеними медичними потребами через відсутність або надзвичайно високу вартість медичних технологій (МТ) для їхньої діагностики, лікування та догляду. За оцінками міжнародних експертів, понад 300 млн людей у світі живуть із Р(О)З, яких наразі ідентифіковано близько 7 тисяч. Високий соціально-економічний тягар Р(О)З вимагає системного підходу до організації фармацевтичної та медичної допомоги пацієнтам.

У травні 2025 року під час 78-ї сесії Всесвітньої асамблеї охорони здоров'я (WHA78) було ухвалено резолюцію «Рідкісні захворювання: глобальний пріоритет охорони здоров'я заради рівності та інклюзії». Документ визначає Р(О)З як один із ключових напрямів глобальної політики у сфері охорони здоров'я (ОЗ) і закликає уряди країн інтегрувати політику щодо Р(О)З у національні стратегічні плани, розширити скринінг новонароджених і забезпечити своєчасну діагностику, гарантувати доступ до МТ у межах систем медичного страхування. Резолюція також зобов'язує Всесвітню організацію охорони здоров'я (ВООЗ) розробити комплексний 10-річний глобальний план дій щодо Р(О)З із чітко вимірюваною метою, спрямованою на досягнення рівності, інклюзії та справедливого доступу до медичної допомоги. ВООЗ наголошує на важливості інвестування у цифрові інструменти, створення реєстрів пацієнтів і референтних центрів передового досвіду, а також підкреслює необхідність міжнародної співпраці та активної участі пацієнтських організацій у розробленні й реалізації національної політики у сфері Р(О)З [1, 2].

Фармацевтичне забезпечення осіб із Р(О)З має такі характерні риси: незначна кількість пацієнтів, висока вартість терапії, що перевищує середні бюджетні можливості державних програм, обмежені дані клінічних досліджень, необхідність довічного лікування та моніторингу ефективності. В умовах таких обмежень саме ДКД стають ефективним механізмом раціонального розподілу фінансових ресурсів і забезпечення адресного доступу до лікування.

Аналіз літературних джерел показав, що публікації українських науковців зосереджені насамперед на нормативно-правових аспектах укладання та реалізації ДКД, а також на проблемі удосконалення фармацевтичного забезпечення окремих категорій пацієнтів. Комплексного дослідження нормативно-правового регулювання, стану, умов та перспектив розвитку цього механізму в Україні не було.

Мета роботи полягала у комплексному дослідженні стану і проблем забезпечення орфанних пацієнтів інноваційними ЛЗ, що закуповуються на умовах ДКД.

Матеріали та методи. Проведено аналіз, узагальнення і систематизацію нормативно-правових актів, наукових публікацій, аналітично-звітних даних, інформації офіційних сайтів уповноважених органів (Міністерства охорони здоров'я України, центральної закупівельної організації ДП «Медичні закупівлі України», ДП «Державний експертний центр МОЗ України») та електронної системи закупівель (ЕСЗ) «Prozorro» стосовно закупівлі орфанних ЛЗ на умовах ДКД.

Результати та їхнє обговорення. Забезпечення доступу пацієнтів, які страждають на Р(О)З, до необхідних МТ для діагностики, лікування і реабілітації є однією зі складових Плану заходів щодо реалізації Концепції розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на Р(О)З, на 2021–2026 роки [3]. Метою концепції є зменшення смертності, підвищення якості життя орфанних пацієнтів шляхом забезпечення справедливого й рівного доступу до належної медичної допомоги, зокрема до якісних, ефективних і безпечних ЛЗ.

Договори керованого доступу (ДКД, *англ.* Managed Entry Agreements, MEA) – це інноваційний механізм взаємодії держави з виробниками ЛЗ, спрямований на мінімізацію фінансових ризиків під час забезпечення пацієнтів високовартісними ЛЗ. Такі угоди передбачають узгоджені умови постачання, фінансування та моніторингу результативності лікування з метою забезпечення ефективного використання державних коштів. Головна мета ДКД – забезпечити доступ пацієнтів до інноваційних МТ у разі, коли доказової бази або даних про економічну доцільність недостатньо для стандартного вписування ЛЗ до державних програм [4].

Аналіз міжнародного досвіду свідчить, що найчастіше застосовуються фінансові угоди та договори, орієнтовані на результат (табл. 1). Фінансові договори спрямовані насамперед на зменшення витрат держави на закупівлю ЛЗ і не враховують його клінічної ефективності / результативності. Особливістю ДКД, заснованих на результатах, є оплата лише за доведену ефективність лікування або конкретний, заздалегідь обумовлений клінічний результат [5–7]. Потенційна третя категорія зосереджена на створенні додаткових переваг для пацієнтів: центри доступу, освіти, моніторингу та збору даних реального світу (real world data, rwd), а також навчання та освіти опікунів [8].

Таблиця 1

Характеристики основних видів ДКД [4, 6, 9, 10]

Вид угоди	Різновид	Суть механізму
Фінансові договори (financial based)	Дисконтні / рабатні знижки / компенсація	Повна оплата за прайс-листом із подальшим поверненням узгоджених знижок / компенсацій
	Угода «ціна – обсяг» (PVA – Price-Volume Agreement)	У разі перевищення встановленого порогу витрат передбачена знижка на всі додаткові дози
	Лімітування «ціна / доза / час»	Постачальник відшкодовує витрати на завершення лікування у разі перевищення визначеної вартості й тривалості курсу, кількості доз
Договори на основі результатів (outcome based або performance-based)	Оплата за результат (Payment-by-result – PbR)	Виробник відшкодовує вартість ЛЗ у разі відсутності клінічного результату
	Покриття з розробленням доказів (coverage with evidence development – CED)	ЛЗ відшкодовуються за умови збору реальних даних (rwd)
	Умовне продовження лікування (conditional treatment continuation – CTC)	Платник продовжує покривати витрати лише для окремих пацієнтів, які отримують користь від лікування
Комбіновані (гібридні) ДКД	Містять елементи фінансових ДКД і заснованих на результаті, обов'язково містять умови моніторингу договору	

В оновленій версії Глосарію фармацевтичних термінів PPRI (2025) виділяють такі різновиди ДКД:

- доступ з розробленням доказів (access with evidence development – AED);
- умовне покриття (conditional coverage);
- умовне продовження лікування (conditional treatment continuation – CTC);
- покриття з розробленням доказів (coverage with evidence development – CED);
- тільки в дослідженнях (only in research – OIR);
- гарантії результатів (outcome guarantees);
- схема доступу для пацієнтів (patient access scheme – PAS);
- патерн або процес догляду (pattern or process care);
- угода, що базується на результатах (performance based agreement);
- схеми відшкодування, що базуються на клінічних результатах (performance based health outcome reimbursement schemes);
- відшкодування, пов'язане з результатами (performance-linked reimbursement);
- угоди про ціну та обсяг (price volume agreements – PVA);
- схеми розподілу ризиків (risk sharing schemes) [11].

Відповідно до базових умов та рівня застосування (індивідуальний, популяційний) ДКД можна умовно поділити на чотири класи (рис. 1).

Нами проведено аналіз особливостей використання ДКД для високовартісних інноваційних ЛЗ для лікування орфаних захворювань (табл. 2).

Аналіз міжнародного досвіду впровадження договорних механізмів оплати високовартісних інноваційних ЛЗ свідчить про активне застосування моделей, заснованих на принципах оплати за результат (outcome-based agreements). Щодо препаратів Zolgensma® (для лікування СМА) та Zynteglo® (для лікування трансфузійно-залежної β-таласемії) країни ЄС, зокрема Німеччина та Швеція, впроваджують гнучкі фінансові підходи, що поєднують механізми відстрочених або розподілених платежів із гарантіями відшкодування у разі відсутності клінічного ефекту. Такі моделі дозволяють державам зменшити фінансові ризики для впровадження генної терапії,

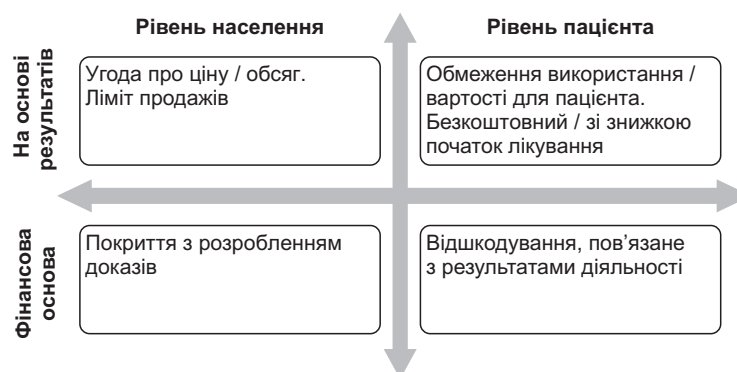


Рис. 1. Договори керованого доступу [12]

Приклади ДКД на основі результатів для високовартісних ЛЗ [13]

МТ	Показання	Країна	Тип угоди, особливості реалізації
Zolgensma®	СМА	Німеччина	Оплата за результат (2 показники) з гарантією повернення грошей
		США	Оплата за результатами, розподіл платежів на 5 років
Zynteglo®	Трансфузійно-залежна β -таласемія	Німеччина	Оплата за результат (відсутність переливання еритроцитів), розподіл платежів на 4 роки
		Швеція	Оплата за результат, розподіл 5 платежів на 4 роки

забезпечують зв'язок між ефективністю лікування і ціною, а також сприяють підвищенню прозорості та справедливості у процесі ціноутворення на інноваційні ЛЗ. Досвід США демонструє аналогічну тенденцію до довгострокових розстрочених виплат (до 5 років), що робить вартісно-інтенсивні методи лікування більш доступними для системи ОЗ без одночасного перевантаження бюджету. Загалом аналіз підтверджує, що моделі оплати за результат є ефективним інструментом балансування між інтересами пацієнтів, держави та виробників, а їхня адаптація до національної системи ОЗ України може сприяти більш раціональному використанню ресурсів і забезпеченню доступу до інноваційних терапій.

Одним із показових прикладів практичної реалізації ДКД у Польщі є забезпечення лікування пацієнтів зі СМА. У ході переговорів із виробниками ЛЗ МОЗ Польщі було застосовано «cup model», тобто встановлено фіксований обсяг фінансування, який держава може витратити на лікування Р(О)З. Виробник, зі свого боку, забезпечує лікування всіх пацієнтів із відповідним діагнозом у межах узгодженої суми. Отже, ДКД передбачає розподіл ризиків: держава не перевищує запланований бюджет і забезпечує прогнозованість витрат; компанія бере на себе ризик зростання кількості пацієнтів або вартості лікування; пацієнти отримують гарантований доступ до інноваційного ЛЗ незалежно від демографічних чи часових факторів. Тобто ДКД можуть узгоджувати інтереси держави, бізнесу та пацієнтів, підвищуючи ефективність використання коштів бюджету і рівень соціальної справедливості у сфері ОЗ [14].

Запровадження механізму ДКД в Україні врегульовано декількома нормативно-правовими актами. Перелік ЛЗ, що закуповуються за ДКД, затверджується Кабінетом Міністрів України. Рішення про доцільність укладення ДКД ухвалюється на підставі висновку уповноваженого органу з державної ОМТ, що підтверджує ефективність, безпечність та економічну доцільність ЛЗ. Наразі таку оцінку відповідно до вимог постанови КМУ від 23.12.2020 р. № 1300 проводить Департамент з ОМТ Державного підприємства «Державний експертний центр МОЗ України», підготовлені проєкти висновків розглядаються консультативно-дорадчим органом – Експертним комітетом з ОМТ. Варто зауважити, що в процесі проведення оцінки чітко визначаються конкретні показання до застосування МТ і відповідні когорти

пацієнтів (особливо це стосується перепрофільованих препаратів).

Порядок проведення переговорів щодо укладання ДКД і типова форма угоди чітко регламентовані постановою КМУ від 27.01.2021 р. № 61. Згідно з цим документом процедура закупівлі за ДКД проводиться з дотриманням принципів прозорості, недискримінації, забезпечення конфіденційності та захисту інформації [15]. Замовником, який здійснює закупівлю ЛЗ на підставі й на умовах ДКД, виступає МОЗ України та особа, уповноважена на здійснення закупівель у сфері ОЗ на підставі відповідного рішення або доручення МОЗ. У 2023 р. у зв'язку зі змінами у законодавстві «МЗУ» набуло повноважень щодо самостійного формування переговорної групи, що сприяє більш оперативному проведенню перемовин з виробником, результати яких спрямовуються на розгляд робочої групи при МОЗ України. Зі свого боку, МОЗ ухвалює остаточне рішення щодо підписання договору.

З метою розширення доступу пацієнтів до ЛЗ, зокрема за рахунок закупівель за ДКД, було ухвалено Закон України від 04.06.2025 р. № 4472-IX, згідно з яким були внесені зміни до чинних нормативно-правових актів. Так, у новій редакції статті 79¹ «Договори керованого доступу» Основ законодавства України про ОЗ суттєво оновлено підходи до правового регулювання укладення ДКД. Зміни спрямовані на підвищення прозорості та ефективності закупівель і становлення ефективної моделі фінансування інноваційних ЛЗ в Україні. По-перше, вони формують механізм багаторівневої участі у фінансуванні закупівель, що дозволяє залучати не лише державні, а й місцеві ресурси, а також кошти державних і комунальних медичних закладів. По-друге, процедура ухвалення рішень на основі державної ОМТ забезпечує науково обґрунтоване та економічно доцільне використання бюджетних коштів. По-третє, добровільний характер участі інших замовників у фінансуванні сприяє гнучкості та адаптивності механізму до потреб регіонів. Сукупність цих нововведень створює передумови для більш прозорого, прогнозованого та справедливого розподілу ресурсів у системі фармацевтичного забезпечення населення [16].

Отже, відповідно до чинного законодавства процедура ДКД містить такі основні етапи (рис. 2).

Варто зауважити, що, згідно із законодавством, першочергово проводяться переговори з власниками

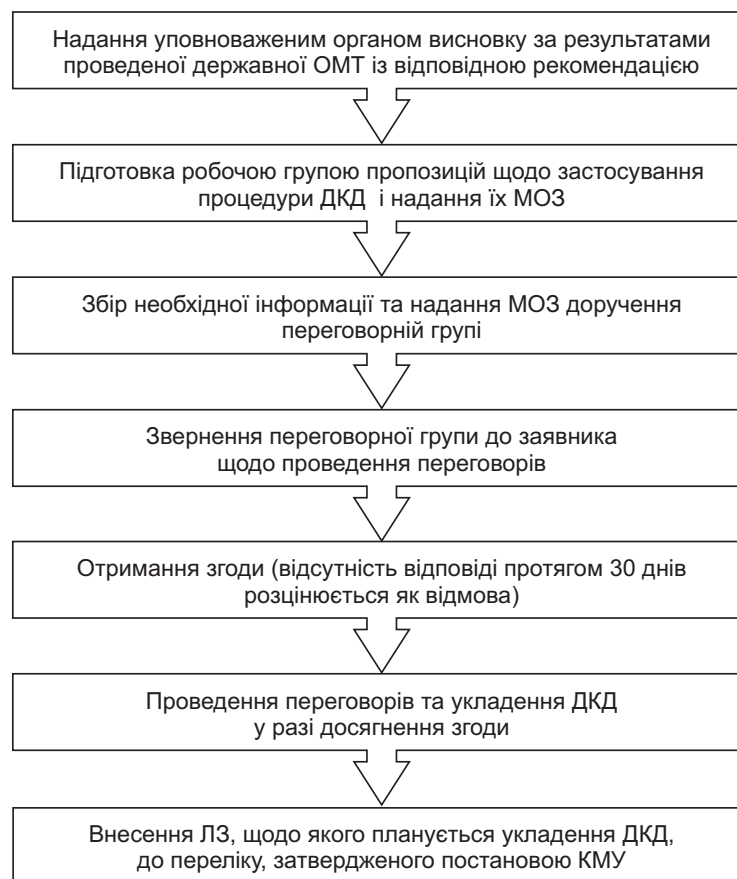


Рис. 2. Етапи укладання договорів керованого доступу

реєстраційних посвідчень ЛЗ (їхніми представниками), які демонструють готовність знизити ціну для досягнення показника ефективності витрат відповідно до рекомендацій ВООЗ на рівні 1–3 ВВП на душу населення або менше [15].

За результатами переговорів для кожного замовника і кожного окремого ЛЗ укладається окремий ДКД у письмовій формі відповідно до вимог Цивільного та Господарського Кодексів України з урахуванням положень постанови КМУ № 61. Сторони ДКД можуть визначити окремі положення ДКД інформацією з обмеженим доступом, крім інформації, як МОЗ розміщує на своєму офіційному веб-сайті та інформації, доступ до якої не може бути обмежено відповідно до законодавства. Посадові особи, які беруть участь у переговорах, укладають або виконують ДКД, несуть відповідальність за дотримання конфіденційності інформації. Також особлива увага приділяється уникненню конфлікту інтересів усіма учасниками.

Аналіз показав, що станом на вересень 2025 р. до переліку ЛЗ, що закуповуються за ДКД (згідно з постановою КМУ від 9.12.2022 р. № 1373), входить 23 найменування ЛЗ (17 МНН), з них 13 МНН – для лікування Р(О)З, а з урахуванням дозування – 18 найменувань ЛЗ (табл. 3).

Окрім того, за інформацією ДП «МЗУ», наразі проводяться переговори стосовно закупівлі за ДКД нусінерсену (Спінраз) і ридипламу (Еврисді) з метою розширення їхнього застосування пацієнтами зі СМА II і III типів [17].

Варто зауважити, що на оригінальні (інноваційні) ЛЗ, що підлягають закупівлі за ДКД, не поширюється дія закону «Про публічні закупівлі». Також законодавство не вимагає вносити закупівлю за ДКД до річного плану закупівель замовника. Водночас залишається обов'язковою вимога щодо оприлюднення інформації в ЕСЗ «Prozorro». Відповідно до вимог закону протягом 3 робочих днів з моменту укладення ДКД має бути оприлюднено звіт про договір, де зазначається інформація про заявника (постачальника), МНН (за наявності) і торговельну назву, форму випуску і дозування ЛЗ, а також строк дії ДКД.

Аналіз даних ЕСЗ «Prozorro» свідчить, що в системі відсутня повна інформація про закупівлі орфанних ЛЗ. Так, за МНН «Агалсидаза бета» опубліковано інформацію лише про 3 завершені договори, у яких замовником виступає ДП «МЗУ» (закупівлі UA-2021-11-05-003683-b-b1, UA-2021-09-09-012812-c-c1, UA-2021-09-09-012871-c-c1). Ці закупівлі проводилися за переговорною процедурою у 2021–2022 рр. до укладання ДКД. Велаглуцереза альфа 400 ОД закуповувалася централізованою закупівельною організацією (ЦЗО) за 2 договорами (UA-2021-11-05-001186-b-b1, UA-2021-07-02-002838-c-c1), а також на регіональному рівні – департаментом охорони здоров'я (ДОЗ). При цьому була застосована як переговорна процедура, так і відкриті торги з публікацією англійською мовою. Також були закуплені ЦЗО за переговорною процедурою Галсульфаза (UA-2021-11-05-002669-b), Елоссульфаза (UA-2021-11-05-002234-b),

Таблиця 3

Перелік ЛЗ, які закуповуються за ДКД (за даними ДП «МЗУ») станом на вересень 2025 р. [17]

МНН	Торгова назва, виробник	Фармакотерапевтична група	Показання, на яке видано висновок ОМТ
Агалсидаза бета A16A B04	ФАБРАЗИМ Genzyme, Ірландія	Інші засоби, що впливають на систему травлення і метаболічні процеси	Хвороба Фабрі, вік від 8 років
Велаглуцераза альфа A16AB10	ВПРІВ Shire, Ірландія		Хвороба Гоше I типу
Галсульфаза A16AB08	НАГЛАЗИМ BioMarin Intern., Ірландія		Мукополісахаридоз VI типу (МПС VI; недостатність N-ацетилгалактозамін-4-сульфатази; синдром Марото-Ламі)
Елоссульфаза A16AB12	ВІМІЗИМ BioMarin, Ірландія		МПС IVA типу (синдром Моркіо А, МПС IVA)
Ідурсульфаз A16AB09	ЕЛАПРАЗА Takeda, Ірландія		Синдром Хантера (МПС II типу (МПС II))
Іміглуцераза A16AB02	ЦЕРЕЗИМ® Genzyme, Ірландія		Хвороба Гоше (тип 1 або 3)
Ларонідаза A16AB05	АЛЬДУРАЗИМ Genzyme, Ірландія		МПС I типу, α-L-ідуронідазова недостатність
Таліглуцераза альфа A16AB11	ЕЛЕЛІСО Pharmacia & Upjohn, США		Хвороба Гоше 1-го типу
Еміцизумаб B02BX06 (30, 60, 105, 150 мг для дорослих і дітей)	ГЕМЛІБРА Roche, Швейцарія	Засоби, що впливають на систему крові та гемопоез. Антигеморагічні засоби	Профілактика кровотеч у хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII
Антиінгібіторний коагулянтний комплекс B02BD03	ФЕЙБА Takeda, Австрія		Гемофілія А та інгібіторами до Фактора VIII
Інгібітор С1-естерази B06AC01	СІНРАЙЗ Takeda, Австрія	Інші гематологічні засоби	Первинні (вроджені) імунodefіцити
Тофацитинібу цитрат L04AA29	КСЕЛБЯНЗ Pfizer, Німеччина	Селективні імуносупресанти	Активний поліартикулярний ювенільний ідіопатичний артрит (ЮІА) у дорослих і дітей з масою тіла > 40 кг
Рисдиплам M09AX10	ЕВРИСДІ Roche, Швейцарія	Засоби, що впливають на опорно-руховий апарат	Спінальна м'язова атрофія (СМА) у пацієнтів віком від 2 місяців

Ідурсульфаз (UA-2021-11-04-007744-b-b1), Ларонідаза (UA-2021-09-09-012786-c), Інгібітор С1-естерази (UA-2021-11-04-008402-b-b1). Іміглуцераза і таліглуцераза альфа також були закуплені у 2020–2021 рр. як централізовано (по 2 процедури закупівель), так і на місцевому рівні – ДОЗ (м. Київ) [18].

Варто зауважити, що за окремими позиціями в системі «Prozorro» міститься інформація про закупівлі ЛЗ, починаючи з 2016 р. Так, наприклад, пошук дозволив виявити інформацію про 15 процедур закупівлі ЛЗ «Антиінгібіторний коагулянтний комплекс», з них лише 3 договори організовані ЦЗО протягом 2020–2021 рр. Іншими замовниками були комунальні заклади ОЗ «Західноукраїнський спеціалізований дитячий медичний центр» (м. Львів), Обласний клінічний перинатальний центр (м. Суми), Харківська міська клінічна дитяча лікарня № 16, 1-а міська клінічна лікарня (м. Полтава), ДОЗ м. Києва та Хмельницького. За даними ЕСЗ, тофацитиніб закуповувався за кошти місцевого бюджету замовником Львівською обласною клінічною лікарнею. Еміцизумаб, згідно з інформацією, що міститься в ЕСЗ «Prozorro», протягом 2020–2023 рр. закуповувався

за 21 договором, з них 5 договорів централізованих закупівель замовника ДП «МЗУ», 16 – ДОЗ виконавчого органу Київської міської ради (КМДА) [18].

Установлено, що протягом 2021–2025 рр. на закупівлю ЛЗ за МНН Рисдиплам було укладено 17 договорів закупівлі за кошти місцевих бюджетів. Державними замовниками були як заклади ОЗ «Багатопрофільна клінічна лікарня інтенсивних методів лікування та швидкої медичної допомоги», «Клінічний центр дитячої медицини», «Західноукраїнський спеціалізований дитячий медичний центр» (Львів), так і установи ОЗ (департаменти ОЗ міських адміністрацій Києва, Івано-Франківська) [18].

Нусінерсен для лікування пацієнтів із СМА у 2021–2022 рр. був закуплений за бюджетні кошти за програмою «Здоров'я киян» (зокрема за рахунок гуманітарної допомоги). Цей ЛЗ отримували усього 9 пацієнтів дитячого віку, що становить 24 % від загальної кількості пацієнтів із СМА у м. Київ. Установлено, що Департаментом ОЗ за напрямом «Лікарські засоби для хворих на СМА» у 2021 р. було закуплено 21 флакон нусінерсену, у 2022 р. – 16, в 2023 р. – 15. Ціна нусінерсену, за даними ЕСЗ, становить 2 628 292,76 грн [19, 20].

Відповідно до висновку уповноваженого органу з ОМТ від 28.04.2023 р. рекомендовано розглянути можливість проведення переговорів щодо ДКД для ЛЗ Нусінерсен для лікування пацієнтів зі СМА II типу. З метою досягнення економічної доцільності застосування нусінерсену на рівні рекомендованого порогу готовності платити для України рекомендованим є зниження ціни на 98,4 та 97,1 % (відповідно до аналізу «витрати – користь»), до рівня 30 972,75 та 54 313,93 грн відповідно до порогу на рівні 3–5 ВВП на душу населення за шкалою рекомендованих граничних значень ICER в Україні (395 832,00–659 720,00 грн) [19].

За результатами проведених досліджень установлено, що ДКД є перспективним напрямом удосконалення системи фармацевтичного забезпечення пацієнтів, що страждають на Р(О)З і потребують постійного високовартісного лікування. Завдяки ДКД держава отримує змогу розширювати доступ пацієнтів до МТ, а фінансування здійснюється лише за умови підтвердження ефективності терапії. Водночас реалізація механізму ДКД стикається з низкою проблем: недостатня прозорість умов укладання угод; відсутність реєстру пацієнтів; обмежена аналітична база для оцінки клінічних результатів; брак фахівців у сфері ОМТ і фармакоекономічного аналізу. Для підвищення ефективності ДКД необхідним є створення національної бази даних клінічних результатів, розширення реєстрів орфанних хворих і посилення інституційної спроможності Національного агентства з ОМТ.

Перспективними напрямками розвитку практики ДКД в Україні є:

1. Розширення переліку нозологій, охоплених механізмом ДКД (відповідно до структури захворюваності та пріоритетів у сфері ОЗ).
2. Гармонізація українського законодавства з європейськими підходами до укладання та реалізації ДКД.
3. Запровадження системи моніторингу результатів лікування через національні реєстри пацієнтів та централізоване збирання даних.
4. Активна взаємодія з громадськими організаціями пацієнтів, залучення їх до формування політики забезпечення високовартісними МТ.

З метою підвищення ефективності ДКД на високовартісні інноваційні МТ в Україні необхідно удосконалення нормативно-правової бази (запровадження законодавчо визначених механізмів оплати

за результат, створення чітких правил купівлі на виплат, гарантій повернення коштів у разі відсутності клінічного ефекту, визначення релевантних показників / критеріїв та процедур / алгоритму моніторингу ефективності МТ), підвищення прозорості та аналітичного супроводу, підвищення професійної компетентності учасників процесу (проведення навчальних програм для державних замовників і медичних установ щодо особливостей укладання та виконання контрактів за результатами, розроблення методичних рекомендацій щодо оцінки ефективності МТ у реальних умовах лікування). У цьому контексті доречними є адаптація позитивного міжнародного досвіду щодо купівлі на виплат і оплати за результат, а також запровадження пілотних проєктів для окремих високовартісних МТ з оцінкою економічної доцільності та клінічного ефекту.

Висновки та перспективи подальших досліджень

1. Проведено комплексне дослідження стану, проблем і перспектив розвитку ДКД як ефективного інструменту сучасної фармацевтичної політики, який гарантує доступність інноваційних високовартісних МТ для орфанних пацієнтів і водночас сприяє раціональному використанню обмежених ресурсів, а також підвищенню соціальної справедливості в системі ОЗ.

2. Установлено, що реалізація механізму ДКД в Україні стикається з низкою проблем: недостатня прозорість умов укладання угод, відсутність єдиного реєстру пацієнтів, що ускладнює моніторинг лікування, обмежена аналітична база для оцінки клінічних результатів і економічної ефективності, брак фахівців у сфері ОМТ і фармакоекономічного аналізу. Тобто для підвищення ефективності ДКД необхідним є створення національної бази даних клінічних результатів, розширення реєстрів орфанних хворих і посилення інституційної спроможності Національного агентства з ОМТ.

3. Подальший розвиток практики ДКД в Україні передбачає: розширення переліку нозологій, охоплених цим механізмом (онкологічні, імунологічні, неврологічні захворювання); гармонізацію українського законодавства з європейськими підходами до ДКД; запровадження системи моніторингу результатів лікування через реєстри пацієнтів; активну взаємодію з громадськими організаціями пацієнтів для реалізації пацієнт-орієнтованого підходу. Тому доцільно проводити дослідження у цьому напрямі.

Конфлікт інтересів: відсутній.

СПИСОК ВИКОРИСТАНИХ ДЖЕРЕЛ ІНФОРМАЦІЇ

1. Rare diseases: a global health priority for equity and inclusion. *World Health Organization*. URL: https://apps.who.int/gb/ebwha/pdf_files/EB156/B156_CONF2-en.pdf (Date of access: 15.10.2025).
2. World Health Assembly Resolution on Rare Diseases. URL: <https://www.rarediseasesinternational.org/wha-resolution/> (Date of access: 15.10.2025).
3. Про затвердження плану заходів щодо реалізації Концепції розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, на 2021–2026 роки : Розпорядження Кабінету Міністрів України від 11.10.2021 р. № 1235-р. URL: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/1235-2021-%D1%80#Text> (дата звернення: 15.10.2025).
4. Методологія ціноутворення на лікарські засоби в системі охорони здоров'я та фармації : монографія / В. М. Назаркіна та ін. Київ : Фармацевт Практик, 2022. 288 с.

5. Performance-based risk-sharing arrangements (PBRSA): is it a solution to increase bang for the buck for pharmaceutical reimbursement strategy for our nation and around the world? / A. E. Kim et al. *Clinical Drug Investigation*. 2020. Vol. 40(12). P. 1107–1113. DOI: 10.1007/s40261-020-00972-w.
6. Wenzl M., Chapman S. Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: How they work and possible improvements going forward. *OECD Health Working Papers*. 2019. № 115. URL: https://www.oecd.org/content/dam/oecd/en/publications/reports/2019/12/performance-based-managed-entry-agreements-for-new-medicines-in-oecd-countries-and-eu-member-states_29505c44/6e5e4c0f-en.pdf (Date of access: 15.10.2025).
7. Managed Entry Agreements: Policy analysis from the European perspective / M. Dabbous et al. *Value in Health*. 2020. Vol. 23(4). P. 425–433. DOI: 10.1016/j.jval.2019.12.008.
8. Beninger P. Managed entry agreements: tools of necessity, works in progress. *Clinical Therapeutics*. 2025. Vol. 47(2). P. 115–116. URL: [https://www.clinicaltherapeutics.com/article/S0149-2918\(24\)00434-X/fulltext](https://www.clinicaltherapeutics.com/article/S0149-2918(24)00434-X/fulltext) (Date of access: 15.10.2025).
9. A proposal for value-based managed entry agreements in an environment of technological change and economic challenge for publicly funded healthcare systems / E. Xoxi et al. *Frontiers in Medical Technology*. 2022. Vol. 4. DOI: 10.3389/fmedt.2022.888404.
10. Toumi M., Jarosławski S. Managed entry agreements and funding for expensive therapies. 1 ed. CRC Press, 2022. 179 p. DOI: 10.1201/9781003048565.
11. Managed entry agreement (MEA). *PPRI*. URL: <https://ppri.goeg.at/MEA> (Date of access: 15.10.2025).
12. Price and reimbursement for orphan medicines and managed entry agreements: does Italy need a framework? / C. Jommi et al. *Global and Regional Health Technology Assessment*. 2021. Vol. 8(1). P. 114–119. DOI: 10.33393/grhta.2021.2278.
13. Simoens S., De Groote K., Boersma C. Critical reflections on reimbursement and access of advanced therapies. *Frontiers in Pharmacology*. 2022. Vol. 13. P. 771966. DOI: 10.3389/fphar.2022.771966.
14. Чех М. Обмін досвідом: як Польщі вдалося забезпечити пацієнтів інноваційними ліками. І як договори керованого досвіду працюють на практиці. URL: <https://mind.ua/openmind/20227068-obmin-dosvidom-yak-polshchi-vdalosya-zabezpechiti-pacientiv-innovacijnimi-likami> (дата звернення: 15.10.2025).
15. Деякі питання щодо договорів керованого доступу та зупинення дії абзацу першого пункту 1-2 постанови Кабінету Міністрів України від 25 березня 2009 р. № 333 : Постанова Кабінету Міністрів України від 27.01.2021 р. № 61. URL: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/61-2021-%D0%BF#Text> (дата звернення: 15.10.2025).
16. Про внесення змін до деяких законів України щодо розширення доступу пацієнтів до лікарських засобів, що підлягають закупівлі особою, уповноваженою на здійснення закупівель у сфері охорони здоров'я, шляхом укладення договорів керованого доступу : Закон України від 04.06.2025 р. № 4472-IX. URL: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/4472-20#Text> (дата звернення: 15.10.2025).
17. Інформація по ДКД (статус договорів) : офіційний сайт ДП «Медичні закупівлі України». URL: <https://mpu.gov.ua/uk/meas/contract-status> (дата звернення: 15.10.2025).
18. Електронна система закупівель Прозорро. *Prozorro*. URL: <https://prozorro.gov.ua/uk> (дата звернення: 15.10.2025).
19. Висновок уповноваженого органу з державної оцінки медичних технологій: нусінерсен. *Державний експертний центр МОЗ України*. URL: https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2022/02/vysnovok-upovnovazhenogo-organu-z-derzhavnoyi-ocinkyny-medychnyh-tehnologij-nusinersen_.pdf (дата звернення: 15.10.2025).
20. Висновок уповноваженого органу з державної оцінки медичних технологій: рисдиплам. *Державний експертний центр МОЗ України*. URL: <https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2022/02/vysnovok-z-derzhavnoyi-omt-rysdyplam-evrisdi-vid-12.03.2024.pdf> (дата звернення: 15.10.2025).

REFERENCES

1. *Rare diseases: a global health priority for equity and inclusion*. World Health Organization. https://apps.who.int/gb/ebwha/pdf_files/EB156/B156_CONF2-en.pdf
2. *World Health Assembly Resolution on Rare Diseases*. Rare Diseases International. <https://www.rarediseasesinternational.org/wha-resolution/>
3. Rozporiadzhennia Kabinetu Ministriv Ukrainy «Pro zatverdzhennia planu zakhodiv shchodo realizatsii Kontseptsii rozvytku systemy nadання medychnoi dopomohy patsiientam, yaki strazhdaiut na rikisni (orfanni) zakhvoriuvannia, na 2021-2026 roky» № 1235-r. (2021, October 11). <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/1235-2021-%D1%80#Text>
4. Nazarkina, V. M., Nemchenko, A. S., Kosiachenko, K. L., & Babenko, M. M. (2022). *Metodolohiia tsinoutvorennia na likarski zasoby v systemi okhorony zdorovia ta farmatsii*: monohrafiia. Farmatsevt Prakytk.
5. Kim, A. E., Choi, D. H., Chang, J., & Kim, S. H. (2020). Performance-based risk-sharing arrangements (PBRSA): is it a solution to increase bang for the buck for pharmaceutical reimbursement strategy for our nation and around the world? *Clinical Drug Investigation*, 40(12), 1107–1113. <https://doi.org/10.1007/s40261-020-00972-w>
6. Wenzl, M., & Chapman, S. (2019). Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: How they work and possible improvements going forward. *OECD Health Working Papers*, (115). https://www.oecd.org/content/dam/oecd/en/publications/reports/2019/12/performance-based-managed-entry-agreements-for-new-medicines-in-oecd-countries-and-eu-member-states_29505c44/6e5e4c0f-en.pdf
7. Dabbous, M., Chachoua, L., Caban, A., & Toumi, M. (2020). Managed Entry Agreements: Policy analysis from the European perspective. *Value in Health*, 23(4), 425–433. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2019.12.008>
8. Beninger, P. (2025). Managed entry agreements: tools of necessity, works in progress. *Clinical Therapeutics*, 47(2), 115–116. [https://www.clinicaltherapeutics.com/article/S0149-2918\(24\)00434-X/fulltext](https://www.clinicaltherapeutics.com/article/S0149-2918(24)00434-X/fulltext)
9. Xoxi, E., Rumi, F., Kanavos, P., Dauben, H.-P., Gutierrez-Ibarluzea, I., Wong, O., Rasi, G., & Cicchetti, A. (2022). A proposal for value-based managed entry agreements in an environment of technological change and economic challenge for publicly funded healthcare systems. *Frontiers in Medical Technology*, 4. <https://doi.org/10.3389/fmedt.2022.888404>

10. Toumi, M., & Jarosławski, S. (2022). *Managed entry agreements and funding for expensive therapies* (1 ed.). CRC Press. <https://doi.org/10.1201/9781003048565>
11. *Managed entry agreement (MEA)*. (n.d.). PPRI. <https://ppri.goeg.at/MEA>
12. Jommi, C., Addis, A., Martini, N., Nicod, E., Pani, M., Scopinaro, A., & Vogler, S. (2021). Price and reimbursement for orphan medicines and managed entry agreements: does Italy need a framework? *Global and Regional Health Technology Assessment*, 8(1), 114–119. <https://doi.org/10.33393/grhta.2021.2278>
13. Simoens, S., De Groote, K., & Boersma, C. (2022). Critical reflections on reimbursement and access of advanced therapies. *Frontiers in Pharmacology*, 13, 771966. <https://doi.org/10.3389/fphar.2022.771966>
14. Chekh, M. (2021, Cherven 9). *Obmin dosvidom: yak Polshchi vdalosia zabezpechity patsientiv innovatsiinymy likamy. I yak dohovory kerovanoho dosvidu pratsiuiut na praktytsi*. <https://mind.ua/openmind/20227068-obmin-dosvidom-yak-polshchi-vdalosya-zabezpechiti-pacientiv-innovacijnimi-likami>
15. Postanova Kabinetu Ministriv Ukrainy «Deiaki pytannia shchodo dohovoriv kerovanoho dostupu ta zupynennia dii abzatsu pershoho punktu 1-2 Postanovy Kabinetu Ministriv Ukrainy vid 25 bereznia 2009 r. № 333» № 61 (2021, Sichn 27). <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/61-2021-%D0%BF#Text>
16. Zakon Ukrainy «Pro vnesennia zmin do deiakykh zakoniv Ukrainy shchodo rozshyrennia dostupu patsientiv do likarskykh zasobiv, shcho pidliahaiut zakupivli osoboiu, upovnovazhenoiu na zdiisnennia zakupivel u sferi okhorony zdorovia, shliakhom ukladennia dohovoriv kerovanoho dostupu» № 4472-IX (2025, Cherven 4). <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/4472-20#Text>
17. *Informatsiia po DKD (status dohovoriv)*. Ofitsiinyi sait DP «Medychni zakupivli Ukrainy». <https://mpu.gov.ua/uk/meas/contract-status>
18. *Elektronna systema zakupivel Prozorro*. (n. d.). Prozorro. <https://prozorro.gov.ua/uk>
19. *Vysnovok upovnovazhenoho orhanu z derzhavnoi otsinky medychnykh tekhnolohii: nusinersen*. Derzhavnyi ekspertnyi tsentr MOZ Ukrainy. https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2022/02/vysnovok-upovnovazhenogo-organu-z-derzhavnoyi-ocinky-medychnykh-tehnologij-nusinersen_.pdf
20. *Vysnovok upovnovazhenoho orhanu z derzhavnoi otsinky medychnykh tekhnolohii: rysdyplam*. (2024). Derzhavnyi ekspertnyi tsentr MOZ Ukrainy. <https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2022/02/vysnovok-z-derzhavnoyi-omt-rysdyplam-evrisdi-vid-12.03.2024.pdf>

Відомості про авторів:

V. M. Nazarkina, доктор фармацевтичних наук, професор, Національний фармацевтичний університет Міністерства охорони здоров'я України. E-mail: victory.nazarkina@gmail.com. ORCID: <https://orcid.org/0000-0002-0767-6180>

V. V. Tutuk, кандидат фармацевтичних наук, голова ГО «Українське об'єднання хворих на фенілкетонурию «Особливі діти», член робочої групи МОЗ України з питань рідкісних (орфанних) захворювань. E-mail: tvv1@ukr.net. ORCID: <https://orcid.org/0000-0003-4661-4908>

N. A. Slipsova, кандидат фармацевтичних наук, доцент, Донецький національний медичний університет Міністерства охорони здоров'я України. E-mail: apteka111888111@gmail.com. ORCID: <https://orcid.org/0000-0002-4041-5396>

Information about the authors:

V. M. Nazarkina, Doctor of Pharmacy (Dr. habil.), Professor of the National University of Pharmacy of the Ministry of Health of Ukraine. E-mail: victory.nazarkina@gmail.com. ORCID: <https://orcid.org/0000-0002-0767-6180>

V. V. Tutuk, Candidate of Pharmacy (Ph.D.), Head of the Ukrainian Association of Patients with Phenylketonuria "Special Children", member of the working group of the Ministry of Health of Ukraine on rare (orphan) diseases. E-mail: tvv1@ukr.net. ORCID: <https://orcid.org/0000-0003-4661-4908>

N. A. Slipsova, Candidate of Pharmacy (Ph.D.), Associate Professor of the Donetsk National Medical University of the Ministry of Health of Ukraine. E-mail: apteka111888111@gmail.com. ORCID: <https://orcid.org/0000-0002-4041-5396>

Надійшла до редакції 09.10.2025 р.