

# ОРГАНІЗАЦІЯ ОХОРОНИ ЗДОРОВ'Я

УДК 616-035: 615.272.6

<https://doi.org/10.24959/sphhcj.23.278>

В. В. Тутук, В. М. НАЗАРКІНА

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

## АНАЛІЗ ДОСТУПНОСТІ МЕДИЧНИХ ТЕХНОЛОГІЙ ЛІКУВАННЯ ФЕНІЛКЕТОНУРІЇ В УКРАЇНІ ТА СВІТІ

Фенілкетонурія (ФКУ) належить до рідкісних (орфанних) захворювань, характеризується важким хронічним прогресивним перебігом. Якість життя пацієнтів залежить від вчасного виявлення (скринінгу) і належного лікування – вживання продуктів спеціального медичного харчування, а отже, їх фізичної та цінової доступності.

**Мета дослідження** – здійснити аналіз доступних медичних технологій лікування ФКУ в Україні та світі.

**Матеріали та методи.** Об'єкти дослідження: наукові публікації, керівні настанови, статистичні дані, маркетингова інформація. Методи: аналіз, порівняння, узагальнення, системний аналіз.

**Результати дослідження.** Керівними настановами і протоколами лікування пацієнтів з ФКУ/ГФА як ключову складову визначено дієту з урахуванням віку та особливостей перебігу хвороби. Аналіз забезпечення пацієнтів з ФКУ продуктами спеціального медичного харчування у різних країнах свідчить про суттєві відмінності в підходах до їх призначення та відшкодування вартості. Кількість, доступність, асортимент і склад цих продуктів значно варіюють. У Великій Британії такі продукти внесли до національного формуляра, видають за рецептами й застосовують із цим механізми реімбурсації. В Україні забезпечення хворих з ФКУ продуктами спеціального медичного споживання здійснюють місцеві органи влади шляхом закупівлі через електронну систему ProZorro відповідно до розрахованої потреби. Вітчизняний ринок пропонує для хворих на ФКУ/ГФА широкий асортимент спеціалізованих продуктів переважно імпортного виробництва, які мають високу вартість, а отже, низьку доступність для населення.

**Висновки.** Підвищенню ефективності лікування, якості й тривалості життя хворих сприятимуть впровадження референтних центрів і розширеного неонатального скринінгу, укладання реєстру таких хворих, розвиток вітчизняного виробництва продуктів для ФКУ/ГФА та створення ефективних механізмів закупівель і реімбурсації.

**Ключові слова:** фенілкетонурія (ФКУ); рідкісні (орфанні) захворювання; спеціальне лікувальне харчування; гіперфенілаланіємія (ГФА); медичні технології (МТ); доступність.

V. V. TUTUK, V. M. NAZARKINA

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

### ANALYSIS OF THE AVAILABILITY OF HEALTH TECHNOLOGIES FOR THE TREATMENT OF PHENYLKETONURIA IN UKRAINE AND THE WORLD

Phenylketonuria (PKU) is a rare (orphan) disease characterized by a severe, chronic, progressive course. The quality of life of patients depends on timely detection (screening) and proper treatment – the use of special therapeutic nutrition products, and therefore, their availability and affordability.

**Aim.** To analyze the available health technologies for the treatment of PKU in Ukraine and the world.

**Materials and methods.** The study objects were scientific publications, guidelines, statistical data, marketing information. As research methods analysis, comparison, generalization, system analysis were used.

**Results.** A diet is defined as a key component by guidelines and protocols for the treatment of patients with phenylketonuria/hyperphenylalaninemia (PKU/HFA), taking into account the age and characteristics of the course of the disease. The analysis of providing patients with PKU with special therapeutic nutrition products in different countries shows significant differences in the approaches to their prescription and reimbursement. The quantity, availability, range and composition of these products vary significantly. In the UK, they are included in the National Formulary, are available as prescription drugs and are subject to reimbursement. In Ukraine, local authorities provide PKU patients with special therapeutic nutrition products by purchasing them through the ProZorro electronic system in accordance with the calculated need. The domestic market offers a wide range of specialized products for patients with PKU/HFA, mainly imported production, which have a high cost and, accordingly, low availability for the population.

**Conclusions.** The introduction of reference centers and extended neonatal screening, the creation of a register of such patients, the development of domestic production of products for PKU/HPA, and the creation of effective procurement and reimbursement mechanisms will contribute to improving the effectiveness of treatment, the quality and life expectancy of patients.

**Key words:** phenylketonuria (PKU); rare (orphan) diseases; special therapeutic nutrition; hyperphenylalaninemia (HPA); medical technologies (MT), accessibility.

**Вступ.** Фенілкетонурія (ФКУ) належить до спадкових порушень амінокислотного обміну, що пов'язане зі зменшенням розщеплення фенілаланіну (Phe) до тирозину. Високі концентрації Phe у крові токсичні для мозку, можуть спричинити незворотні наслідки і призвести до тривалої непрацездатності й порушення когнітивних функцій (особливо у дітей віком до 13 років) [1, 2]. Частота цієї патології в Україні становить приблизно 1:7000, у Великій Британії – 1:10000 [3]. Отже, ФКУ належить до орфанних захворювань – рідкісних вроджених або набутих нозологій, які характеризуються хронічним перебігом патологічного процесу з тенденцією до прогресування, дистрофічних змін в органах і ранньої інвалідації дитини. Наразі в Україні, за даними статистики, діагноз ФКУ виявлено у близько 1000 дітей до 18 років і понад 500 дорослих. У Великій Британії, за даними Національної служби охорони здоров'я (NHS), близько 2000 осіб із ФКУ [2, 3].

З метою подовження тривалості та покращення якості життя пацієнтів із рідкісними захворюваннями, зокрема й таких, що страждають на ФКУ, в Україні 2021 року було затверджено Концепцію розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання [4]. Складнощі у задоволенні потреб таких пацієнтів у необхідних лікарських засобах (ЛЗ) і продуктах для спеціального лікувального харчування зумовлено високою вартістю відповідних медичних технологій (МТ) або їх відсутністю на ринку країни (або навіть у світі) на тлі дефіциту бюджетних коштів. Отже, особливої актуальності набуває проблема забезпечення належного (безперервного) лікування таких хворих, що своєю чергою залежить від доступності необхідних МТ.

**Мета дослідження** – дослідити сучасні медичні технології лікування фенілкетонурії та оцінити їхню доступність для пацієнтів з ФКУ.

**Матеріали та методи.** Методи: системний аналіз, аналіз документів, порівняння, узагальнення, маркетинговий аналіз, математико-статистичні методи. У дослідженні використано широкий спектр об'єктів: наукові публікації, керівні настанови, статистичні дані, епідеміологічні показники, маркетингова інформація, дані електронної системи закупівель Prozorro.

**Результати та їх обговорення.** За статистичними даними системи МОЗ України, станом на 19.04.2022 р. контингент дітей з ФКУ віком до 16 років становив 825 осіб, з них 77 – до трьох років. У звітному році вперше діагностовано цю хворобу 29 пацієнтам дитячого віку [5]. На жаль, наразі відсутній реєстр пацієнтів з рідкісними (орфанними) захворюваннями. Аналіз поширеності ФКУ свідчить, що найбільше пацієнтів дитячого віку перебувають на обліку у м. Києві (83), у Харківській (78), Дніпропетровській (71), Житомирській (52) та Одеській (45) областях [5].

Відповідно до керівних настанов і протоколів лікування пацієнтів з фенілкетонурією (шифр 5C50.0 за Міжнародною статистичною класифікацією хвороб і проблем, пов'язаних зі здоров'ям (МКХ-11), код ОРРНА:716) метою лікування є метаболічний контроль цільового рівня Phe у крові для запобігання розвитку симптомів ураження ЦНС та інших наслідків [6-9].

Розрізняють три види порушень амінокислотного обміну, які мають різну тяжкість перебігу і, відповідно, різні підходи до корекції стану пацієнтів (рис.).

Основою лікування ФКУ є індивідуальний підхід з урахуванням віку пацієнта, залишкової активності ферменту ФАГ, чутливості до сапроптерину, толерантності до Phe та особливостей метаболічного контролю. Відповідно до міжнародних керівництв і протоколів до основних методів лікування ФКУ відносять дієтотерапію з обмеженням споживання Phe. У разі помірної/м'якої форми ФКУ за умов чутливості до сапроптерину

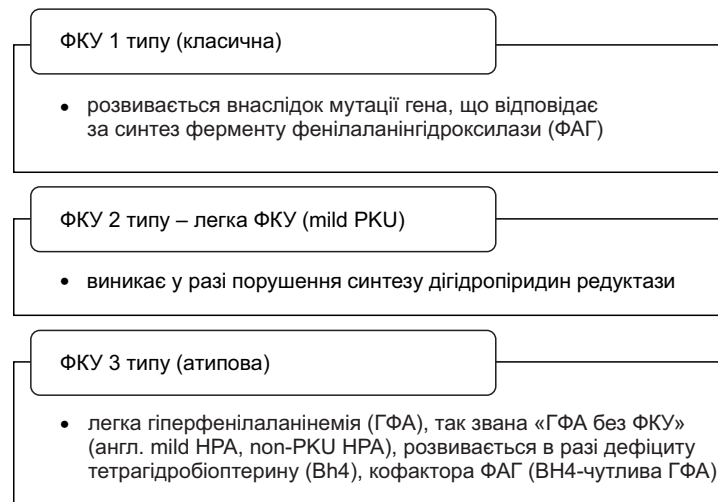


Рис. Види фенілкетонурії за ступенем тяжкості перебігу [6, 7]

може бути застосований комбінований метод. Можливе призначення продуктів, що містять великі нейтральні амінокислоти. Також активно розробляють інноваційні МТ замісної ензимотерапії (аналоги ферментів) і генної інженерії («виправлення» гена, що відповідає за синтез ФАГ) [10-13]. Управлінням з контролю за харчовими продуктами та ЛЗ (FDA) та Європейською агенцією ЛЗ (EMA) було схвалено два нові ЛЗ для зниження рівня Phe у крові: Palynziq™ (pegvaliase) у формі ін'єкцій та Kuvan® (sapropterin dihydrochloride) у вигляді таблеток і порошку для приготування орального розчину [14].

Лікування хворих на ФКУ безперервне, полягає в дотриманні суворої дієти з моменту виявлення діагнозу. Повне видалення Phe з раціону, компенсація амінокислотного дефіциту за допомогою спеціальних продуктів з низьким вмістом протеїну (Special low protein foods for phenylketonuria – SLPF) дозволяє підтримувати нормальний обмін речовин і запобігти розвитку ускладнень. Несвоєчасний початок лікування і нерегулярне вживання спеціального харчування призводять до інвалідизації дитини з неможливістю її наступної медико-соціальної реабілітації. Наразі труднощі у забезпеченні дітей, хворих на ФКУ, продуктами лікувального харчування, зумовлені насамперед їх високою вартістю.

Аналіз ринку SLPF у восьми країнах Європи (Португалія, Іспанія, Бельгія, Італія,

Німеччина, Нідерланди, Велика Британія, Данія) та Туреччині свідчить, що кількість доступних продуктів у кожній країні значно варіює – від 73 (Португалія) до 256 (Італія) [15]. Вони можуть бути у вигляді пластівців, хліба, сухих сніданків, тістечок/сумішей для тістечок/млинців, шоколаду/батончиків/желе, печива, борошна, морозива, замінників молока, макаронів, рису і солоних страв. За результатами аналізу складу продуктів визначено, що пересічний вміст Phe був вищий у дитячих кашах (пересічно 48 мг/100 г) і шоколаді/батончиках (пересічно 41 мг/100 г). Енергетичний вміст печива коливався в широких межах від 23 до 96 ккал. Хліб з низьким вмістом білка мав високий вміст жиру (3,7-10 г/100 г) проти 1,6 г/100 г у звичайному хлібі [15]. Отже, існує потреба в більш конкретних стандартах харчування для SLPF. Пізнаманітний харчовий склад вимагає ретельного знання поживної цінності всіх продуктів, коли їх призначають окремим пацієнтам з ФКУ.

Вартість SLPF для пацієнтів у Великій Британії відшкодовує Національна служба охорони здоров'я (NHS), бо ці продукти вважають «прикордонними речовинами», тобто це харчові чи дерматологічні продукти, спеціально розроблені для лікування захворювань. У Великій Британії використовують близько 150 SLPF, схвалених Консультативним комітетом Сполученого Королівства з прикордонних субстанцій (UK Advisory Committee on Borderline Substances (ACBS)), який враховує клінічну необхідність продукту,



його ефективність і вартість. Більшість з цих продуктів внесено до Британського національного формуляра (BNF), вони доступні за рецептом [16].

Лікарі загальної практики щомісяця виписують рецепти на запит пацієнта на SLPF, які потім видають через аптеки або спеціалізовані компанії з доставою додому. Керівництвом Національного товариства з фенілкетонурії (NSPKU) визначено максимальну кількість одиниць SLPF на місяць (наприклад, 1 од. = 1 пачка макаронних виробів до 500 г) для призначення цих продуктів і забезпечення контролю витрат. Як свідчать результати дослідження частоти призначень SLPF протягом року, більше половини спеціальних продуктів (54,6 % у натуральних показниках, що відповідає 35,6 % загальних річних витрат) складають основні продукти харчування (хліб, борошно/суміші/макаронні вироби/рис).

В Англії рецепти NHS є безоплатними для пацієнтів із ФКУ віком до 16 років, а також 16-18 років за денного навчання; старше 60 років; вагітних; які отримують допомогу від держави. Інші категорії пацієнтів мають сплачувати визначену суму за кожну одиницю (1,29 фунтів стерлінгів) або можуть придбати тримісячний чи річний сертифікат передоплати за рецептом, що покриває всі їхні рецепти. Тим не менш, існує багато проблем із доступом до SLPF, пов'язаних із системою призначень: відмова лікарів у виданні рецептів; призначення меншої кількості, відмова прописувати певний набір продуктів тощо [16]. Це, безперечно, впливає на статус харчування та, зрештою, на метаболічний контроль.

Нааявність, доступність і вартість SLPF змінюються залежно від країни. Порівняння обмежене через різниці в курсах валют, вік пацієнтів, національні рекомендації щодо цільового рівня Phe та особливості дієтотерапії тощо. Середньорічні витрати на SLPF на одного пацієнта коливаються у широких межах: у Китаї – 573 дол. США; у Сполучених Штатах – 1 615 дол. США для дітей віком 0-17 років і 967 дол. США для дорослих; у Нідерландах – 680 євро, у Чехії – 1 560 євро. Деякі країни не відшкодовують витрати на SLPF, але можуть фінансувати за рахунок страхового покриття. Щорічні витрати

Національної служби охорони здоров'я Англії на призначення SLPF складають 962 фунти стерлінгів на пацієнта з ФКУ [16]. За деякими оцінками, вартість спеціального лікувального харчування в розрахунку на одного пацієнта на рік становить близько 4 000 фунтів стерлінгів [13].

В Україні згідно з п.5 ст.3 Закону України «Про державні фінансові гарантії медичного обслуговування населення» та відповідно до ПКМУ від 31.03.2015 р. № 160 «Про затвердження Порядку забезпечення громадян, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, лікарськими засобами та відповідними харчовими продуктами для спеціального дієтичного споживання» закупівлю SLPF покладено на місцеві бюджети [17].

Програми забезпечення лікувальним харчуванням тяжкохворих і дітей віком від 3 до 18 років, хворих на ФКУ, місцеві органи влади розробляють на підставі ПКМУ від 17.08.1998 р. № 1303 «Про впорядкування безоплатного та пільгового відпуску лікарських засобів за рецептами лікарів у разі амбулаторного лікування окремих груп населення та за певними категоріями захворювань» [18], наказу МОЗ України від 13.11.2001 р. № 457 «Про заходи щодо удосконалення медичної допомоги хворим на фенілкетонурію в Україні» (зі змінами) [19], нормативів надання медико-генетичної допомоги, затверджених наказом МОЗ та АМН України від 31.12.2003 р. № 641/84 [20].

Для планування та розрахування потреби в продуктах спеціального харчування для лікування хворих на ФКУ використовують Методичні рекомендації (наказ МОЗ України від 17.12.2019 р. № 2498). Формування потреби в лікувальному харчуванні відбувається з урахуванням кількості дітей, хворих на ФКУ, зокрема: дітей, хворих на ФКУ віком до 1-го року та старше; середньорічної кількості дітей із ФКУ, що вперше виявлені/будуть виявлені в ході масового неонатального скринінгу протягом року; середньорічної кількості дорослих і вагітних з ФКУ [21].

Наказом МОЗ України від 03.09.2017 р. № 1073 затверджено норми фізіологічних потреб населення та визначено середньорічну потребу в спеціальному білку лікувального

харчування для пацієнтів з ФКУ залежно від віку. Так, дітям до 1 року максимальну річну потребу в білку визначено на рівні 5500 г, від 1 до 3 років – 14 500, 4-6 років – 17 500, від 7 до 10 років включно – 19 500, для дітей старшого віку і дорослих (зокрема вагітних) – 26 500 г [22].

Спеціалізовані продукти лікувального харчування призначають пацієнтам з ФКУ індивідуалізовано, залежно від клінічного перебігу захворювання та індивідуальної переносності продукту. Основними критеріями добору спеціальних продуктів лікувального харчування є оптимальний для певної вікової групи вміст білка в одиниці продукту, збалансована кількість нутрієнтів (амінокислоти, вуглеводи, жири, вітаміни, мікроелементи) та найменша вартість забезпечення хворого 1,0 г білка за закупівлі цього продукту (умовна вартість 1,0 г білка продукту).

Розраховують потребу на основі даних структурних підрозділів з питань ОЗ обласних, міських держадміністрацій щодо кількості пацієнтів, у розрізі адміністративно-територіальних одиниць із зазначенням дати народження пацієнта, маси тіла, рівня Phe, інформації про закріпленого лікаря, про рішення комісії. Зазначають назви конкретних продуктів та річну потребу в грамах білка й одиницях відповідного продукту.

Законом про дерегуляцію господарської діяльності було внесено суттєві зміни до процесу регулювання обігу таких продуктів (скасовано процедуру реєстрації і санітарно-епідеміологічної експертизи та отримання відповідних дозвільних документів). Відповідно до чинного законодавства (Законів України «Про основні принципи та вимоги до безпечності та якості харчових продуктів», «Про інформацію для споживачів щодо харчових продуктів»), а також наказу Мінагрополітики України № 244 від 25.04.2022 р. дитяче харчування, харчові продукти для спеціальних медичних цілей або харчові продукти для контролю ваги мають бути предметом повідомлення про намір введення в обіг, якщо такий харчовий продукт не був в обігу на ринку України.

Аналіз свідчить, що наразі в Переліку повідомлень про намір введення в обіг, затвердженому наказом Держпродспоживслужби

№ 244 від 26.07.2022 р., офіційно розміщено лише 9 повідомлень щодо харчових продуктів для спеціальних медичних цілей, а саме:

- PKU Nutri 2 Energy (для дітей від 1 року та старше);
- PKU Anamix Junior (для дітей від 1 року);
- Comida-PKU A (для дітей до 1 року, хворих на ФКУ/ГФА);
- PKU Cooler White 20 (для дітей віком від 3 років і дорослих, хворих на ФКУ);
- Comida-PKU A Formula + LCP (з довголанцюговими поліненасиченими жирними кислотами) для дітей до 1 року, хворих на ФКУ/ГФА;
- Comida-PKU B (для дітей від 1 року і дорослих, хворих на ФКУ/ГФА);
- Comida-PKU B Formula (для дітей від 1 року і дорослих з ФКУ/ГФА);
- Comida-PKU B Pina Colada (для дітей від 3 років, хворих на ФКУ/ГФА);
- Comida-PKU C (для дітей від 15 років, дорослих з ФКУ/ГФА, вагітних жінок).

Нами було проаналізовано дані закупівель спеціалізованих продуктів лікувального харчування для хворих на ФКУ/ГФА та закупівельних цін на ці продукти (відповідно до електронної системи закупівель Prozorro за договорами закупівель 2023 р.) (табл.).

Як свідчить аналіз ринку продуктів спеціального медичного харчування та даних публічного модуля аналітики електронної системи Prozorro, на вітчизняному ринку представлено достатньо широкий асортимент спеціалізованих продуктів лікувального харчування для хворих на ФКУ/ГФА переважно імпортного виробництва (Велика Британія, Німеччина, Іспанія, Італія). Найбільша частка ринку (62 %) належить бренду Nutricia (SHS International, Велика Британія), друге місце посідає Comida (Vitaflor, Велика Британія) – 24 %. Як правило, закупівлям за кошти місцевих бюджетів підлягають спеціальні порошкові суміші, призначені для пацієнтів різного віку. Вартість пакування варіює від 1 до 7 тис. грн. З огляду на складні соціально-економічні умови, пов'язані з військовими діями, показники мінімальної та середньої заробітної плати у 2023 р., які становлять 6700 грн та 18 261 грн відповідно, можна говорити про низьку

Таблиця

**АНАЛІЗ РИНКУ СПЕЦІАЛІЗОВАНИХ ПРОДУКТІВ ЛІКУВАЛЬНОГО ХАРЧУВАННЯ  
ДЛЯ ХВОРИХ НА ФКУ/ГФА**

Назва продукту	Виробник, країна	Форма випуску	Призначення	Ціна закупівлі, грн*
Afenil Express Neutral	PIAM Farmaceutici, Італія	пачка 750 г	для дітей 3-18 років і дорослих	4 539,60
Afenil Gel		гель, порошок	від 6-ти місяців	5 229,84
PKU Nutri 1 Concentrated	SHS International Ltd, Велика Британія	порошк. суміш у банці, 500 г	для дітей до 1 року	2 352,00
PKU Anamix Infant		порошк. суміш у банці, 400 г	для дітей до 1 року, до 3 років як саплемент	1 256,00
PKU Nutri 2 Energy		порошк. суміш у банці, 454 г	для дітей віком 1-8 років і дорослих	1 794,00-2 358,96
PKU Nutri 1 Energy		порошк. суміш у банці, 400 г	для дітей до 1 року, до 3 років як саплемент	947,90
PKU Nutri 3 Concentrated		порошк. суміш у банці, 500 г	для дітей від 8 років	4 090,00-5 380,11
PKU Nutri 3 Energy		порошк. суміш у банці, 454 г	для дітей від 9 років і для дорослих, вагітних	2 348,00-3 088,74
PKU Nutri 2 Concentrated		порошк. суміш у банці, 500 г	для дітей віком 1-8 років і дорослих	3 573,00-4 699,36
MD-Mil PKU 3	Hero Espana, Іспанія	порошк. суміш у банці, 400 г	вік старше 8 років	2 790,64-3 180,00
Comida PKU B Pino Colada	Vitaflo (International) Ltd, Велика Британія	порошк. суміш у банці, 500 г	для дітей віком 3-14 років	3 843,00
Comida PKU B formula		порошк. суміш у банці, 500 г	для дітей віком 1-14 років	2 808,00
Comida PKU C Formula		порошк. суміш у банці, 500 г	для дітей від 15 років	2 664,00
Comida PKU B		порошк. суміш у банці, 500 г	для дітей віком 1-14 років	3 840,00-4 500,00
Comida PKU C		порошк. суміш у банці, 500 г	для дітей від 15 років, дорослих з ФКУ і ГФА, вагітних	3 699,36-4 608,00
PreKUnil	PreKUnilab, Німеччина	табл. 750 мг №550	для дітей від 7-8 років	29 590,00
НеоФе		табл. 685 мг №550	для дітей від 7-8 років	27 500,00
XPhe Smart A ІксФе Смарт А	metaX, Німеччина	порошк. суміш у банці, 500г	для дітей від 15 років	6 956,00

Примітка: \* за даними електронної системи закупівель Prozorro

доступність зазначених продуктів для населення.

Так, показник адекватності платоспроможності Ca.s. (співвідношення середньої роздрібною ціни ЛЗ і середньої заробітної плати) для цих продуктів становить від 5,19 до 38,1 %.

**Висновки.** На сучасному етапі відбувається реформування системи організації

надання медичної допомоги пацієнтам з орфанними захворюваннями відповідно до ухваленної концепції та рекомендацій ЄС. Тобто можна говорити про підвищення доступності сучасних медичних технологій діагностики й лікування ФКУ (впроваджено референс-центри, неонатальний скринінг), що дозволить своєчасно виявляти захворювання і тим самим впливати на якість і результати



лікування (дієтотерапії з обмеженням споживання ФА). Лікування ФКУ потребує висококалорійного спеціального харчування, яке пацієнти не мають можливості придбати самостійно. Відповідно до чинного законодавства держава забезпечує харчуванням дітей з ФКУ до 18 років (до 3-х – за рахунок коштів державного бюджету, до 18 років – за рахунок місцевих програм).

Для прийняття обґрунтованих рішень щодо питань забезпечення пацієнтів медичними технологіями керівними настановами Міжнародного товариства фармако-економічних досліджень ISPOR рекомендовано

використовувати мультикритеріальний аналіз прийняття рішень (MCDA), який дозволяє враховувати цілу низку критеріїв (показники захворюваності та смертності, потреби в ЛЗ, МВ і медичних послугах; клінічну ефективність і безпеку, соціально-економічні наслідки; економічну доцільність, вплив на бюджет) та оцінювати відповідно до їх значень і важливості. Такий аналіз дає змогу окреслити стратегію лікування та визначити рівень фінансового впливу в умовах обмеженого бюджету, який не повинен перекладатися на пацієнта.

**Конфлікт інтересів:** відсутній.

### Перелік використаних джерел інформації

1. Адаптована клінічна настанова, заснована на доказах. Фенілкетонурія та інші гіперфенілаланіемії. ДЕЦ МОЗ України, 2015. URL: <http://www.dec.gov.ua/>.
2. Тутук В. В., Назаркіна В. М. Сучасні медичні технології діагностики й лікування фенілкетонурії: доступність для пацієнтів. *Формування Національної лікарської політики за умов впровадження медичного страхування: питання освіти, теорії та практики*: матер. VI Всеукр. наук.-практ. конф., м. Харків, 14-15 березня 2023 р. Харків : НФаУ, 2023. С. 183-194.
3. Special Low Protein Foods Prescribed in England for PKU Patients: An Analysis of Prescribing Patterns and Cost / G. Wood et al. *Nutrients*. 2021. Vol. 13, No. 11. P. 3977. DOI: <https://doi.org/10.3390/nu13113977>.
4. 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>.
5. Статистичні дані системи МОЗ. Центр громадського здоров'я МОЗ України. URL: <http://medstat.gov.ua/ukr/statdanMMXIX.html>.
6. Уніфікований клінічний протокол первинної, вторинної (спеціалізованої) та третинної (високоспеціалізованої) медичної допомоги. Фенілкетонурія та інші гіперфенілаланіемії : Наказ МОЗ України 19.11.2015 р. № 760. URL: [https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2019/11/2015\\_760\\_ukpmd\\_fenilk.pdf](https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2019/11/2015_760_ukpmd_fenilk.pdf).
7. Phenylalanine hydroxylase deficiency: diagnosis and management guideline / J. Vockley et al. *Genetics in Medicine*. 2014. Vol. 16, No. 2. P. 188-200. DOI: <https://doi.org/10.1038/gim.2013.157>.
8. The complete European guidelines on phenylketonuria: diagnosis and treatment / A. M. J. Wegberg et al. *Orphanet Journal of Rare Diseases*. 2017. Vol. 12, No. 1. P. 162. DOI: 10.1186/s13023-017-0685-2.
9. Ney D. M., Blank R. D., Hansen K. E. Advances in the nutritional and pharmacological management of phenylketonuria. *Current Opinion in Clinical Nutrition & Metabolic Care*. 2014. Vol. 17, No. 1. P. 61-68.
10. Dietetic Management of Adults with Phenylketonuria (PKU) in the UK: A Care Consensus Document / L. Robertson et al. *Nutrients*. 2022, Vol. 14, No. 3. P. 576. DOI: <https://doi.org/10.3390/nu14030576>.
11. La phénylcétonurie – De la diététique à la thérapie génique. [Phenylketonuria, from diet to gene therapy] [in French] / A. Wiedemann et al. *Medical Sciences (Paris)*. 2020. Vol. 36, No. 8-9. P. 725-734. DOI: 10.1051/medsci/2020127.
12. PKU Golike: the evolution in PKU nutritional management. URL: <https://metahealthcare.co.uk/product-page/>.
13. Al Hafid N., Christodoulou J. Phenylketonuria: a review of current and future treatments. *Translational Pediatrics*. 2015. Vol. 4. No. 4. P. 304-317. doi: 10.3978/j.issn.2224-4336.2015.10.07.
14. Pharmacy/medical policy 5.01.585 Pharmacologic Treatment of Phenylketonuria. URL: <https://www.premera.com/hmo/medicalpolicies/5.01.585.pdf>.
15. Special low protein foods for phenylketonuria: Availability in Europe and in examination of their nutritional profile / M. J. Pena et al. *Orphanet Journal of Rare Diseases*. 2015. Vol. 10. P. 162. DOI: 10.1186/s13023-015-0378-7.
16. Wood G., Pinto A., Evans S. Special Low Protein Foods Prescribed in England for PKU Patients: An Analysis of Prescribing Patterns and Cost. *Nutrients*. 2021. Vol. 13, No. 11. P. 3977. DOI: <https://doi.org/10.3390/nu13113977>.

17. Про затвердження Порядку забезпечення громадян, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, лікарськими засобами та відповідними харчовими продуктами для спеціального дієтичного споживання : Постанова КМУ від 31.03.2015 р. № 160. Ред. від 26.09.2020 р. URL: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/160-2015-%D0%BF#Text>.
18. Про впорядкування безоплатного та пільгового відпуску лікарських засобів за рецептами лікарів у разі амбулаторного лікування окремих груп населення та за певними категоріями захворювань: Постанова КМУ від 17.08.1998 р. №1303 (зі змінами). Ред. від 26.09.2020 р. URL: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/1303-98-%D0%BF#Text>.
19. Про заходи щодо удосконалення медичної допомоги хворим на фенілкетонурію в Україні : Наказ МОЗ України від 13.11.2001 р. № 457 (зі змінами). URL: <https://zakon.rada.gov.ua/rada/show/v0457282-01#Text>.
20. Про удосконалення медико-генетичної допомоги в Україні : Наказ МОЗ та АМН України від 31.12.2003 р. № 641/84. URL: <https://zakon.rada.gov.ua/rada/show/va641282-03#Text>.
21. Про затвердження методичних рекомендацій з планування та розрахунку потреби в лікарських засобах, продуктах спеціального харчування та виробках медичного призначення, що закуповуються за рахунок коштів державного та місцевого бюджетів : Наказ МОЗ України від 17.12.2019 р. № 2498. URL: <https://zakon.rada.gov.ua/rada/show/v2498282-19#Text>.
22. Про затвердження Норм фізіологічних потреб населення України в основних харчових речовинах і енергії : Наказ МОЗ України від 03.09.2017 р. № 1073. URL: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/z1206-17#Text>.
23. Перелік повідомлень про намір введення в обіг дитячого харчування, харчових продуктів для спеціальних медичних цілей та харчових продуктів для контролю ваги. URL: [https://dpssukraine-my.sharepoint.com/:x/g/personal/n\\_hyrfanova\\_dpss\\_gov\\_ua/EdCSUfw6wjFDvnXXwP9VkmYB8PFXLBWZ0kzAKFsAgKHINw?rttime=WQCpjlR20g](https://dpssukraine-my.sharepoint.com/:x/g/personal/n_hyrfanova_dpss_gov_ua/EdCSUfw6wjFDvnXXwP9VkmYB8PFXLBWZ0kzAKFsAgKHINw?rttime=WQCpjlR20g).

## References

1. DETs MOZ Ukrainy. (2015). Adaptovana klinichna nastanova, zasnovana na dokazakh. Fenilketonuriia ta inshi hiperfenilalaninemii. Available at: <http://www.dec.gov.ua/>
2. Tutuk, V. V., Nazarkina, V. M. (2023). Proceeding from Formuvannia Natsionalnoi likarskoi polityky za umov vprovadzhennia medychnoho strakhuvannia: pytannia osvity, teorii ta praktyky: *mater. VI Vseukr. nauk.-prakt. konf. (14-15 bereznia 2023 r.)*. (pp. 183-194). Kharkiv: NFAU.
3. Wood, G., Pinto, A., Evans, S., Daly, A., Adams, S., Costelloe, S. et al. (2021). Special Low Protein Foods Prescribed in England for PKU Patients: An Analysis of Prescribing Patterns and Cost. *Nutrients*, 13 (11), 3977. doi: <https://doi.org/10.3390/nu13113977>.
4. KМУ. (2021). Rozporiadzhennia vid 28.04.2021 No. 377 "Pro skhvalennia Kontseptsii rozvytku systemy nadannia medychnoi dopomohy patsientam, yaki strazhdaiut na ridkisni (orfanni) zakhvoriuvannia, na 2021-2026 roky". *zakon.rada.gov.ua*. Available at: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/377-2021-%D1%80#Text>.
5. Tsentr hromadskoho zdorovia MOZ Ukrainy. Statystychni dani systemy MOZ. Available at: <http://medstat.gov.ua/ukr/statdanMMXIX.html>.
6. MOZ Ukrainy. (2015). Nakaz vid 19.11.2015 No. 760 "Unifikovanyi klinichni protokol pervynnoi, vtorynnoi (spetsializovanoi) ta tretynnoi (vysokospetsializovanoi) medychnoi dopomohy. Fenilketonuriia ta inshi hiperfenilalaninemii". *dec.gov.ua*. Available at: [https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2019/11/2015\\_760\\_ykpmf\\_fenilk.pdf](https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2019/11/2015_760_ykpmf_fenilk.pdf).
7. Vockley, J., Andersson, H. C., Antshel, K. M., Braverman, N. E., Burton, B. K., Frazier, D. M. et al. (2014). Phenylalanine hydroxylase deficiency: diagnosis and management guideline. *Genetics in Medicine*, 16 (2), 188-200. doi: 10.1038/gim.2013.157.
8. Wegberg, A. M. J., MacDonald, A., Ahring, K., Bélanger-Quintana, A., Blau, N., Bosch, A. M. et al. (2017). The complete European guidelines on phenylketonuria: diagnosis and treatment. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 12 (1), 162. doi: 10.1186/s13023-017-0685-2.
9. Ney, D. M., Blank, R. D., Hansen, K. E. (2014). Advances in the nutritional and pharmacological management of phenylketonuria. *Current Opinion in Clinical Nutrition & Metabolic Care*, 17 (1), 61-68.
10. Robertson, L., Adam, S., Ellerton, C., Ford, S., Hill, M., Randles, G. et al. (2022). Dietetic Management of Adults with Phenylketonuria (PKU) in the UK: A Care Consensus Document. *Nutrients*, 14 (3), 576. doi: <https://doi.org/10.3390/nu14030576>.
11. Wiedemann, A., Oussalah, A., Jeannesson, É. Guéant, J.-L., Feillet, F. (2020). La phénylcétonurie – De la diététique à la thérapie génique. *Med. Sci. (Paris)*, 36 (8-9), 725-734. doi: 10.1051/medsci/2020127.
12. PKU Golike: the evolution in PKU nutritional management. Available at: <https://metahealthcare.co.uk/product-page/>.



13. Al Hafid, N., Christodoulou, J. (2015). Phenylketonuria: a review of current and future treatments. *Transl. Pediatr.*, 4 (4), 304-317. doi: 10.3978/j.issn.2224-4336.2015.10.07.
14. Pharmacy/medical policy 5.01.585 Pharmacologic Treatment of Phenylketonuria. Available at: <https://www.premera.com/hmo/medicalpolicies/5.01.585.pdf>.
15. Pena, V. J., Almeida, M. F., van Dam, E., Ahring, K., Bélanger-Quintana, A., Dokoupil, K. et al. (2015). Special low protein foods for phenylketonuria: Availability in Europe and in examination of their nutritional profile. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 10, 162. doi: 10.1186/s13023-015-0378-7.
16. Wood, G., Pinto, A., Evans, S. (2021). Special Low Protein Foods Prescribed in England for PKU Patients: An Analysis of Prescribing Patterns and Cost. *Nutrients*, 13 (11), 3977. doi: <https://doi.org/10.3390/nu13113977>.
17. KМУ. (2015). Постанова від 31.03.2015 No. 160 "Pro zatverdzhennia Poriadku zabezpechennia hromadian, yaki strazhdaiut na ridkisni (orfanni) zakhvoriuvannia, likarskymy zasobamy ta vidpovidnymy kharchovymy produktamy dlia spetsialnogo diietychnoho spozhyvannia". *zakon.rada.gov.ua*. Available at: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/160-2015-%D0%BF#Text>.
18. KМУ. (1998). Постанова від 17.08.1998 No. 1303 (zi zminamy) "Pro vporiadkuvannia bezoplatnogo ta pilhovoho vidpusku likarskykh zasobiv za retseptamy likariv u razi ambulatornogo likuvannia okremykh hrup naselennia ta za pevnymy katehoriiami zakhvoriuvan". *zakon.rada.gov.ua*. Available at: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/1303-98-%D0%BF#Text>.
19. MOZ Ukrainy. (2001). Nakaz від 13.11.2001 No. 457 (zi zminamy) "Pro zakhody shchodo udoskonalennia medychnoi dopomohy khvorym na fenilketonuriiu v Ukraini". *zakon.rada.gov.ua*. Available at: <https://zakon.rada.gov.ua/rada/show/v0457282-01#Text>.
20. MOZ, AMN Ukrainy. (2003). Nakaz від 31.12.2003 No. 641/84 "Pro udoskonalennia medyko-henetychnoi dopomohy v Ukraini". *zakon.rada.gov.ua*. Available at: <https://zakon.rada.gov.ua/rada/show/va641282-03#Text>.
21. MOZ Ukrainy. (2019). Nakaz від 17.12.2019 No. 2498 "Pro zatverdzhennia metodychnykh rekomendatsii z planuvannia ta rozrakhunku potreby v likarskykh zasobakh, produktakh spetsialnogo kharchuvannia ta vyrobakh medychnoho pryznachennia, shcho zakupovuiutsia za rakhunok koshtiv derzhavnogo ta mistsevoho biudzhetyv". *zakon.rada.gov.ua*. Available at: <https://zakon.rada.gov.ua/rada/show/v2498282-19#Text>.
22. MOZ Ukrainy. (2017). Nakaz від 03.09.2017 No. 1073 "Pro zatverdzhennia Norm fiziologichnykh potreb naselennia Ukrainy v osnovnykh kharchovykh rehovynakh i enerhii". *zakon.rada.gov.ua*. Available at: <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/z1206-17#Text>.
23. List of notifications of the intention to place on the market baby food, food products for special medical purposes and food products for weight control. Available at: [https://dpssukraine-my.sharepoint.com/:x/g/personal/n\\_hyrfanova\\_dpss\\_gov\\_ua/EdCSUfw6wjFDvnXXwP9VkmYB8PFXLBWZ0kzAKFsAgKHNw?rttime=WQCpjgr20g](https://dpssukraine-my.sharepoint.com/:x/g/personal/n_hyrfanova_dpss_gov_ua/EdCSUfw6wjFDvnXXwP9VkmYB8PFXLBWZ0kzAKFsAgKHNw?rttime=WQCpjgr20g).

---

*Відомості про авторів:*

**Тутук В. В.**, аспірант кафедри організації та економіки фармації, Національний фармацевтичний університет Міністерства охорони здоров'я України (<http://orcid.org/0000-0003-4661-4908>). E-mail: [tvv1@ukr.net](mailto:tvv1@ukr.net)

**Назаркіна В. М.**, докторка фармацевтичних наук, доцентка 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](mailto:victory.nazarkina@gmail.com)

*Information about authors:*

**Tutuk V. V.**, postgraduate student of the Organization and Economics of Pharmacy Department, National University of Pharmacy of the Ministry of Health of Ukraine (<http://orcid.org/0000-0003-4661-4908>). E-mail: [tvv1@ukr.net](mailto:tvv1@ukr.net)

**Nazarkina V. M.**, Doctor of Pharmacy (Dr. habil.), associate 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](mailto:victory.nazarkina@gmail.com)

Надійшла до редакції 22.12.2022 р.