

УДК 614.2: 615.1

<https://doi.org/10.24959/sphhcj.24.317>В. М. НАЗАРКІНА<sup>1</sup>, А. С. НЕМЧЕНКО<sup>1</sup>, І. М. ПОДОЛЬСЬКИЙ<sup>1</sup>, М. М. БАБЕНКО<sup>2</sup>, Т. М. КОБА<sup>1</sup><sup>1</sup> Національний фармацевтичний університет  
Міністерства охорони здоров'я України, м. Харків<sup>2</sup> ДП «Державний експертний центр МОЗ України», м. Київ

## ПРОБЛЕМИ СТВОРЕННЯ ЕФЕКТИВНОЇ СИСТЕМИ ОЦІНКИ МЕДИЧНИХ ТЕХНОЛОГІЙ НА РАННІХ ЕТАПАХ ЖИТТЄВОГО ЦИКЛУ ЛІКАРСЬКИХ ЗАСОБІВ

**Мета** – дослідження сучасних підходів до створення і функціонування системи сканування горизонту (*англ.* Horizon Scanning, HS) та ранньої оцінки медичних технологій (ОМТ), зокрема для лікування рідкісних захворювань (РЗ), що мають значні незадоволені медичні потреби.

**Матеріали та методи:** аналіз, систематизація та узагальнення даних наукових публікацій, аналітичних звітів, керівництв, інформації з офіційних сайтів регуляторних органів, агенцій з ОМТ та сканування горизонту.

**Результати дослідження.** Проведено аналіз теоретичних основ та нормативно-правового забезпечення процесів формування ефективної системи ОМТ на ранніх етапах життєвого циклу. Системи HS, так звані «системи раннього інформування та оповіщення», спрямовані на виявлення, фільтрацію та визначення пріоритетності нових та інноваційних технологій зі значним прогнозованим впливом на здоров'я, витрати, суспільство та систему охорони здоров'я (ОЗ) з метою інформування політиків, закупівельників та надавачів медичних послуг або покращання раннього доступу. Система HS дозволяє здійснювати проактивне планування та ухвалення рішень щодо використання та реімбурсації нових лікарських засобів (ЛЗ) на основі попередніх оцінок впливу на бюджет і клінічної ефективності.

**Висновки.** Для вітчизняної системи ОМТ, яка наразі перебуває на етапі розбудови, важливо адаптувати позитивний міжнародний досвід у цій сфері та передбачити функціонал щодо HS, ранньої оцінки, раннього діалогу, керованого доступу з розвитком доказової бази. Доцільним є застосування «легкої» моделі та долучення до міжнародної співпраці у цьому напрямі.

**Ключові слова:** оцінка медичних технологій; сканування горизонту; ранній діалог; інноваційні медичні технології; лікарські засоби; рідкісні (орфанні) захворювання.

V. M. NAZARKINA<sup>1</sup>, A. S. NEMCHENKO<sup>1</sup>, I. M. PODOLSKY<sup>1</sup>, M. M. BABENKO<sup>2</sup>, T. M. KOBA<sup>1</sup><sup>1</sup> National University of Pharmacy, Ministry of Health of Ukraine, Kharkiv<sup>2</sup> State Enterprise "State Expert Center of the Ministry of Health of Ukraine", Kyiv,

### PROBLEMS OF CREATING AN EFFECTIVE SYSTEM OF HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT AT THE EARLY STAGES OF THE DRUG LIFE CYCLE

**Aim.** To study modern approaches to the formation and functioning of the Horizon Scanning (HS) system and early health technology assessment (HTA), in particular, for the treatment of rare diseases with significant unmet medical needs.

**Materials and methods.** The analysis, systematization and synthesis of data from scientific publications, analytical reports, guidelines, information from official websites of regulatory authorities, HTA and HS agencies were used.

**Results.** The analysis of the theoretical foundations and regulatory support for the processes of forming an effective HS system at the early stages of the life cycle has been performed. HS systems, the so-called "early awareness and alert systems", are aimed at identifying, filtering and prioritizing new and innovative technologies with a significant predicted impact on health, costs, society and the healthcare system in order to inform policy makers, purchasers and healthcare providers or improve early access. The HS system allows for proactive planning and decision-making on the use and reimbursement of new medicines based on preliminary assessments of budgetary impact and clinical efficacy.

**Conclusions.** For the national HTA system, which currently is at the stage of development, it is important to adapt positive international experience in this area and provide functionality for HS, early assessment, early dialogue, managed access with the development of the evidence base. It is advisable to apply the "light" model and join the international cooperation in this area.

**Keywords:** health technology assessment; horizon scanning; early dialogue; innovative health technologies; medicines; rare (orphan) diseases.

**Постанова проблеми.** Сучасний етап характеризується розвитком та розширенням сфери досліджень і розробок (англ. Research and Development, R&D) в охороні здоров'я (ОЗ) та фармації, у відповідь на виклики сьогодення з'являється багато перспективних медичних технологій (МТ) для лікування, діагностики і профілактики різних захворювань, зокрема й засобів передової терапії (англ. Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP), заснованих на генах, клітинах, тканинах. За оцінками, наразі понад 9 000 сполук перебувають на різних стадіях розробки у всьому світі. Інвестиції у R&D в Європі у 2022 р. становили приблизно 44,5 млрд євро (для порівняння, у 2000 р. вони становили 17,8 млрд, у 2010 р. – 27,9, у 2020 р. – 39,4 відповідно). Вартість R&D нової хімічної або біологічної речовини оцінюється в 1,9 млрд євро (2,6 млрд дол. у 2013 р.). Водночас лише 1-2 з кожних 10 000 речовин, синтезованих у лабораторіях, успішно проходять усі стадії розвитку, необхідні для того, щоб стати ринковим ЛЗ [1, 2].

Водночас ключовими проблемами європейської системи ОЗ, крім сегментованості ринку Європейського Союзу (ЄС), є невідповідність між інвестиціями в R&D й реальними потребами суспільної ОЗ, нормативні бар'єри на шляху інновацій, нерівний доступ до ліків у межах ЄС, висока вартість (і, відповідно, низька доступність) інноваційних МТ. У зв'язку з об'єктивною необхідністю вирішення цих та інших нагальних проблем, а також стимулювання розвитку європейської фармацевтичної промисловості для забезпечення її конкурентоспроможності на фоні інших ринків з високим потенціалом зростання (Бразилія, Китай, Індія) була розроблена «Фармацевтична стратегія для Європи» (Pharmaceutical Strategy for Europe – PSE). У 2023 р. Єврокомісією опубліковано пропозиції стосовно перегляду чинного фармацевтичного законодавства (регламенти 726/2004, 1901/2006 та 141/2000/ЄС, Директива 2001/83/ЄС). Зокрема заплановано переглянути систему стимулів для R&D орфанних лікарських засобів (ЛЗ) у межах загального пакета реформ, що може призвести до скорочення інвестицій у розроблення таких ЛЗ і знизити конкурентоспроможність

регіону в R&D. Безперечно, всі ці процеси не можуть не впливати на стан українського фармацевтичного ринку, ціни й доступність медичних технологій (МТ) для населення та системи ОЗ і фармації.

У цьому контексті актуальності набуває оцінка медичних технологій (ОМТ) на різних етапах життєвого циклу ЛЗ та сканування горизонту (Horizon Scanning, HS), спрямоване на виявлення нових МТ, які потенційно можуть вплинути на ОЗ. HS використовується у багатьох сферах для ухвалення рішень і формування політики, а також для управління ризиками. Сканування горизонту у загальному сенсі передбачає «систематичне вивчення потенційних (майбутніх) проблем, загроз, можливостей і ймовірних майбутніх подій, зокрема тих, що перебувають на периферії поточного мислення і планування». HS може досліджувати нові й несподівані питання МТ, а також постійні проблеми, тенденції і слабкі сигнали. У нашому дослідженні ми розглядаємо сканування горизонту як важливий компонент системи ОМТ.

**Аналіз останніх досліджень і публікацій та виділення не вирішених раніше частин загальної проблеми.** Міжнародний досвід проведення досліджень зі сканування горизонту та організаційно-нормативних аспектів зазначеного питання висвітлено у наукових публікаціях, аналітичних матеріалах тощо. Зокрема, S. Vogler аналізувала стан національних та міждержавних систем HS у європейських країнах [3], N. Grössmann, S. Wolf, K. Rosian, C. Wild розглядають питання застосування сканування горизонту та ранньої ОМТ для «пререїмбурсації» [4], тобто ухвалення рішень про покриття. Особливості організації системи HS в Італії описані J. Ivanovic, G. Capone, L. Raffaelli, M. Marangi, G. Pistrutto [5, 6]. Майбутні тенденції і технології від співпраці Європейського агентства з ЛЗ у сфері сканування горизонту розглянуті у публікації V. Vignali, P. A. Hines, A. G. Cruz, B. Ziętek, R. Herold [7]. Рекомендації щодо розбудови потенціалу для проведення ОМТ у країнах з низьким та середнім рівнем доходу, зокрема стосовно відбору та пріоритизації тем для оцінки представлені норвезькими ученими V. Lauvrak, J. Bidonde, E. F. Peacocke [8]. Про залучення

пацієнтів та громадськості до заходів з раннього інформування та оповіщення (на прикладі Великої Британії) йдеться у статті S. Simpson, A. Cook, K. Miles [9]. Методологія та особливості проведення HS, а також аналітичні дані описані у численних керівництвах та звітах різних країн. Окремим аспектам організації та запровадження системи ОМТ, розбудови інституційної структури, методології та використання результатів оцінки присвячені праці таких вітчизняних учених, як К. Л. Косяченко, О. Б. Піняжко, О. М. Заліська, О. М. Олещук, О. М. Філінюк, М. В. Лелека та ін. Водночас проблема створення ефективної системи ОМТ на ранніх етапах життєвого циклу високоартістичних інноваційних ЛЗ не розглядалася.

**Формулювання цілей статті.** Метою роботи є дослідження сучасних підходів до створення та функціонування системи сканування горизонту та ранньої оцінки інноваційних МТ, зокрема для лікування рідкісних захворювань, що наразі не мають доступних методів лікування.

**Результати досліджень.** На основі аналізу літературних джерел встановлено, що наразі велика увага надається виявленню незадоволених медичних потреб, проведенню оцінки ефективності інновацій в ОЗ на

ранніх етапах життєвого циклу та управлінню ризиками (застосування договорів керованого доступу). Ключова роль відведена ефективній системі HS, так званій «системі раннього попередження», що дозволяє виявляти інноваційні МТ з потенціалом впливу на ОЗ.

Сканування горизонту проводиться на ранніх етапах життєвого циклу МТ та передуює проведенню традиційної ОМТ (рис. 1).

HS, як правило, складається з процесу виявлення сигналу, фільтрації, визначення пріоритетів, оцінки та поширення (рис. 2).

Отже, як правило, HS проходить процес визначення тем (ідентифікації), фільтрації тем і їх відбору (пріоритизації), які потребують подальшої уваги. Деякі системи відрізняються способами збору розвідувальної інформації за темами, зокрема з використанням автоматизованих цифрових систем, а також у поширенні отриманих результатів [7, 8]. Методи залучення пацієнтів насамперед внесені в найбільші та найавторитетніші організації з HS (i-HTS, CADTH та NICE) [9].

HS завчасно поширює інформацію для забезпечення можливості ухвалення відповідних рішень (зокрема щодо розподілу ресурсів), визначає потребу в подальших

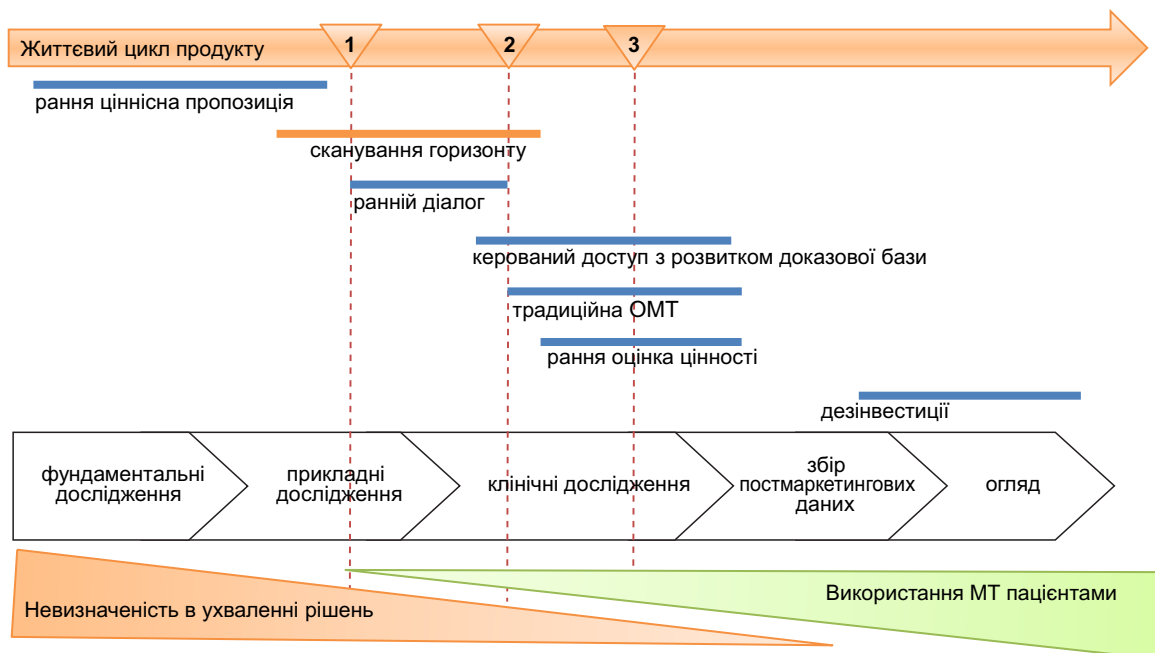


Рис. 1. Оцінка технологій на різних стадіях життєвого циклу [10]: 1 – перше клінічне використання; 2 – схвалення / дозвіл на маркетинг; 3 – рішення щодо реімбурсації

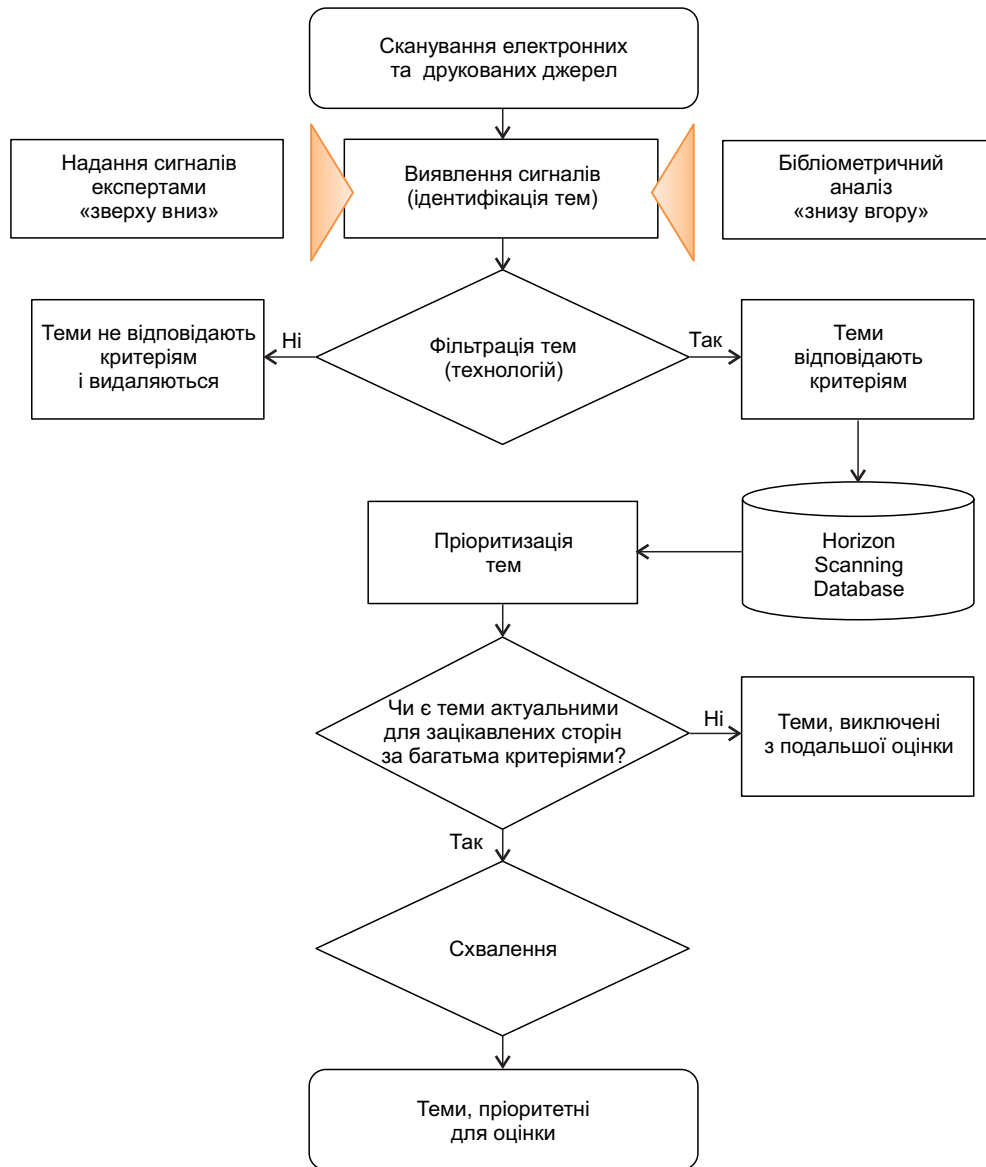


Рис. 2. Алгоритм проведення сканування горизонту для інноваційних МТ

дослідженнях. HS розглядають як перший етап ОМТ (рис. 3).

Варто зауважити, що інноваційні МТ з погляду HS можна класифікувати так: абсолютно нова МТ (нові хімічні речовини, пристрої, процедури); наявна МТ, яка використовується для нової групи пацієнтів, нових показань; значні поступові зміни в наявній МТ, які можуть чинити значний вплив на клінічні результати, ресурси ОЗ або трудові ресурси.

HS проводиться невеликою кількістю агентств, що здійснюють ОМТ або створені спеціально з цією метою. Системи добре розвинені в Канаді (Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health – CADTH), США (Patient-Centered Outcomes Research Institute ECRI/PCORI), Великобританії та деяких європейських країнах.

Однією з перших у 2006 р. систему HS запровадила Італія на регіональному рівні для інформування платників і національного



Рис. 3. Роль сканування горизонту в процесі ОМТ

агентства з ЛЗ (Agenzia Italiana del Farmaco, AIFA). Системою передбачено проведення сканування і оформлення трьох типів звітів (за 36, 18 та 12 місяців до можливої авторизації Європейською агенцією ЛЗ EMA) [5, 6].

Нідерланди запровадили HS у 2012 р. спочатку як «легку» систему, що спиралася на результати інших агенцій, таких, як Агентство США з досліджень і якості ОЗ (Agency for Healthcare Research and Quality, AHRQ). У 2017 р. було запущено систему Horizon-scan+ для виявлення перспективних МТ за два роки до отримання дозволу на продаж, прогнозування цін та обсягів цих нових ЛЗ, а також розширень показань до наявних інноваційних ЛЗ. Координує проект організація медичного страхування, Національний інститут ОЗ (ZINL). Інформація розміщується на сайті ZINL і є загальнодоступною [11].

Норвегія у 2013 р. створила Національну систему керованого запровадження нових МТ у межах спеціалізованої служби ОЗ (Nye Metoder) і для всіх нових МТ передбачено проведення ОМТ у різних форматах (госпітальна міні-ОМТ, порівняльна ОМТ, яку проводять Норвезькі агенції з ЛЗ, повна ОМТ, яку виконує Норвезький інститут громадської ОЗ). ЛЗ та інші МТ, виявлені під час сканування, публікуються у базі даних відкритого доступу (MedNytt) Норвезького інституту громадської ОЗ, яка оновлюється десять разів на рік [3, 8].

У Швеції HS здійснюється спеціально створеною робочою групою та має на меті інформування регіональних платників, надаючи основу для ухвалення рішень. HS інтегровано в процес керованого запровадження нових ЛЗ у клініках [3].

У Великій Британії є декілька центрів проведення подібних досліджень. Так, в Англії HS здійснює Національний інститут досліджень здоров'я Науково-дослідний та аналітичний центр HS (National Institute for Health Research Horizon Scanning Research & Intelligence Centre – NIHR HSRIC). Ключовим замовником досліджень є Національний інститут ОЗ та медичного обслуговування (The National Institute for Health and Care Excellence, NICE), який розраховує отримати короткий звіт про нові МТ щонайменше за 20 місяців до запуску. Крім публікацій,

ключовими джерелами інформації є зустрічі з представниками промисловості, база даних UK PharmaScan. У Шотландії та Уельсі існують окремі системи HS, що частково доповнюють одна одну, які виконуються установами ОМТ: Шотландським медичним консорціумом (SMC) і All Wales Medicines Strategy Group (AWMSG) відповідно [11-13].

Варто зауважити, що створення національної системи HS потребує значних ресурсів (фінансових, кадрових, часових), тож оптимальним є пошук шляхів міжнародної співпраці у цій сфері.

Існує кілька міжвідомчих та міждержавних програм співпраці в Європі та інших регіонах. Міжнародна мережа «EuroScan» функціонувала з 1997 р. протягом 20 років як об'єднання регуляторних органів європейських країн (Великої Британії, Данії, Іспанії, Канади, Нідерландів, Швейцарії, Швеції), у 2017 р. – розширила географію та набула статусу некомерційної наукової асоціації, членами якої були як державні установи, наукові організації, так і приватні особи, у 2020 р. трансформувалася в International Health Tech Scan (i-HTS), залишається основним глобальним форумом для обміну і розроблення методів раннього виявлення та попередньої оцінки нових і застарілих МТ [14]. Наразі увагу зосереджено на втручаннях із високим потенціалом у таких фокусних сферах: хвороба Альцгеймера та інші деменції, онкологічні та серцево-судинні захворювання, психічні та поведінкові розлади, рідкісні захворювання (РЗ). У зв'язку з COVID-19 спектр HS було розширено.

За оцінками, в Європі від 27 до 36 млн осіб страждають на РЗ, які мають тяжкий і хронічний перебіг, супроводжуються зниженням якості й скороченням тривалості життя пацієнтів [16]. Через значні незадоволені медичні потреби (відсутність доступних МТ діагностики і лікування), високі ціни на орфанні ЛЗ та великий вплив на бюджет, урядами європейських країн, зокрема й України, було розроблено національні плани / стратегії щодо покращання доступу орфанних пацієнтів до МТ діагностики (скринінг), профілактики, лікування, реабілітації та паліативної допомоги.

За результатами аналізу структури й динаміки глобального фармацевтичного ринку

Таблиця

**ДОБРОВІЛЬНА МІЖДЕРЖАВНА СПІВПРАЦЯ У СФЕРІ ЗАКУПІВЕЛЬ, ОМТ ТА HS [15]**

Назва, дата заснування	Залучені країни	Сфера МТ	Сфера співпраці
Baltic Procurement Initiative 2021	Естонія, Латвія, Литва	ЛЗ та вакцини; МВ (лише для кредитування)	Закупівлі, кредитування
Beneluxa Initiative 2015	Австрія, Бельгія, Ірландія, Нідерланди, Люксембург	ЛЗ (фокус на нові дорогі ЛЗ)	HS і ОМТ, переговори щодо цін і реімбурсації
FAAP – Fair and Affordable Pricing 2017	Польща, Словаччина, Чехія, Латвія, Литва, Угорщина, Хорватія	Ліки (з акцентом на нові високовартісні ЛЗ)	ОМТ, переговори щодо цін і реімбурсації
FINOSE, 2018	Фінляндія, Норвегія, Швеція	ЛЗ (з акцентом на нові ЛЗ)	ОМТ
Nordic Pharmaceutical Forum 2015	Данія, Норвегія, Ісландія, Швеція, Фінляндія	ЛЗ (фокус на нові дорогі та «старі» недорогі ЛЗ)	HS, закупівлі
Valletta Declaration 2017	Хорватія, Греція, Кіпр, Італія, Мальта, Іспанія, Португалія, Румунія, Словенія, Хорватія	Ліки (фокус на нові дорогі ліки)	HS, ОМТ, переговори щодо цін і реімбурсації

можна стверджувати, що середньорічний темп зростання ринку орфанних ЛЗ за останні три роки становить 12 %, що удвічі перевищує загальні показники. За прогнозами експертів, до 2026 р. продажі орфанних ЛЗ становитимуть 20 % ринку [17, 18]. Проте рівень доступу до орфанних ЛЗ дуже різниться як у межах окремих країн, так і за регіонами. З метою об'єднання зусиль у сфері розробки орфанних препаратів у 2011 р. було створено Міжнародний консорціум IRDiRC (англ. The International Rare Diseases Research Consortium). Також здійснюються спільні проекти у сфері проведення ОМТ та збору доказів реальної клінічної практики (англ. Real-World Evidence, RWE). Одночасно неоднорідність нормативно-правової бази та практики ОМТ ускладнює середовище доступу до ринку.

У результаті аналізу офіційних даних щодо схвалення ЛЗ Європейською агенцією з ЛЗ (ЕМА) встановлено, що протягом 2022 р. було надано дозвіл на продаж (Marketing Access – MA) 89 новим ЛЗ, з них 48 – на основі нових молекулярних субстанцій (NME) як хімічного, так і біологічного походження, провідні позиції посідають протипухлинні ЛЗ та імунomodulatory (загалом 37,5 %), антибактеріальні ЛЗ, препарати для лікування захворювань шлунково-кишкової системи та обміну речовин, нервової системи [19]. Протягом року Комітетом ЕМА

з орфанних ЛЗ (англ. Committee for Orphan Medicinal Products, COMP) було розглянуто 269 заяв на отримання статусу «препаратів-сирот» (англ. Orphan Drug Designation, ODD). Позитивне рішення ухвалено стосовно 176 препаратів, 2 отримали негативний висновок. Упродовж року ЕМА було схвалено 20 орфанних ЛЗ, що містять NME (зокрема 5 засобів передової терапії), надано позитивні висновки за 91 новим показанням для 67 вже зареєстрованих ЛЗ (зокрема протипухлинних та імунomodulatory ЛЗ). На початку 2023 р. на стадії оцінки перебували 92 нових ЛЗ, з-поміж них: 61 – містять NME (зокрема 28 – орфанні ЛЗ). 111 ЛЗ були допущені до програми PRIME, спрямованої на перспективні ЛЗ, що становлять великий інтерес для ОЗ, призначені для пацієнтів з незадоволеними потребами, для яких надається підтримка на ранніх стадіях розроблення. Більшість із них є передовими методами лікування, найбільше представлена галузь онкології [19].

Упродовж 2023 р. до Європейського реєстру орфанних ЛЗ було внесено 136 препаратів з відповідною десигнацією, зокрема за новими показаннями для лікування РЗ (останнім часом компанії часто вдаються для перепрофілювання ЛЗ та використання «off-label» з метою підвищення доступу і доступності МТ для лікування РЗ). Провідне місце посідають препарати для лікування

онкологічних захворювань, зокрема: раку підшлункової залози (7), саркоми (4), гліоми (4), раку яєчників (3), саркоїдозу (2). Досить велика частка належить ЛЗ для лікування РЗ: бічного аміотрофічного склерозу (5), м'язової дистрофії Дюшенна (4), синдрому Лея (3), синдрому Альпорта (3), серпоподібно-клітинної анемії (2), кінціково-поперекової м'язової дистрофії (3), хвороби Гентінгтона (2), мієлофіброзу (2) тощо. Варто зауважити, що деякі ЛЗ були заявлені за кількома показаннями. Так, фосманогепікс призначений для лікування лемтоспориозу, мукормікозу, сцедоспориозу, фузаріозу; ефзофітимод – для лікування саркоїдозу та системної склеродермії [19].

Проведений аналіз даних Управління з санітарного нагляду за якістю продуктів та ЛЗ (англ. Food and Drug Administration, FDA) показав, що половина нових препаратів (28 з 55 ЛЗ), схвалених Центром оцінки й дослідження ЛЗ (англ. Center for Drug Evaluation and Research (CDER) упродовж 2023 року, отримали статус «орфанних препаратів». Це, зокрема, ЛЗ для лікування хвороби Фабрі (Elfabrio™ – pegunigalsidase alfa), хвороби Помпе (Pombiliti™ – cipaglucosidase alfa), бульозного епідермолізу (Filsuvez™), пароксизмальної нічної гемоглобінурії (Fabhalta™ – iptacoran), синдрому активованої фосфоїнозитид-3-кінази  $\delta$  (Joenje™ – leniolisib), СНAPLE-синдрому (Veorpoz™ – rozelimab), спадкового транстиретинопосередкованого амліодозу (Wainua™ – eplontersen), атаксії Фрідрейха (Skyclarys™ – omaveloxolone), синдрому Ретта (Daybue™ – trofinetide) альфа-маннозидозу (Lanzede™ – velmanase alfa) тощо [20, 21].

Варто зауважити, що у США статус орфанного ЛЗ дає спонсорам право на податкові пільги для кваліфікованих клінічних досліджень та 7 років ексклюзивності на ринку після схвалення за умов відсутності альтернативних МТ лікування РЗ, у ЄС цей період становить 10 років [20].

Доказова невизначеність під час отримання дозволу на продаж часто ускладнює оцінку та переговори щодо цін та відшкодування орфанних ЛЗ. Проблема невеликих популяцій посилюється для АТМР, зважаючи на відносно коротку тривалість досліджень порівняно з очікуваними

довгостроковими ефектами цих МТ. Наразі спостерігається використання адаптивних шляхів (умовне схвалення, керований доступ) і ширшого використання реальних даних рутинної практики (RWE). Це має потенціал для доповнення розуміння ефективності ЛЗ, оптимального клінічного використання, результатів у конкретних цільових групах населення та очікуваного впливу на бюджет. Так, умовний доступ дозволяє підвищити доступність ЛЗ для пацієнта, тоді як RWE генерується для подальшої оцінки клінічних результатів і цінності. Збір RWE вимагає співпраці між багатьма зацікавленими сторонами, особливо для РЗ, які вражають невелику кількість пацієнтів в одній країні.

Для міждержавної співпраці щодо виробництва та використання RWE створено Ініціативу з інноваційних ЛЗ (англ. Innovative Medicines Initiative, IMI). У 2021 р. Єврокомісією схвалено Єдиний базовий закон (англ. Single Basic Act, SBA) та створено низку спільних підприємств у межах Horizon Europe. З метою створити загальноєвропейську екосистему досліджень та інновацій у ОЗ, яка сприятиме перетворенню наукових знань на реальні інновації у сфері профілактики, діагностики, лікування, що мають бути безпечними, ефективними, економічно вигідними, запроваджено Ініціативу інновацій в ОЗ (англ. Innovative Health Initiative, IHI), що сприятиме реалізації Європейського плану боротьби з раком, Нової промислової стратегії та Фармацевтичної стратегії для Європи.

Проблеми, пов'язані з розробкою ЛЗ для невеликих когорт пацієнтів (зокрема відсутність знань про захворювання, труднощі зі створенням надійних доказів, вищі витрати на R&D на одного пацієнта), означають, що для більшості орфанних ЛЗ складніше продемонструвати додаткову вигоду та/або співвідношення ціни/якості на основі звичайних критеріїв (користі та економічної ефективності).

Традиційні методи ОМТ необхідно адаптувати до РЗ, головним чином забезпечуючи гнучкість щодо доказової невизначеності та запроваджуючи залежні від контексту порогові значення готовності платити. Багато країн долучають або планують запровадити

адаптацію процесу для РЗ (наприклад, підвищені порогові значення для ультрарідкісних захворювань у Норвегії та Швеції, спрощені вимоги до доказів та автоматичні додаткові переваги в Німеччині).

Регламентом (ЄС) 2021/2282 про ОМТ передбачено спільну діяльність у країнах-членах ЄС щодо клінічних оцінок, наукових консультацій, сканування горизонту та подальшої добровільної співпраці. Спільні клінічні оцінки (англ. Joint Clinical Assessments, JCA) будуть обов'язковими та будуть зосереджені на оцінці клінічних доказів, тоді як економічні міркування залишатимуться специфічними для країни. Перший етап реалізації (2025-2027 рр.) буде зосереджений на онкологічних ЛЗ та засобах передової терапії (АТМР), зокрема призначених для лікування РЗ.

У січні 2022 р. у режимі пілотного проекту було запроваджено інформаційну систему клінічних випробувань (The Clinical Trials Information System – CTIS) – єдину платформу для подачі заявок на проведення клінічних випробувань, де гармонізовано подання, оцінку та контроль за клінічними випробуваннями. Повноцінно інформаційна система запрацювала вже з 1 січня 2023 р. і стала обов'язковою для всіх клінічних випробувань у ЄС.

**Висновки та перспективи подальших досліджень.** Системи сканування горизонту,

так звані «системи раннього інформування та оповіщення», спрямовані на виявлення, фільтрацію та визначення пріоритетності нових та інноваційних МТ зі значним прогнозованим впливом на здоров'я, витрати, суспільство та систему ОЗ із метою інформування політиків, закупівельників та постачальників медичних послуг (для визначення пріоритетів у дослідженнях у сфері ОЗ, фінансового та операційного планування) або полегшення раннього доступу (шляхом сприяння контролюваному розповсюдженню МТ). Державні та приватні організації (уряди, платники, системи ОЗ, венчурні інвестори, розробники МТ) по всьому світу вже давно використовують формальні й неформальні програми HS. Система HS дозволяє здійснювати проактивне планування та ухвалення рішень щодо використання та реімбурсації нових ЛЗ на основі попередніх оцінок впливу на бюджет і клінічної ефективності. Це особливо актуально для РЗ, що мають значні незадоволені медичні потреби. Для вітчизняної системи ОМТ, яка наразі перебуває на етапі розбудови, важливо адаптувати позитивний міжнародний досвід у сфері сканування горизонту, ранньої оцінки, раннього діалогу, керованого доступу з розвитком доказової бази.

**Конфлікт інтересів:** відсутній.

#### **Перелік використаних джерел інформації**

1. The Pharmaceutical Industry in Figures. Key Data 2023. The European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations, 2023. 25 p. URL: <https://www.efpia.eu/media/rm4kzdlx/the-pharmaceutical-industry-in-figures-2023.pdf>
2. Дмитрик К. В особливому становищі: за підсумками 2024 р. 18% світового ринку Rx-препаратів належатиме орфанним? *Аптека online*. 2021. № 26 (1297). URL: <https://www.apteka.ua/article/580249>
3. Vogler S. "Ready for the future?" – Status of national and cross-country horizon scanning systems for medicines in European countries. *German Medical Science*. 2022. Vol. 20. DOI: 10.3205/000307.
4. Grössmann N., Wolf S., Rosian K., Wild C. Pre-reimbursement: early assessment for coverage decisions. *Wiener Medizinische Wochenschrift*. 2019. Vol. 169. P. 254–262. DOI: 10.1007/s10354-019-0683-1.
5. Horizon Scanning for pharmaceuticals and effective health care programming: 2 years' experience at the Italian Medicines Agency / J. Ivanovic et al. *Drug Discovery Today*. 2021. Vol. 26, No. 2. P. 569-576. DOI: 10.1016/j.drudis.2020.11.015.
6. Marangi M., Ivanovic J., Pistrutto G. The Horizon Scanning System at The Italian Medicines Agency. *Drug Discovery Today*. 2019. Vol. 24(6). P. 1268-1280. DOI: 10.1016/j.drudis.2019.04.010. Epub 2019 Apr 30.
7. Health horizons: Future trends and technologies from the European Medicines Agency's horizon scanning collaborations / V. Vignali et al. *Frontiers in Medicine*. 2022. Vol. 9. P.1-20. DOI: 10.3389/fmed.2022.1064003
8. Lauvrak V., Bidonde J., Peacocke E. F. Topic identification, selection and prioritisation for health technology assessment (HTA) – A report to support capacity building for HTA in low- and middle-income countries, Norwegian Institute of Public Health, 2021. 63 p.



9. Simpson S., Cook A., Miles K. Patient and public involvement in early awareness and alert activities: an example from the United Kingdom. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2018. Vol. 34(1). p. 10-17. DOI: 10.1017/S0266462317004421.
10. Horizon Scanning and Early Assessment. Health Technology Assessment Policy and Methods Review / J. Parsons et al. Canberra, ACT: Australian Department of Health and Aged Care, 2023. 111 p.
11. Vogler S. Payer Policies to Support Innovation and Access to Medicines in the WHO European Region. Oslo Medicines Initiative Technical Report. Copenhagen: WHO. 2022. URL: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK587873/>
12. Horizon scanning of innovative medicines, devices, diagnostics and digital technologies for stakeholders in England. NIHR Innovation Observatory. UK, 2021. URL: [https://www.io.nihr.ac.uk/wp-content/uploads/2022/01/NIHR-HS-Workshop-HTAi2021-Horizon-scanning-of-innovative-medicines-devices-diagnostics-and-digital-technologies-for-stakeholders-in-England\\_Fina.pdf](https://www.io.nihr.ac.uk/wp-content/uploads/2022/01/NIHR-HS-Workshop-HTAi2021-Horizon-scanning-of-innovative-medicines-devices-diagnostics-and-digital-technologies-for-stakeholders-in-England_Fina.pdf)
13. UK PharmaScan. An essential first step to market access for medicines. URL: <https://www.ukpharmascan.org.uk/>
14. International HealthTechScan. URL: <https://ihts.org/>
15. Назаркіна В. М., Немченко А. С., Косяченко К. Л., Бабенко М. М. Методологія ціноутворення на лікарські засоби в системі охорони здоров'я : монографія / за наук. ред. А. С. Немченко. Київ : Фармацевт Практик, 2022. 288 с.
16. Health in the European Union – facts and figures. *Eurostat Statistics Explained*. URL: [https://ec.europa.eu/eurostat/statistics-explained/index.php?title=Health\\_in\\_the\\_European\\_Union\\_%E2%80%93\\_facts\\_and\\_figures](https://ec.europa.eu/eurostat/statistics-explained/index.php?title=Health_in_the_European_Union_%E2%80%93_facts_and_figures).
17. Senior M., Hadjivasilou A. Orphan Drug Report 2022. April 2022. EvaluatePharma, 2022. 17 p. URL: <https://info.evaluate.com/rs/607-YGS-364/images/Evaluate%20Orphan%20Drug%20Report.pdf>.
18. Senior M., Hadjivasilou A. Orphan Drugs 2023-2028. A flattening curve? March 2023. EvaluatePharma, 2023. 15 p. URL: <https://info.evaluate.com/rs/607-YGS-364/images/Orphan%20Drug%20Report.pdf>.
19. Community Register of orphan medicinal products. European Commission. URL: [https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/reg\\_od\\_act.htm?sort=a](https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/reg_od_act.htm?sort=a)
20. Designating an Orphan Product: Drugs and Biological Products. URL: <https://www.fda.gov/industry/medical-products-rare-diseases-and-conditions/designating-orphan-product-drugs-and-biological-products>.
21. Drug Approvals and Databases. URL: <https://www.fda.gov/drugs/development-approval-process-drugs/drug-approvals-and-databases>.

## References

1. EFPIA (2023). The Pharmaceutical Industry in Figures. Key Data. 25 p. URL: <https://www.efpia.eu/media/rm4kzdx/the-pharmaceutical-industry-in-figures-2023.pdf>
2. Dmytryk, K. (2021) V osoblyvomu stanovyshchi: za pidsumkamy 2024 r. 18% svitovoho rynku Rx-preparativ nalezhatyme orfannym? [In a special situation: according to the results of 2024, will 18% of the world market of Rx drugs belong to orphans?]. *Apteka online*, 26(1297). URL: <https://www.apteka.ua/article/580249> [In Ukrainian].
3. Vogler, S. (2022). "Ready for the future?" – Status of national and cross-country horizon scanning systems for medicines in European countries. *German Medical Science*, 20. doi: 10.3205/000307.
4. Grössmann, N., Wolf, S., Rosian, K., Wild, C. (2019). Pre-reimbursement: early assessment for coverage decisions. *Wiener Medizinische Wochenschrift*, 169, 254–262. doi: 10.1007/s10354-019-0683-1.
5. Ivanovic, J., Capone, G., Raffaelli L., Pantò, V., Marangi, M. (2021). Horizon Scanning for pharmaceuticals and effective health care programming: 2 years' experience at the Italian Medicines Agency. *Drug Discovery Today*, 26, 2, 569-576. doi: 10.1016/j.drudis.2020.11.015.
6. Marangi, M., Ivanovic, J., Pistritto, G. (2019). The Horizon Scanning System at the Italian Medicines Agency. *Drug Discovery Today*, 24(6), 1268-1280. doi: 10.1016/j.drudis.2019.04.010.
7. Vignali, V., Hines, P. A., Cruz, A. G., Ziętek, B., Herold R. (2022). Health horizons: Future trends and technologies from the European Medicines Agency's horizon scanning collaborations. *Frontiers in Medicine*, 9, 1-20. doi: 10.3389/fmed.2022.1064003.
8. Lauvrak, V., Bidonde, J., Peacocke E. F. (2021). Topic identification, selection and prioritisation for health technology assessment (HTA) – A report to support capacity building for HTA in low- and middle-income countries, Norwegian Institute of Public Health.
9. Simpson, S., Cook, A., Miles, K. (2018). Patient and public involvement in early awareness and alert activities: an example from the United Kingdom. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 34(1), 10-17. doi: 10.1017/S0266462317004421.

10. Parsons, J. (2023). Horizon Scanning and Early Assessment. Health Technology Assessment Policy and Methods Review. ACT: Australian Department of Health and Aged Care. 111 p.
11. Vogler, S. (2022). Payer Policies to Support Innovation and Access to Medicines in the WHO European Region. Oslo Medicines Initiative Technical Report. Copenhagen: WHO. Available at: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK587873/>
12. UK NIHR Innovation Observatory (2021). Horizon scanning of innovative medicines, devices, diagnostics and digital technologies for stakeholders in England. Available at: [https://www.io.nihr.ac.uk/wp-content/uploads/2022/01/NIHR-HS-Workshop-HTAi2021-Horizon-scanning-of-innovative-medicines-devices-diagnostics-and-digital-technologies-for-stakeholders-in-England\\_Fina.pdf](https://www.io.nihr.ac.uk/wp-content/uploads/2022/01/NIHR-HS-Workshop-HTAi2021-Horizon-scanning-of-innovative-medicines-devices-diagnostics-and-digital-technologies-for-stakeholders-in-England_Fina.pdf)
13. UK PharmaScan. An essential first step to market access for medicines. Available at: <https://www.ukpharmascan.org.uk/>
14. International HealthTechScan. Available at: <https://ihts.org/>
15. Nazarkina V. M., Nemchenko A. S., Kosiachenko K. L., Babenko M. M. Metodolohiia tsinoutvorennia na likarski zasoby v systemi okhorony zdorovia [Methodology of pricing of medicinal products in the healthcare system]: monohrafiia; za nauk. red. A. S. Nemchenko. Kyiv, 2022. 288 p. [In Ukrainian]
16. Health in the European Union – facts and figures. *Eurostat Statistics Explained*. Available at: [https://ec.europa.eu/eurostat/statistics-explained/index.php?title=Health\\_in\\_the\\_European\\_Union\\_%E2%80%93\\_facts\\_and\\_figures](https://ec.europa.eu/eurostat/statistics-explained/index.php?title=Health_in_the_European_Union_%E2%80%93_facts_and_figures)
17. Senior M., Hadjivasiliou A. (2022). Orphan Drug Report 2022. April 2022. EvaluatePharma. 17 p. Available at: <https://info.evaluate.com/rs/607-YGS-364/images/Evaluate%20Orphan%20Drug%20Report.pdf>
18. Senior M., Hadjivasiliou A. (2023). Orphan Drugs 2023-2028. A flattening curve? March 2023. EvaluatePharma. 15 p. Available at: <https://info.evaluate.com/rs/607-YGS-364/images/Orphan%20Drug%20Report.pdf>
19. Community Register of orphan medicinal products. European Commission. Available at: [https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/reg\\_od\\_act.htm?sort=a](https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/reg_od_act.htm?sort=a)
20. Designating an Orphan Product: Drugs and Biological Products. Available at: <https://www.fda.gov/industry/medical-products-rare-diseases-and-conditions/designating-orphan-product-drugs-and-biological-products>
21. Drug Approvals and Databases. Available at: <https://www.fda.gov/drugs/development-approval-process-drugs/drug-approvals-and-databases>

---

*Відомості про авторів:*

**Назаркіна В. М.**, доктор фармацевтичних наук, професор 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)

**Немченко А. С.**, доктор фармацевтичних наук, професор кафедри організації та економіки фармації, Національний фармацевтичний університет Міністерства охорони здоров'я України (<http://orcid.org/0000-0003-1601-8881>).  
E-mail: [asnemchenko@ukr.net](mailto:asnemchenko@ukr.net)

**Подольський І. М.**, доктор фармацевтичних наук, професор кафедри медичної хімії, Національний фармацевтичний університет Міністерства охорони здоров'я України (<http://orcid.org/0000-0002-2368-7170>).  
E-mail: [illya.podolsky@nuph.edu.ua](mailto:illya.podolsky@nuph.edu.ua)

**Бабенко М. М.**, кандидат фармацевтичних наук, доцент кафедри організації та економіки фармації, Національний медичний університет імені О. О. Богомольця, директор Державного експертного центру МОЗ України (<https://orcid.org/0009-0003-7123-4664>). E-mail: [babenko.mi@gmail.com](mailto:babenko.mi@gmail.com)

**Коба Т. М.**, аспірантка кафедри організації та економіки фармації, Національний фармацевтичний університет Міністерства охорони здоров'я України (<http://orcid.org/0009-0000-5557-8430>), E-mail: [tkobakmda@gmail.com](mailto:tkobakmda@gmail.com)

*Information about authors:*

**Nazarkina V. M.**, Doctor of Pharmacy (Dr. habil.), professor of the Organization and Economics of Pharmacy Department, National University of Pharmacy of the Ministry of Health of Ukraine (<http://orcid.org/0000-0002-0767-6180>).  
E-mail: [victory.nazarkina@gmail.com](mailto:victory.nazarkina@gmail.com)

**Nemchenko A. S.**, Doctor of Pharmacy (Dr. habil.), professor of the Organization and Economics of Pharmacy Department, National University of Pharmacy of the Ministry of Health of Ukraine (<http://orcid.org/0000-0003-1601-8881>). E-mail: [asnemchenko@ukr.net](mailto:asnemchenko@ukr.net)

**Podolsky I. M.**, Doctor of Pharmacy (Dr. habil.), professor of the Department of Medicinal Chemistry, National University of Pharmacy Ministry of Health of Ukraine (<http://orcid.org/0000-0002-2368-7170>). E-mail: [illya.podolsky@nuph.edu.ua](mailto:illya.podolsky@nuph.edu.ua)

**Babenko M. M.**, Candidate of Pharmacy (Ph.D.), associate professor of the Organization and Economics of Pharmacy Department, Bogomolets National Medical University, director of the State Expert Center of the Ministry of Health of Ukraine (<https://orcid.org/0009-0003-7123-4664>). E-mail: [babenko.mi@gmail.com](mailto:babenko.mi@gmail.com)

**Koba T. M.**, postgraduate student of the Organization and Economics of Pharmacy Department, National University of Pharmacy, Ministry of Health of Ukraine (<http://orcid.org/0009-0000-5557-8430>). E-mail: [tkobakmda@gmail.com](mailto:tkobakmda@gmail.com)

Надійшла до редакції 05.03.2024 р.