

Погляд Європейського товариства муковісцидозу на покращення допомоги людям із муковісцидозом у світі

Джейн К. Девіс, Егіл Баккехейм, Одрі Шансар, Павел Древінек, Крістін Дюбуа, Джесс Меттьюз, Марта Шеремет, Кріс Сміт

Анотація

Вступ

За останні десятиліття результати лікування людей із муковісцидозом значно покращилися. Водночас це призвело до зростання нерівності між країнами з високим рівнем доходу та добре розвиненими системами охорони здоров'я і країнами з низьким та середнім рівнем доходу. Ця нерівність охоплює всі етапи надання допомоги — від програм неонатального скринінгу, доступності сучасної діагностики та генетичного тестування до забезпечення пацієнтів стандартною терапією.

Методи та результати

У статті описано основні міжнародні ініціативи Європейського товариства муковісцидозу (ECFS), зокрема:

- Європейський реєстр пацієнтів із муковісцидозом;
- програму **Twinning**, яка об'єднує центри муковісцидозу з різних країн для професійного наставництва та співпраці;
- освітню програму ECFS.

Висновки

Європейське товариство муковісцидозу визнає нерівність у доступі до медичної допомоги однією з найважливіших проблем сучасності та через свої програми прагне підтримувати лікарів, пацієнтів і родини в країнах із низьким та середнім рівнем доходу.

1. Вступ

Сьогодні добре відомо, що муковісцидоз зустрічається в усіх регіонах світу. Проте досі поширеним залишається твердження, що це «найпоширеніше спадкове захворювання серед людей європеоїдної раси». Таке формулювання підтримує хибне уявлення, ніби муковісцидоз не трапляється серед представників інших етнічних груп.

Саме ця помилкова думка стала однією з причин того, що в багатьох країнах захворювання довго залишалося нерозпізнаним або діагностувалося із запізненням, що безпосередньо впливало на прогноз життя пацієнтів.

Цей спеціальний випуск журналу має на меті ще раз підкреслити: **муковісцидоз є захворюванням, яке може виникати у людей будь-якого походження, незалежно від етнічної приналежності чи країни проживання.**

Багато країн із низьким та середнім рівнем доходу стикаються із серйозними труднощами в організації якісної допомоги людям із муковісцидозом. До основних проблем належать:

- недостатнє фінансування системи охорони здоров'я;
- наявність інших пріоритетних медичних і соціально-економічних проблем;
- фрагментованість систем охорони здоров'я;
- географічні бар'єри, що ускладнюють доступ пацієнтів до спеціалізованих центрів.

Крім того, існують специфічні труднощі, характерні саме для муковісцидозу:

- низька обізнаність лікарів щодо клінічних проявів захворювання;
- відсутність програм неонатального скринінгу;
- недостатня кількість обладнання для проведення потових проб;
- обмежений доступ до генетичної діагностики;
- надзвичайно висока вартість лікарських засобів, яка для багатьох країн залишається непосильною.

У цій статті автори, спираючись на досвід роботи в Європейському товаристві муковісцидозу (ECFS), демонструють, як професійні наукові та медичні організації можуть сприяти покращенню допомоги людям із муковісцидозом у різних країнах світу.

Стаття ґрунтується на практичному досвіді авторів як керівників програм ECFS, а також на сучасних наукових публікаціях, присвячених глобальній нерівності у наданні допомоги пацієнтам із муковісцидозом. У ній представлено міжнародні ініціативи ECFS, результати яких уже підтверджені

практикою, а також визначено напрями, що потребують подальшого розвитку.

Європейське товариство муковісцидозу (ECFS)

Європейське товариство муковісцидозу (European Cystic Fibrosis Society, **ECFS**) — це міжнародна спільнота науковців і медичних фахівців, яка об'єднує експертів, відданих покращенню тривалості та якості життя людей із муковісцидозом. Свою місію Товариство реалізує шляхом розвитку наукових досліджень, освіти та впровадження високих стандартів медичної допомоги.

Членами ECFS можуть бути не лише медичні працівники та науковці, а й пацієнтські організації, люди, які живуть із муковісцидозом, їхні родини та представники фармацевтичної галузі.

Основними напрямками діяльності ECFS є:

- Європейська мережа клінічних досліджень (Clinical Trials Network, CTN);
- Європейський реєстр пацієнтів із муковісцидозом (European CF Patient Registry);
- програма «**Стандарти медичної допомоги**» (Standards of Care);
- освітня платформа ECFS;
- видання офіційного наукового журналу **Journal of Cystic Fibrosis**.

Керівники цих програм входять до складу Правління ECFS разом із Президентом, Віцепрезидентом та обраними членами Товариства.

Міжнародна співпраця

ECFS активно співпрацює з **Cystic Fibrosis Foundation (CFF)** у Північній Америці.

Серед прикладів такої співпраці:

- фінансова підтримка Європейської мережі клінічних досліджень (CTN);
- спільна експертиза міжнародних клінічних досліджень;
- гармонізація стандартних операційних процедур;
- спільні наукові публікації на основі даних європейського та американського реєстрів пацієнтів.

Результати цих досліджень уже вплинули на розробку сучасних міжнародних клінічних рекомендацій із лікування муковісцидозу.

При ECFS працює низка спеціалізованих робочих груп (Working Groups) і груп за професійними інтересами (Special Interest Groups).

Робочі групи займаються такими напрямками:

- неонатальний скринінг;
- діагностика;
- фізична активність;
- лікування легеневих загострень;
- психічне здоров'я;
- телемедицина;
- доступ до нових методів лікування;
- сучасні клітинні моделі (епітелій дихальних шляхів та кишкові органоїди).

Окремі професійні групи представляють:

- медичних сестер;
- фармацевтів;
- дієтологів;
- фізичних терапевтів;
- фахівців із психосоціальної підтримки.

Для покращення взаємодії між усіма професіями в ECFS нещодавно було створено окрему посаду представника фахівців суміжних медичних спеціальностей у складі Правління Товариства.

Співпраця з Cystic Fibrosis Europe

ECFS тісно співпрацює з **Cystic Fibrosis Europe (CFE)** — європейською федерацією національних та регіональних пацієнтських організацій, до складу якої входять представники **39 країн**.

Основною місією CFE є:

- представлення інтересів людей із муковісцидозом та їхніх родин;
- підтримка пацієнтоорієнтованих наукових досліджень;
- сприяння впровадженню найкращих стандартів лікування;
- розвиток міжнародної співпраці між пацієнтськими організаціями.

ECFS та CFE реалізують низку спільних проєктів, серед яких:

- міжнародна програма післядипломних наукових стипендій;

- **програма Twinning**, яка підтримує центри муковісцидозу в країнах із обмеженими ресурсами.

У багатьох європейських країнах також успішно працюють національні пацієнтські організації, які підтримують людей із муковісцидозом, поширюють інформацію про захворювання, залучають пацієнтів до наукових досліджень та часто фінансують дослідницькі проєкти.

2. Подолання регіональної нерівності

Соціально-економічна нерівність між країнами Європи добре задокументована.

У великому міжнародному дослідженні, яке охопило майже **32 000 людей із муковісцидозом**, було показано, що медіана тривалості життя перевищує **50 років**. Водночас між країнами існують значні відмінності. Після врахування клінічних факторів було встановлено: **чим вищими є державні витрати на охорону здоров'я, тим нижчим є ризик смертності серед людей із муковісцидозом**.

Однак навіть ці відмінності значно менші за ті, що існують між країнами світу.

На перший погляд такі виклики можуть здаватися нездоланими й викликати відчуття безсилля. Проте автори наголошують: існує багато реальних кроків, які вже сьогодні можуть покращити життя людей із муковісцидозом та підтримати медичних працівників у різних країнах.

У статті запропоновано шість основних напрямів такої роботи:

1. освіта та обмін знаннями;
2. адвокація доступу до сучасної діагностики, мультидисциплінарної допомоги та лікування;
3. підтримка розвитку центрів у країнах із недостатніми ресурсами;
4. розвиток досліджень та міжнародних реєстрів пацієнтів;
5. підтримка пацієнтів і їхніх родин;
6. розвиток міжнародної співпраці, інклюзивності та рівних можливостей.

2.1. Освіта та обмін знаннями

Щорічні конференції ECFS

Європейське товариство муковісцидозу щороку проводить дві міжнародні конференції.

Основна щорічна конференція об'єднує всіх членів мультидисциплінарної команди: лікарів, медичних сестер, фізичних терапевтів, дієтологів, психологів, науковців, представників пацієнтських організацій, а також фармацевтичної та медичної індустрії. Програма включає наукові симпозиуми, усні доповіді та постерні презентації нових досліджень.

Окремо проводиться конференція, присвячена фундаментальним науковим дослідженням, яка орієнтована насамперед на молодих науковців. Вона створює можливості для професійного розвитку, наставництва та формування міжнародних дослідницьких команд.

Водночас ECFS визнає, що участь у міжнародних конференціях потребує значних фінансових витрат, які для багатьох фахівців із країн із низьким та середнім рівнем доходу є серйозною перешкодою. Саме тому частина доповідей записується та публікується на Освітній платформі ECFS, що робить сучасні знання доступними незалежно від країни проживання.

Освітня платформа ECFS (ECFS Education Platform)

Членство в ECFS, яке є значно дешевшим для представників суміжних медичних професій та пацієнтських організацій, відкриває доступ до широкого спектра навчальних матеріалів через Освітню платформу ECFS.

На відміну від міжнародних конференцій, онлайн-навчання є:

- доступнішим;
- менш затратним;
- більш гнучким;
- таким, що дозволяє навчатися у зручний час.

Саме тому електронні освітні ресурси мають особливу цінність для медичних працівників із країн із низьким рівнем доходу.

Основні цілі Освітньої платформи

ECFS поставило перед собою кілька важливих завдань.

Насамперед- створити сучасну навчальну програму (Curriculum), яка охоплюватиме всі спеціальності мультидисциплінарної команди, що працює з людьми, які мають муковісцидоз.

До цієї програми входять:

- педіатрична допомога;
- допомога дорослим пацієнтам;
- сестринська справа;
- фізична терапія;
- дієтологія;
- психологічна підтримка;
- інші спеціальності, залучені до лікування муковісцидозу.

Попередні результати створення цієї програми були представлені на Конгресі ECFS у 2023 році, а повна наукова публікація наразі проходить рецензування.

Міжнародне дослідження освітніх потреб

Щоб краще зрозуміти потреби професійної спільноти, у 2023 році ECFS провело міжнародне онлайн-опитування, яке тривало чотири місяці.

У ньому взяли участь **547 респондентів із 58 країн світу**, значна частина яких представляла країни з низьким та середнім рівнем доходу.

Опитування охопило представників різних професій мультидисциплінарної команди.

Основні результати показали:

- 34% учасників користуються онлайн-освітніми платформами щотижня;
- 37% — щомісяця;
- понад половина респондентів уже використовували Освітню платформу ECFS;
- найвищі оцінки отримали якість навчального контенту та його практична цінність.

Найбільш затребуваними форматами навчання стали:

- наукові статті;
- вебінари тривалістю від 15 до 30 хвилин.

Отримані результати стали основою для подальшого розвитку освітньої діяльності ECFS відповідно до реальних потреб міжнародної професійної спільноти.

Нові освітні ініціативи

Спираючись на результати цього дослідження, ECFS розпочало створення нових навчальних матеріалів.

Однією з найуспішніших ініціатив стала серія відкритих вебінарів.

Лише за один рік — із червня 2024 до червня 2025 року — було зареєстровано **майже 2000 підключень** до вебінарів ECFS.

Тематика вебінарів охоплювала широкий спектр питань лікування муковісцидозу та підтвердила високий інтерес міжнародної професійної спільноти до такого формату навчання.

Особливо важливо, що серед учасників були представники країн із низьким та середнім рівнем доходу, зокрема:

- Індії;
- Йорданії;
- Марокко;
- Албанії;
- Косова;
- Молдови;
- Уругваю.

Це свідчить про те, що онлайн-освіта стала ефективним інструментом поширення сучасних знань незалежно від економічних можливостей країни.

Програма Twinning

Після опису освітніх програм автори переходять до однієї з найважливіших міжнародних ініціатив ECFS — **програми Twinning**.

Саме ця програма є одним із флагманських проєктів Європейського товариства муковісцидозу та спрямована на підвищення якості медичної допомоги людям із муковісцидозом у країнах із меншими ресурсами.

Програма реалізується ECFS у партнерстві з **Cystic Fibrosis Europe** в межах програми **Standards of Care** і ґрунтується на Європейських стандартах медичної допомоги при муковісцидозі, опублікованих у 2014 році.

Саме цей документ визначив основні вимоги до роботи спеціалізованих центрів муковісцидозу та водночас окреслив труднощі, з якими стикаються країни з обмеженими економічними можливостями.

Програма Twinning

Програма **Twinning** (англ. *побратимство центрів*) є одним із флагманських проєктів Європейського товариства муковісцидозу (ECFS). Її головна мета — підвищення якості медичної допомоги людям із муковісцидозом шляхом створення довгострокових партнерств між досвідченими центрами та центрами, які потребують розвитку.

Поштовхом до створення програми стали **Європейські стандарти медичної допомоги при муковісцидозі (ECFS Standards of Care, 2014)**, які не лише визначили критерії роботи спеціалізованих центрів, а й виявили численні труднощі, з якими стикаються країни з менш розвиненою системою охорони здоров'я.

Дослідження, проведені у країнах Східної Європи, підтвердили існування стійких проблем, серед яких:

- недостатня увага держав до розвитку допомоги при муковісцидозі;
- обмежене фінансування;
- нестача медичних кадрів;
- недостатня підготовка спеціалістів;
- обмежений доступ до сучасних лікарських засобів.

Саме на подолання цих системних проблем і спрямована програма **Twinning**. Вона об'єднує високоспеціалізовані центри, що входять до **Європейської мережі клінічних досліджень ECFS (ECFS Clinical Trials Network)**, із центрами, які потребують професійної підтримки, наставництва та розвитку інфраструктури.

Розвиток програми

Програма стартувала у **2020 році з 8 партнерських пар** «ментор — центр, що розвивається».

Завдяки високій зацікавленості вже у **2024 році** вона охоплювала ще **19 нових партнерств**.

У **2025 році** програму було додатково розширено за підтримки **Cystic Fibrosis Foundation** та **Cystic Fibrosis Europe**, що дозволило залучити ще більше центрів із різних країн Європи.

Як працює Twinning

Основою програми є **довготривале партнерство** між двома центрами.

Саме тому ECFS рекомендує організовувати взаємні візити команд. Це дозволяє:

- побудувати довіру між колективами;
- краще зрозуміти особливості роботи кожного центру;
- визначити спільні цілі розвитку.

Після оцінки потреб кожного центру формується індивідуальний план співпраці.

У межах програми проводяться:

- практичні стажування;
- онлайн-навчання;
- спільний розбір клінічних випадків;
- впровадження єдиних клінічних протоколів;
- розвиток мультидисциплінарних команд;
- удосконалення допомоги дітям і дорослим із муковісцидозом.

Важливою складовою програми є також тісна співпраця з пацієнтськими організаціями обох країн, що дозволяє враховувати потреби самих пацієнтів під час розвитку системи допомоги.

Переклад освітніх матеріалів

Ще одним важливим напрямом Twinning є переклад навчальних матеріалів Освітньої платформи ECFS.

Станом на сьогодні вони вже доступні кількома мовами, серед яких:

- українська;
- румунська;
- турецька;
- албанська.

Результати цього проєкту були представлені на Конгресі ECFS у 2025 році, а робота над розширенням мовних версій триває й надалі.

Контроль ефективності

Кожне партнерство регулярно оцінюється за допомогою звітів, у яких аналізуються:

- якість комунікації між центрами;
- взаємні візити;
- проведені навчальні заходи;
- розвиток мультидисциплінарної команди;
- покращення організації допомоги на місцевому рівні.

Головна мета програми — створення сталої європейської мережі співпраці між центрами муковісцидозу та забезпечення того, щоб кожна людина, незалежно від країни проживання, мала доступ до якісної медичної допомоги.

Досвід України

У статті наведено відгук української команди після візиту до британського центру-партнера.

Українські фахівці зазначають, що участь у програмі **Twining** стала для них надзвичайно цінним професійним досвідом.

Під час стажування вони ознайомилися з найкращими практиками роботи мультидисциплінарної команди, пацієнтоорієнтованими підходами та сучасними методами лікування, які вже довели свою ефективність у покращенні якості життя людей із муковісцидозом.

Особливо цінною стала можливість безпосереднього спілкування з британськими колегами та участь у клінічних обговореннях. Українська

команда відзначає, що саме тоді вони побачили, наскільки важливою є щоденна взаємодія між представниками різних спеціальностей.

Практичні рекомендації щодо ведення складних клінічних випадків та організації довготривалого спостереження за пацієнтами вже почали впроваджуватися у їхньому центрі.

Особливе враження справив пацієнтоорієнтований підхід британських колег — їхня відкритість, уважність і партнерська взаємодія з родинами пацієнтів.

Українська команда підкреслює, що участь у програмі є не лише великою честю, а й потужною мотивацією продовжувати розвивати сучасну допомогу дітям із муковісцидозом в Україні.

На завершення автори зазначають:

«Попри складні умови війни, цей досвід переконав нас у тому, що ми можемо й надалі розвивати сучасну медицину для дітей із муковісцидозом та будувати майбутнє, у якому вони матимуть найкращі можливості для життя».

3. Європейський реєстр пацієнтів із муковісцидозом (ECFSPR)

Європейський реєстр пацієнтів із муковісцидозом (**European Cystic Fibrosis Society Patient Registry, ECFSPR**) є спільною платформою для збору та аналізу інформації про людей із муковісцидозом у країнах Європи.

Основні завдання Реєстру:

- аналіз і порівняння особливостей перебігу захворювання та результатів лікування в різних країнах;
- підтримка епідеміологічних досліджень;
- пошук пацієнтів для міжнародних багатоцентрових клінічних досліджень.

Сьогодні Реєстр містить інформацію про **понад 56 000 людей із муковісцидозом із більш ніж 40 європейських країн**. Дані надходять як безпосередньо від центрів, так і через національні реєстри.

Розширення Реєстру

Одним із головних напрямів розвитку ECFSPR є поступове залучення всіх **50 країн Європейського регіону ВООЗ**, а також розвиток співпраці з реєстрами країн із низьким та середнім рівнем доходу в інших частинах світу.

Наразі до Реєстру входять **47 країн**, що на **20 більше**, ніж у 2014 році.

Із нових учасників **12 країн** належать до категорії країн із низьким або середнім рівнем доходу за класифікацією Світового банку.

Чому Реєстр важливий для країн із низьким та середнім рівнем доходу?

Автори підкреслюють, що участь у Реєстрі може суттєво змінити систему допомоги людям із муковісцидозом.

Вона дозволяє:

1. Підвищувати стандарти медичної допомоги

Запровадження реєстру сприяє використанню єдиних стандартів лікування та дає можливість оцінювати результати змін у системі охорони здоров'я.

2. Покращувати діагностику

У межах програми розвитку Реєстру країни можуть отримувати обладнання для проведення потових тестів і доступ до генетичної діагностики, що забезпечує раннє та точне встановлення діагнозу.

3. Полегшувати доступ до інноваційного лікування

Наявність якісної діагностики та стандартизованої системи ведення пацієнтів створює передумови для доступу до новітніх методів лікування, які впроваджуються у світі.

4. Розвивати наукові дослідження

Збір даних із різних регіонів допомагає краще зрозуміти особливості перебігу захворювання та розробляти рішення, адаптовані до потреб конкретних країн.

5. Посилювати систему охорони здоров'я

ECFSPR підтримує країни у створенні ефективної системи управління даними, контролю їхньої якості та формуванні звітності, що сприяє розвитку медичної інфраструктури.

6. Планувати державну політику

Дані Реєстру допомагають органам влади приймати обґрунтовані рішення щодо розподілу ресурсів і планування програм допомоги людям із муковісцидозом.

Якість медичної допомоги

Окрім розвитку Реєстру, ECFS активно працює над програмами **покращення якості медичної допомоги (Quality Improvement, QI)**.

Дослідження показали, що комплексний підхід, який включає:

- навчання медичних працівників;
- регулярний аудит;
- зворотний зв'язок;
- впровадження клінічних протоколів,

дозволяє суттєво покращити результати лікування людей із муковісцидозом навіть у країнах із обмеженими ресурсами.

Успішність таких програм значною мірою залежить від залучення всіх учасників процесу, готовності медичних закладів до змін та здатності адаптувати міжнародні рекомендації до місцевих умов.

4. Використання Стандартів медичної допомоги ECFS для адвокації

Фахівці та члени ECFS із різних країн неодноразово зверталися до Товариства із проханням підтримати розвиток діагностики та лікування муковісцидозу.

Хоча оцінити вплив такої підтримки кількісно непросто, автори зазначають, що вона вже приносить відчутні результати.

Ключову роль у цьому відіграють **Стандарти медичної допомоги ECFS**, які містять сучасні науково обґрунтовані вимоги до організації допомоги людям із муковісцидозом.

Саме ці документи стали важливим інструментом адвокації у багатьох країнах, допомагаючи медичній спільноті аргументовано відстоювати необхідність розвитку спеціалізованої допомоги.

Визнання CFTR-модуляторів Всесвітньою організацією охорони здоров'я

Одним із найбільших міжнародних досягнень стало включення **CFTR-модуляторів до Переліку основних лікарських засобів ВООЗ (WHO Essential Medicines List)**.

Цьому передувала масштабна адвокаційна кампанія пацієнтської ініціативи **Vertex Save Us**, яку підтримали **Cystic Fibrosis Europe** та **ECFS**.

Автори наголошують, що це рішення:

- підвищує глобальну увагу до проблеми доступності лікування;
- створює додаткові аргументи для урядів і страхових систем щодо фінансування терапії;
- у перспективі може сприяти зниженню вартості препаратів.

Проблема доступності лікування

Попри те, що сьогодні майже всі європейські країни забезпечують доступ до CFTR-модуляторів відповідно до зареєстрованих показань, для багатьох країн із низьким та середнім рівнем доходу ці препарати залишаються практично недосяжними через високу вартість.

Компанія **Vertex Pharmaceuticals** реалізує програму благодійного забезпечення окремих країн такими препаратами. На прохання членів ECFS інформація про цю програму стала більш відкритою та була опублікована на офіційному сайті компанії.

Водночас автори зазначають, що навіть такі програми охоплюють лише частину пацієнтів і не можуть повністю вирішити проблему глобальної нерівності в доступі до сучасного лікування.

Доступ до сучасної терапії: виклики та перспективи

Попри те, що в більшості європейських країн пацієнти вже мають доступ до CFTR-модуляторів відповідно до зареєстрованих показань, для багатьох країн із низьким та середнім рівнем доходу ці препарати залишаються практично недоступними через їхню високу вартість.

Компанія **Vertex Pharmaceuticals**, виробник зареєстрованих CFTR-модуляторів, реалізує благодійну програму забезпечення препаратами окремих країн. На прохання членів ECFS компанія зробила інформацію про цю програму більш прозорою та оприлюднила її на своєму офіційному вебсайті. Наразі ECFS продовжує діалог із компанією щодо розширення доступу до інформації для міжнародної спільноти фахівців із муковісцидозу.

Разом із тим автори наголошують, що благодійні програми, хоча й є надзвичайно важливими для окремих країн, не можуть повністю вирішити проблему нерівного доступу до лікування. Саме тому все більше уваги приділяється пошуку альтернативних шляхів забезпечення пацієнтів сучасною терапією.