

# ОРГАНІЗАЦІЯ ОХОРОНИ ЗДОРОВ'Я

Рекомендована д. фарм. н., доцентом Л. В. Галій

УДК 616:340.136

## ДОСЛІДЖЕННЯ СУЧАСНОГО СТАНУ ДЕРЖАВНОГО РЕГУЛЮВАННЯ МЕДИКО-ФАРМАЦЕВТИЧНОГО ЗАБЕЗПЕЧЕННЯ ХВОРИХ НА ОРФАННІ ЗАХВОРЮВАННЯ В УКРАЇНІ

А. А. Котвіцька, А. В. Черкашина

Національний фармацевтичний університет, м. Харків. E-mail: socpharm@nuph.edu.ua

Необхідною умовою належного рівня медико-фармацевтичного забезпечення хворих на орфанні захворювання (ОЗ) в Україні є наявність державного регулювання та сформованої нормативно-правової бази, що зумовило обрану тематику дослідження. За результатами аналізу встановлено, що надання медико-фармацевтичної допомоги хворим регламентується 9 основними нормативно-правовими актами: 2 законами, 2 постановами, 1 розпорядженням і 4 наказами. Серед головних здобутків у регулюванні медико-фармацевтичного забезпечення хворих на ОЗ в Україні можна виділити затвердження порядку довічного забезпечення хворих ЛЗ і продуктами лікувального харчування, затвердження номенклатури ЛЗ для централізованого забезпечення 9 нозологій, спрощення порядку державної реєстрації та визначення порядку ввезення на територію України незареєстрованих ЛЗ для лікування ОЗ. Практична цінність статті полягає в аналізі й систематизації чинної нормативно-правової бази щодо питань медико-фармацевтичного забезпечення хворих на ОЗ в Україні, визначенні головних досягнень та окресленні напрямків, які потребують додаткового законодавчого врегулювання з боку державних органів влади.

**Ключові слова:** орфанні (рідкісні) захворювання, державне регулювання, нормативно-правова база

**Постанова проблеми.** Орфанні захворювання (ОЗ) – рідкісні вроджені чи набуті захворювання, що характеризуються тяжким, хронічним, прогресуючим перебігом, супроводжуються формуванням дегенеративних змін в організмі, зниженням якості та скороченням тривалості життя хворих і навіть становлять загрозу для їх життя [1, 5].

Єдиний підхід як до визначення ОЗ, так і до рівня поширеності захворювання

в популяції, при якому його починають вважати рідкісним, відсутній. Захворювання може бути рідкісним в одній країні або частині світу, але при цьому часто зустрічатися в іншій, а поріг віднесення захворювання до рідкісного широко варіює по регіонах. Наприклад, у Російській Федерації ОЗ вважають патологічний стан, в якому перебуває 1 людина з 10000 населення країни, в Японії – 1 з 2500, в Австралії – 1 з 2000, в США – 1 з 1500. В Україні захворювання вважається рідкісним, якщо його поширеність становить не більш ніж 1 випадок на 2000 населення країни (зазначена норма була прийнята країнами Європейського Союзу (ЄС) у 1999 р.) [2-5, 7].

**А. А. Котвіцька** – доктор фарм. наук, професор, перший проректор з науково-педагогічної роботи Національного фармацевтичного університету (м. Харків)

Європейським комітетом експертів із рідкісних захворювань (EUCERD) на сьогодні вже ідентифіковано близько 8000 нозологічних форм ОЗ, а у світі щотижня описується приблизно 5 нових патологічних станів, однак лише 250 з них мають свій шифр у Міжнародному класифікаторі хвороб (МКХ-10). Кожне ОЗ окремо вважається рідкісним, при цьому, за епідеміологічними даними, від 6 до 8% сукупного населення країн-членів ЄС страждають на рідкісні захворювання, а їх загальна кількість складає від 27 до 36 млн хворих [6].

Одним із найважливіших соціально-економічних наслідків ОЗ є втрата працездатності хворими, що починається на ранній стадії розвитку ОЗ і стає довічною проблемою. За даними Європейського альянсу організацій хворих на ОЗ (EURORDIS), 2 із 3 нозологій виявляються у ранньому дитячому віці, у 65% випадків вони мають тяжкий перебіг з подальшою інвалідизацією, у 50% – погіршений прогноз для життя, в 35% є причиною смерті протягом 1-го року життя, в 10% – у віці 1-5 років, у 12% – у віці 5-15 років [7].

**Аналіз останніх досліджень і публікацій.** Проблема рідкісних ОЗ в Україні визнана на державному рівні лише в 2014 році, до цього періоду питаннями забезпечення хворих на ОЗ в Україні займалися переважно громадські спілки, асоціації хворих та благодійні фонди.

**Виділення не вирішених раніше частин загальної проблеми.** На підставі вищезазначеного ОЗ можна з упевненістю називати однією з найважливіших медико-соціальних проблем сучасності, вирішення якої потребує державного регулювання й розробки комплексних підходів до організації та надання всебічної (соціальної, медичної, фармацевтичної, психологічної) допомоги хворим на всіх рівнях, насамперед на загальнодержавному, шляхом розробки відповідної нормативно-правової бази.

**Формулювання цілей статті.** Метою цієї роботи стало дослідження сучасного стану державного регулювання медико-фармацевтичного забезпечення хворих на ОЗ в Україні шляхом аналізу нормативно-правової бази, що існує на сьогодні в нашій країні.

**Викладення основного матеріалу дослідження.** Право кожного громадянина на охорону здоров'я та медичну допомогу задекларовано основним нормативно-правовим актом (НПА) України – Конституцією (ст. 49), яка має вищу юридичну силу в ієрархічній системі, а створення умов для ефективного і доступного медичного обслуговування для всіх громадян, зокрема хворих на рідкісні ОЗ, є обов'язком держави.

Проблема рідкісних ОЗ в Україні визнана на державному рівні лише в 2014 році з прийняттям закону «Про внесення змін до Основ законодавства України про охорону здоров'я щодо забезпечення профілактики та лікування рідкісних (орфанних) захворювань» від 15.04.2014 р. № 1213-VII. Разом з тим необхідно зазначити, що термін «орфанні хвороби» або «хвороби-сироти» уведений в обіг ще у 1983 році («Orphan Drug Act», USA) [3].

Як відомо, робота зі стимулювання державних органів до створення нормативно-правової бази з медико-фармацевтичного забезпечення хворих на ОЗ в Україні проводилася різноманітними науковими організаціями, громадськими спілками, асоціаціями хворих та благодійними фондами протягом останнього десятиріччя, однак уперше проблему ОЗ у нашій країні було визнано на державному рівні з прийняттям наказу МОЗ України «Про затвердження Концептуальних засад щодо створення системи надання комплексної допомоги дітям, хворим на рідкісні захворювання в Україні» від 30.07.2012 р. № 574 [4].

Аналіз чинної законодавчої бази щодо забезпечення хворих на ОЗ представлений у таблиці.

За результатами проведеного аналізу НПА можна відзначити наявність низки досягнень у регулюванні медико-фармацевтичного забезпечення хворих, зокрема:

- упорядкування поняття «орфанне захворювання»;
- затвердження реєстру ОЗ;
- декларування обов'язків держави та центрального органу виконавчої влади щодо профілактики та лікування ОЗ;
- затвердження прав хворих ОЗ на безперебійне та безоплатне забезпечення

Таблиця

**НОРМАТИВНО-ПРАВОВА БАЗА З НАДАННЯ МЕДИКО-ФАРМАЦЕВТИЧНОГО ЗАБЕЗПЕЧЕННЯ ХВОРИХ НА ОРФАННІ ЗАХВОРЮВАННЯ В УКРАЇНІ**

Нормативно-правовий акт	Основні положення
1	2
<p>Закон ВР України «Про внесення змін до Основ законодавства України про охорону здоров'я щодо забезпечення профілактики та лікування рідкісних (орфанних) захворювань» від 15.04.2014 р. № 1213-VII (<i>набув чинності 01.01.2015 р.</i>)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• визначено термін «рідкісне (орфанне) захворювання»;</li> <li>• задекларовано обов'язки держави та центрального органу виконавчої влади щодо профілактики та лікування рідкісних захворювань:               <ul style="list-style-type: none"> <li>– визначення та затвердження переліку ОЗ;</li> <li>– забезпечення створення та ведення державного реєстру хворих;</li> <li>– визначення заходів, необхідних для забезпечення профілактики ОЗ;</li> <li>– встановлення порядку надання медичної допомоги хворим на ОЗ;</li> </ul> </li> <li>• затверджено права хворих ОЗ на безперобійне та безоплатне забезпечення необхідними для лікування лікарськими засобами (ЛЗ) та відповідними харчовими продуктами для спеціального дієтичного споживання</li> </ul>
<p>Закон ВР України «Про внесення змін до Закону України «Про лікарські засоби» щодо удосконалення порядку забезпечення населення лікарськими засобами, призначеними для лікування соціально небезпечних і тяжких хвороб» від 12.08.2014 р. № 1637-VII</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• затверджено перелік матеріалів, необхідних для державної реєстрації ЛЗ, призначених виключно для лікування ОЗ, які зареєстровані компетентними органами США, Швейцарії, Японії, Австралії, Канади або країн ЄС як ЛЗ;</li> <li>• визначено термін прийняття рішення про реєстрацію або відмову в реєстрації ЛЗ для лікування ОЗ;</li> <li>• визначено підстави для відмови в державній реєстрації ЛЗ, призначеного для лікування ОЗ;</li> <li>• визначено порядок увезення на митну територію України незареєстрованих ЛЗ, розроблених виключно для лікування ОЗ, які в установленому порядку допущені до застосування на території США або держав – членів ЄС</li> </ul>
<p>Постанова КМУ «Про внесення змін до Порядку державної реєстрації (перереєстрації) лікарських засобів» від 18.03.2015 р. № 125</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• затверджено спрощений порядок державної реєстрації ЛЗ, призначених виключно для лікування ОЗ, які зареєстровані компетентними органами США, Швейцарії, Японії, Австралії, Канади або країн ЄС як ЛЗ;</li> <li>• затверджено перелік документів та матеріалів, необхідних для спрощеного порядку державної реєстрації ЛЗ, призначених виключно для лікування ОЗ;</li> <li>• зменшено граничний термін щодо прийняття рішення про реєстрацію або відмову в реєстрації ЛЗ для лікування ОЗ із 1 місяця до 7 робочих днів;</li> <li>• визначено термін видачі реєстраційного посвідчення, який складає 10 днів після прийняття рішення про державну реєстрацію;</li> <li>• визначено підстави для відмови в державній реєстрації ЛЗ, призначеного виключно для лікування ОЗ, за спрощеною процедурою;</li> <li>• визначено порядок і строки перереєстрації, а також встановлено безстроковість застосування перереєстрованих ЛЗ в Україні</li> </ul>

1	2
<p>Постанова КМУ «Про затвердження Порядку забезпечення громадян, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, лікарськими засобами та відповідними харчовими продуктами для спеціального дієтичного споживання» від 31.03.2015 р. № 160</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• затверджено порядок забезпечення хворих на ОЗ, яким визначено:               <ul style="list-style-type: none"> <li>– механізм безперебійного і безоплатного забезпечення хворих ЛЗ та відповідними харчовими продуктами для спеціального дієтичного споживання;</li> <li>– джерела фінансування;</li> <li>– повноваження комісії МОЗ та місцевих комісій щодо прийняття рішення про необхідність забезпечення хворих на ОЗ;</li> <li>– відповідальність місцевих закладів охорони здоров'я за забезпечення громадян, хворих на ОЗ;</li> <li>– повноваження МОЗ щодо контролю забезпечення хворих на ОЗ;</li> </ul> </li> <li>• відповідальні за звітність органи, а також порядок і періодичність надання звітної інформації до МОЗ;</li> <li>• встановлено повноваження МОЗ і МФУ щодо планування витратів на здійснення заходів із безперебійного і безоплатного забезпечення хворих на ОЗ;</li> <li>• встановлено повноваження обласних та Київської міської адміністрацій щодо розробки та затвердження заходів із забезпечення громадян, які страждають на ОЗ, а також планування витратів на фінансування зазначених заходів</li> <li>• визначено обсяги державного фінансування на забезпечення ЛЗ та лікувальним харчуванням дітей, хворих на ОЗ:               <ul style="list-style-type: none"> <li>– первинний (уроджений) імунodefіцит – 962,8 тис. грн;</li> <li>– муковісцидоз – 896,1 тис. грн;</li> <li>– фенілкетонурию (до 3 років) – 5598,3 тис. грн;</li> <li>– хворобу Гоше – 15322,9 тис. грн.;</li> <li>– гемофілію типів А, В, хворобу Віллебранда – 53369,9 тис. грн;</li> <li>– нанизм різного походження – 27822,4 тис. грн.;</li> <li>– мукополісахаридоз – 37241,4 тис. грн.;</li> <li>– ювенільний ревматоїдний артрит – 16054 тис. грн.;</li> </ul> </li> <li>• визначено обсяги державного фінансування на забезпечення масового скринінгу новонароджених на: фенілкетонурию, гіпотиреоз, адреногенітальний синдром та муковісцидоз – 21925,4 тис. грн</li> </ul>
<p>Наказ МОЗ «Про затвердження положення про комісію для визначення необхідності в призначенні, відміні, перерозподілі лікарських засобів та відповідних харчових продуктів для спеціального дієтичного споживання, що закуповуються за рахунок коштів державного бюджету, а також інших джерел, не заборонених законодавством, у тому числі гуманітарної допомоги, громадянам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання» від 05.02.2015 р. № 50</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• визначено організаційні аспекти роботи та діяльність комісії з визначення необхідності у забезпеченні, продовженні або припиненні забезпечення хворих на ОЗ ЛЗ та відповідними харчовими продуктами для спеціального дієтичного споживання;</li> <li>• затверджено порядок формування підкомісії;</li> <li>• визначено головні принципи діяльності комісії та підкомісії (законність, колегіальність, повнота розгляду наданих документів, обґрунтованість прийнятих рішень, незалежність та компетентність членів комісії);</li> <li>• визначено основні завдання комісії (підкомісії);</li> <li>• визначено основні права та обов'язки комісії (підкомісії);</li> <li>• визначено склад та порядок роботи комісії (підкомісії);</li> <li>• затверджено перелік документів, наявність яких є підставою для розгляду питання щодо забезпечення хворих на ОЗ громадян</li> </ul>

## Закінчення таблиці

1	2
<p>Наказ МОЗ «Про затвердження номенклатури лікарських засобів, виробів медичних, обладнання та інших товарів, робіт, послуг, що закуповуватимуться на виконання державних цілових програм та комплексних заходів програмного характеру МОЗ України за державні кошти» від 01.07.2015 р. № 400 (зі змінами, внесеними згідно з наказом МОЗ від 20.07.2015 р. № 446)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• затверджено номенклатуру ЛЗ та продуктів лікувального харчування (на виконання Національного плану дій щодо реалізації Конвенції ООН про права дитини) для централізованого забезпечення дітей, хворих на:               <ul style="list-style-type: none"> <li>– хворобу Гоше;</li> <li>– нанізм різного походження;</li> <li>– муковісцидоз;</li> <li>– мукополісахаридоз;</li> <li>– фенілкетонурію;</li> <li>– резистентну форму ювенільного ревматоїдного артриту;</li> <li>– інші орфанні захворювання (хвороба Помпе, хвороба Фабрі, тирозинемія);</li> </ul> </li> <li>• затверджено номенклатуру реактивів для скринінгу новонароджених на фенілкетонурію та вроджений гіпотиреоз, тест-систем для скринінгу новонароджених на муковісцидоз для централізованої закупівлі</li> </ul>
<p>Наказ МОЗ «Про затвердження Концептуальних засад щодо створення системи надання комплексної допомоги дітям, хворим на рідкісні захворювання в Україні» від 30.07.2012 р. № 574 (зі змінами, внесеними згідно з наказом МОЗ від 04.09.2012 р. № 691)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• визначено проблему ОЗ в Україні (на прикладі хвороби Гоше);</li> <li>• запропоновано шляхи та способи розв'язання проблеми ОЗ</li> </ul>
<p>Наказ МОЗ «Про затвердження переліку рідкісних (орфанних) захворювань» від 27.10.2014 р. № 778 (набув чинності 01.01.2015 р.)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• затверджено перелік, який містить 171 рідкісне захворювання (із зазначенням кодів МКХ-10), що призводять до скорочення тривалості життя хворих або їх інвалідизації й для яких існують визнані методи лікування</li> </ul>

ЛЗ та продуктами лікувального харчування;

- розроблення порядку довічного забезпечення хворих на ОЗ ЛЗ та продуктами лікувального харчування;
- затвердження номенклатури ЛЗ та продуктів лікувального харчування для централізованого забезпечення дітей, хворих на 9 нозологій;
- створення спеціальної комісії з питань забезпечення життя хворих на ОЗ;
- спрощення порядку державної реєстрації ЛЗ, призначених для лікування ОЗ;
- визначення порядку ввезення на митну територію України незареєстрованих ЛЗ для лікування ОЗ;
- збільшення державного фінансування на ЛЗ і лікувальне харчування для дітей, хворих на ОЗ (часткове забезпечення 9 нозологій).

Однак, незважаючи на досягнення, залишається низка нерегульованих державою питань щодо медико-фармацевтичного забезпечення хворих на ОЗ в Україні. Серед головних напрямків допомоги хворим можна відзначити такі:

- розробка Національної програми з ОЗ, що включатиме питання медико-соціальної і фармацевтичної допомоги хворим;
- адаптація чинного законодавства України до європейських норм і розробка відповідних нормативних документів (протоколи лікування, клінічні настанови);
- створення Національного реєстру хворих на ОЗ;
- збір та узагальнення статистичної інформації про частоту та спектр ОЗ в Україні;
- підвищення фізичної доступності орфанних препаратів шляхом стимулювання та заохочення іноземних виробників, надання їм пільг (звільнення від 7% митного збору, надання подовжених та ексклюзивних прав на продаж препарату протягом 10-15 років);
- підвищення економічної доступності для споживачів шляхом створення переліку орфанних препаратів та встановлення граничного рівня постачальницько-збутової торгової націнки;
- розвиток національної і міжнародної співпраці в галузі діагностики, лікування і профілактики ОЗ, підготовка компетентних фахівців;

- підвищення рівня обізнаності лікарів і пацієнтів про ОЗ.

#### **Висновки**

1. Досліджено сучасний стан державного регулювання медико-фармацевтичного забезпечення хворих на ОЗ в Україні, встановлено, що нормативно-правова база представлена 9 основними нормативно-правовими актами: 2 законами Верховної Ради, 2 постановами та 1 розпорядженням Кабінету Міністрів, 4 наказами Міністерства охорони здоров'я.

2. Визначено основні здобутки у регулюванні медико-фармацевтичного забезпечення хворих на ОЗ в Україні шляхом аналізу чинної законодавчої бази, зокрема: затвердження порядку довічного забезпечення хворих ЛЗ та продуктами лікувального харчування, затвердження номенклатури ЛЗ для централізованого забезпечення 9 нозологій, створення спеціальної комісії з питань забезпечення життя хворих на ОЗ, спрощення порядку державної реєстрації та визначення порядку ввезення на територію України незареєстрованих ЛЗ для лікування ОЗ.

3. Визначено напрямки удосконалення медико-фармацевтичного забезпечення хворих на ОЗ, які потребують державного регулювання в Україні, зокрема: розробка Національної програми з ОЗ, створення Національного реєстру хворих, підвищення фізичної та економічної доступності орфанних препаратів для хворих, підвищення рівня обізнаності лікарів і пацієнтів про ОЗ.

#### **ПЕРЕЛІК ВИКОРИСТАНИХ ДЖЕРЕЛ ІНФОРМАЦІЇ**

1. Концепція створення якісної системи надання допомоги хворим на рідкісні (орфанні) захворювання в Україні / Р. В. Богатирьова, О. Я. Гречанина, Р. А. Моїсеєнко та ін. // Клінічна генетика й пренатальна діагностика. – 2012. – № 1 (1). – С. 10-14.
2. Літвінова О. В. Аналіз особливостей патентно-інноваційної стратегії при створенні орфанних препаратів / О. В. Літвінова // Фармацевтичний часопис. – 2015. – № 2. – С. 76-81.
3. Офіційний веб-портал Верховної Ради України [Електронний ресурс]. – Режим доступу : URL : <http://zakon4.rada.gov.ua/>. – Верховна Рада України.

4. Офіційний веб-сайт Міністерства охорони здоров'я України [Електронний ресурс]. – Режим доступу : URL : <http://www.moz.gov.ua/>. – Міністерство охорони здоров'я України.
5. Проблеми орфанних хвороб / І. Д. Шкробанець, І. В. Ластівка, М. І. Поліщук та ін. // Неонатологія, хірургія та перинатальна медицина. – 2013. – № 2 (8). – С. 19-24.
6. EUCERD [Електронний ресурс]. – Режим доступу: <http://www.eucerd.eu/>. – European Union Committee of Experts on Rare Diseases.
7. EURORDIS [Електронний ресурс]. – Режим доступу: <http://www.eurordis.org/promoting-orphan-drug-development>. – Rare Diseases Europe.
1. Bogatyryova R., Grechanina O., Moiseyenko R. Clinical genetics and prenatal diagnosis. 2012; 1(1): 10-14.
2. Litvinova O. Analiz osoblyvostey patentno-innovatsiynoi stratehii pry stvorenni orfanykh preparativ. Farmatsevtichnyy chasopys. 2015; 34(2): 76-81.
3. Official web portal of the Verkhovna Rada of Ukraine [Internet]. – Available from: URL : <http://zakon4.rada.gov.ua/>. – Verkhovna Rada of Ukraine.
4. Official web portal of the Ministry of Health of Ukraine [Internet]. – Available from: URL : <http://www.moz.gov.ua/>. – Ministry of Health of Ukraine.
5. Shkrobanets I., Lastivka I., Polishchuk M. Problems of orphan diseases. Neonatology, surgery and perinatal medicine. 2013; 8(2): 19-24
6. EUCERD [Internet]. – Available from: <http://www.eucerd.eu/>. – European Union Committee of Experts on Rare Diseases.
7. EURORDIS [Internet]. – Available from: <http://www.eurordis.org/promoting-orphan-drug-development>. – Rare Diseases Europe.

#### REFERENCES

УДК 616:340.136

**ИССЛЕДОВАНИЕ СОВРЕМЕННОГО СОСТОЯНИЯ ГОСУДАРСТВЕННОГО РЕГУЛИРОВАНИЯ МЕДИКО-ФАРМАЦЕВТИЧЕСКОГО ОБЕСПЕЧЕНИЯ БОЛЬНЫХ ОРФАННЫМИ ЗАБОЛЕВАНИЯМИ В УКРАИНЕ****А. А. Котвицкая, А. В. Черкашина**

Необходимым условием надлежащего уровня медико-фармацевтического обеспечения больных орфанными заболеваниями (ОЗ) в Украине является наличие государственного регулирования и сформированной нормативно-правовой базы, что обусловило выбранную тематику исследования. В результате анализа установлено, что предоставление медико-фармацевтической помощи больным регламентируется 9 основными нормативно-правовыми актами: 2 законами, 2 постановлениями, 1 распоряжением и 4 приказами. Среди главных достижений регулирования медико-фармацевтического обеспечения больных ОЗ в Украине можно выделить утверждение порядка пожизненного обеспечения больных ЛС и продуктами лечебного питания, утверждение номенклатуры ЛС для централизованного обеспечения 9 нозологий, упрощение порядка государственной регистрации и определение процедуры ввоза на территорию Украины незарегистрированных ЛС для лечения ОЗ. Практическая ценность статьи заключается в анализе и систематизации действующей нормативно-правовой базы по вопросам медико-фармацевтического обеспечения больных ОЗ в Украине, установлении главных достижений и определении направлений, требующих дополнительного законодательного регулирования со стороны государственных органов власти.

**Ключевые слова:** орфанные (редкие) заболевания, государственное регулирование, нормативно-правовая база.

UDC 616:340.136

**THE STUDY OF THE CURRENT STATUS OF THE STATE REGULATION OF MEDICAL AND PHARMACEUTICAL PROVIDING OF PATIENTS WITH ORPHAN DISEASES IN UKRAINE****A. A. Kotvitska, A. V. Cherkashyna**

The necessary condition for an appropriate level of medical and pharmaceutical providing of patients with orphan diseases (OD) in Ukraine is the presence of the state regulation and the legal and regulatory framework created. It determined the choice of the area of research. As a result of the analysis it has been determined that providing of medical and pharmaceutical care to patients is regulated by 9 main normative legal acts: 2 laws, 2 resolutions, 1 instruction and 4 orders. The main achievements of the regulation of medical and pharmaceutical providing of patients with orphan diseases in Ukraine are the following: confirmation of the order of the lifelong providing of patients with medicines and medical food, approval of the nomenclature of medicines for the centralized providing of 9 nosologies, simplification of the order of the state registration and determination of the procedure of import of the unregistered medicines for OD treatment to the territory of Ukraine. The practical value of the article consists in the analysis and systematization of the current legal and regulatory framework concerning medical and pharmaceutical providing of medicines to patients with OD in Ukraine, determination of the main achievements and directions that require additional legal response from the public authorities.

**Key words:** orphan (rare) diseases, government regulation, legal and regulatory framework.