

За межами дитинства: чому доступ до лікування СМА в Україні залишається «лотереєю» залежно від віку?

Наше дослідження показало просту, але тривожну закономірність: в Україні доступ до лікування СМА визначається не лише медичними показаннями. Після досягнення повноліття шанси пацієнта на безперервне отримання терапії суттєво зменшуються, а місце проживання дедалі частіше визначає стабільність лікування не менше, ніж клінічний стан.

За останнє десятиліття спінальна м'язова атрофія (СМА) перестала бути безальтернативним вироком. Генетичні та патогенетичні терапії докорінно змінили природний перебіг захворювання, дозволяючи людям жити довше, зберігати рухові функції та планувати майбутнє. Проте в Україні доступ до цих досягнень досі визначається не лише клінічними показаннями, а й віком пацієнта. Для багатьох людей із СМА повноліття означає не новий етап життя, а ризик втрати безперервності лікування.

Щороку серпень об'єднує світову спільноту навколо Місяця поширення інформації про СМА. Це час, коли говорять про прориви науки та нові можливості для пацієнтів. Однак для української спільноти дорослих пацієнтів цей місяць залишається нагадуванням про іншу реальність: навіть за наявності сучасних препаратів шлях до них нерідко перетворюється на терапевтичну одісею, а безперервність лікування залежить не лише від медичних показань, а й від віку та місця проживання.

В основу цієї аналітики покладено результати реєстр-орієнтованого дослідження, що поєднало дані Українського реєстру пацієнтів зі СМА зі стандартизованим онлайн-опитуванням пацієнтів та членів їхніх родин. До аналізу увійшли 92 валідні анкети, які представляють понад половину (53,8%) активних користувачів реєстру, що перебувають в Україні. Верифікація відповідей із даними реєстру дала змогу мінімізувати помилки самоідентифікації та забезпечити високу достовірність отриманих результатів. Такий підхід дозволяє оцінити не лише формальне існування державних програм, а й те, як вони працюють у реальному житті людей із СМА — від призначення терапії до її фактичного безперервного отримання.

Коли медичний прогрес випереджає систему охорони здоров'я

Історично увага клініцистів і державної політики щодо СМА була зосереджена переважно на дітях. Найважчі форми захворювання в немовлят визначали пріоритети розвитку медичної допомоги, тоді як дорослі пацієнти тривалий час залишалися майже невидимими для системи.

Однак розвиток терапії змінив саму природу захворювання. Діти виростають. Пацієнти з легшими та помірними формами дедалі частіше досягають зрілого віку. Разом із цим виникла нова когорта людей, для яких лікування має бути безперервним протягом усього життя. Саме до такої моделі українська система охорони здоров'я виявилася недостатньо готовою.

Для орфанних захворювань доступ до лікування — це не одноразове рішення про закупівлю препарату. Це безперервний процес, що включає своєчасну діагностику, гарантоване фінансування, стабільну логістику та зрозумілу транзицію пацієнта з дитячої служби до дорослої. Якщо руйнується хоча б одна з цих ланок, людина залишається включеною до програми лише формально, змушена самостійно координувати власне лікування.

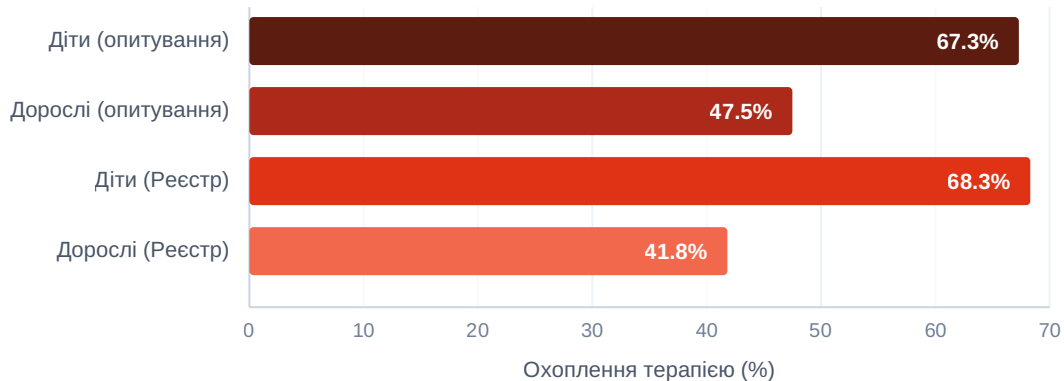
«Наука стає справедливою лише тоді, коли вона безперешкодно доходить до кожної конкретної людини, незалежно від її віку чи географічного розташування. У контексті прогресуючих нервово-м'язових захворювань будь-яка затримка постачання означає не просто тимчасову незручність — вона призводить до незворотної втрати рухових функцій.»

Генераційний розрив, який підтверджують дані

Порівняння результатів анкетування з даними Українського реєстру пацієнтів зі СМА підтвердило високу репрезентативність дослідження та дозволило оцінити situation не лише на рівні окремих історій, а й на рівні всієї пацієнтської спільноти.

Результати демонструють чіткий віковий розрив у доступі до патогенетичної терапії. За результатами верифікації опитування лікування отримують 67,3% дітей, тоді як серед дорослих цей показник становить лише 47,5%. Аналогічну тенденцію підтверджує і структура самого Реєстру, де охоплення терапією становить 68,3% серед дітей та лише 41,8% серед дорослих.

Охоплення патогенетичною терапією пацієнтів із СМА в Україні (%)



Ці цифри відображають модель охорони здоров'я, у якій пріоритет історично надавався педіатричній допомозі. Водночас відсутність чітких механізмів фінансування дорослої когорти призводить до того, що після досягнення повноліття багато пацієнтів фактично змушені заново доводити своє право на продовження лікування.

«Паперовий доступ» не гарантує лікування

Навіть офіційне призначення препарату не означає безперервності терапії. Дослідження виявило ще одну критичну проблему: кожен другий дорослий респондент (50,0%) повідомив про регулярні затримки або перебої у забезпеченні черговими дозами препаратів. Для порівняння, серед дітей про такі труднощі повідомили лише близько 12% опитаних.

Для патогенетичної терапії СМА це не просто адміністративна проблема. Кожна затримка створює ризик незворотної втрати моторних функцій, відновити які сучасна медицина вже не здатна.

Ситуацію додатково ускладнює нерівномірність регіонального фінансування та організації постачання лікарських засобів, що формує території із хронічними перебоями у забезпеченні лікування.

Пацієнтський реєстр як незалежний аудит системи охорони здоров'я

Традиційно пацієнтські організації сприймаються як джерело особистих історій та адвокаційних кампаній. Проте сучасні пацієнтські реєстри виконують значно ширшу функцію. Вони стають незалежним джерелом доказових даних, здатним оцінювати ефективність державної політики там, де офіційна статистика відображає лише адміністративні показники.

Український реєстр пацієнтів зі СМА у поєднанні зі стандартизованими онлайн-опитуваннями фактично виконує роль незалежного аудиту системи охорони здоров'я. Він дозволяє оцінити не лише факт закупівлі лікарських засобів, а й їхню реальну доступність для конкретного пацієнта.

Вкотре результати реєстру оголюють розрив між задекларованими державою гарантіями та реальним життям пацієнтів. Формальне включення препарату до державної програми ще не означає його своєчасного отримання, а право на лікування не завжди перетворюється на його безперервність.

Верифікація відповідей із даними реєстру дозволила усунути помилки самоідентифікації та забезпечити високу достовірність отриманих результатів. Це підтверджує, що пацієнтські реєстри є не лише джерелом епідеміологічної інформації, а й ефективним інструментом оцінки результативності державної політики у сфері орфанних захворювань.

Час розірвати коло нерівності

Проблема більше не полягає у відсутності ефективного лікування СМА. Проблема полягає у відсутності системи, здатної гарантувати його безперервне отримання протягом усього життя пацієнта.

Результати дослідження є чітким сигналом для українських інституцій про необхідність перегляду чинної моделі забезпечення орфанною допомогою.

Першочерговими кроками мають стати:

1. застосування прозорих механізмів фінансової та медичної спадкоємності між дитячою та дорослою ланками охорони здоров'я, що виключає переривання терапевтичного та діагностичного супроводу;
2. врегулювання механізмів державної політики централізованих закупівель, що унеможливить перебої із забезпеченням препаратами незалежно від регіону проживання пацієнта.

Науковий прогрес зробив лікування СМА реальністю. Наступний виклик — зробити його однаково доступним для кожної людини незалежно від віку та місця проживання. Доки цього не сталося, пацієнтські реєстри залишатимуться одним із найточніших незалежних індикаторів того, наскільки державна політика відповідає власним задекларованим гарантіям. Адже ефективність системи охорони здоров'я вимірюється не кількістю закуплених препаратів, а кількістю людей, які безперервно їх отримують.

Експертна аналітика на основі даних реальної клінічної практики

Матеріал підготовлено в межах моніторингу доступності орфанної допомоги. Для аналізу ефективності механізмів забезпечення лікарськими засобами використано методологічне поєднання незалежного пацієнтського реєстру та стандартизованого онлайн-опитування, що дозволило оцінити реальну доступність терапії для пацієнтів зі СМА в Україні.
