



## Oponentský posudok

na **habilitačnú prácu PharmDr. Tatiány Foltánovej, PhD.**, odbornej asistentky Katedry farmakológie a toxikológie Farmaceutickej fakulty UK v Bratislave

Odbor habilitačného a inauguračného konania: **klinická farmácia**

Názov práce: **Hodnotenie dostupnosti liekov na zriedkavé choroby v Európe a na Slovensku**

Oponent: **prof. Mgr. MUDr. Juraj Mokry, PhD.**  
Ústav farmakológie, JLF UK v Martine

Predložená habilitačná práca **PharmDr. Tatiány Foltánovej, PhD.**, odbornej asistentky Katedry farmakológie a toxikológie Farmaceutickej fakulty UK v Bratislave, je vypracovaná na 127 stranách. Autorka sa v nej odkazuje na 9 originálnych prác, z ktorých sú 4 s impakt faktorom a v 5 je prvou autorkou. Obsahuje 22 obrázkov a 16 tabuliek, ktoré sú buď pôvodné, alebo prebraté z uvedených prác. Okrem toho je práca doplnená aj o zoznam použitých skratiek.

Autorka sa podujala prispieť k riešeniu problematiky, ktorá sa týka hodnotenia európskeho prístupu zvyšovania dostupnosti liekov na zriedkavé choroby pre pacientov, analýze dostupnosti liekov na zriedkavé choroby v Európe a v SR, ako aj analýze populácie pacientov liečených na zriedkavé choroby v SR. Autorka pri príprave práce a publikácií s ňou súvisiacich vychádzala aj zo svojich osobných skúseností z práce v pracovnej skupine Ministerstva zdravotníctva SR pre zriedkavé choroby ako aj v pracovnej skupine pre informácie o liekoch, transparentnosť a prístup k nim.

Po formálnej stránke práca spĺňa náležitosti kladené na habilitačnú prácu. Oceňujem jej logické členenie, ako aj štylisticky precízne písanie s len ojedinelými preklepmi (vyznačil som pre potrebu autorky priamo v práci).

Práca je rozdelená na teoretickú časť, ktorá sa postupne venuje charakteristike zriedkavých chorôb, vývoju liekov na zriedkavé choroby, legislatíve, dezinácii ako aj prehodnocovaniu dezináčnych kritérií a hodnoteniu dezináčného a registračného procesu. Samostatné podkapitoly sú venované aj výhodám pre vývoj liekov na zriedkavé choroby a dostupnosti liečby.

Po teoretickej časti nasledujú ciele, ktoré sú formulované jasne a ich vymedzenie je logicky štruktúrované a nasledované v metodickej, výsledkovej aj diskusnej časti. Autorka veľmi precízne a podrobne opísala metódy a výsledky, v ktorých sa iba neodkazuje, ale priamo uvádza graficky i tabuľkovo prehľadne znázornené bohaté výsledky. Výber prác a ich

zaradenie zodpovedá stanoveným cieľom a v každej výsledkovej časti sú vopred uvedené publikácie, výsledky ktorých sú v práci uvedené.

Po vecnej a logickej diskusii nasledujú závery, ktoré korešpondujú so stanovenými cieľmi a okrem odpovedí na jednotlivé otázky naznačujú aj smerovanie do budúcnosti a odporúčania pre odborníkov, ktoré by mali zvrátiť negatívny vývoj dostupnosti liekov na zriedkavé choroby pre slovenských pacientov. I v týchto častiach sa autorka drží štruktúry, ktorú zdefinovala v rámci cieľov práce.

Autorka použila v habilitačnej práci jednotný spôsob odkazov na citované zdroje, ktorých bolo celkovo 127 a nechýbali ani odkazy na vlastné publikácie.

K práci mám len jednu skôr „ekologickú“ pripomienku – v súčasnosti je možné tlačiť práce na základe príslušného vnútorného predpisu UK obojstranne. Zároveň som postrehol nesúlad medzi údajmi v texte na strane 69 a obrázkom č. 8 (73% - v texte vs. 56 % - na obrázku dezignovaných LZCH na základe signifikantného benefitu v rokoch 2000-2010), kde podľa textu dochádza k poklesu, kým podľa obrázku k nárastu tohto ukazovateľa. Podobná disproporcija je v texte na strane 71 v časti 2020-2021, kde sa uvádza 12% žiadostí o registráciu na základe výnimočných okolností, kým v obrázku 10 je uvedených 9%.

#### **Na autorku mám nasledovné otázky:**

1. Ako by ste vysvetlili významný nárast percenta podmienených registrácií a postupný pokles registrácií na základe výnimočných okolností v rokoch 2020-2021 oproti obdobiam 2000-2010 ako aj 2010-2019 (obr. 10)?
2. Vedeli by ste aspoň orientačne uviesť, ako sme na tom v SR v porovnaní s ČR v dostupnosti liekov na zriedkavé choroby?
3. Vedeli by ste naznačiť dôvody a možnosti riešenia situácie, prečo postupne za posledných 10 rokov došlo k dvojnásobnému predĺženiu priemerného omeškania vstupu liekov na zriedkavé choroby v SR (z 26,3 mesiaca na 55,3 mesiaca; obr. 15)?

Na záver môžem konštatovať, že predložená habilitačná práca jasne dokumentuje autorkinu schopnosť dlhodobej tvorivej práce pri riešení originálnych vedeckých problémov ako aj spôsobilosť vhodne a kriticky interpretovať dosiahnuté výsledky a viesť výskumný tím.

**Pri celkovom hodnotení predloženej habilitačnej práce konštatujem, že spĺňa všetky kritériá kladené na tento druh prác, a súčasne odporúčam, aby po úspešnom habilitačnom konaní bol PharmDr. Tatiane Foltánovej, PhD. udelený vedecko-pedagogický titul *docent* (doc.) v odbore habilitačného a inauguračného konania klinická farmácia.**

V Martine, 5. júna 2023

prof. Mgr. MUDr. Juraj Mokrá, PhD.