

МІНІСТЕРСТВО ОХОРОНИ ЗДОРОВ'Я УКРАЇНИ
НАЦІОНАЛЬНИЙ МЕДИЧНИЙ УНІВЕРСИТЕТ
ІМЕНІ О.О.БОГОМОЛЬЦЯ
ФАРМАЦЕВТИЧНИЙ ФАКУЛЬТЕТ
Кафедра клінічної фармакології та клінічної фармації

ВИПУСКНА КВАЛІФІКАЦІЙНА РОБОТА
на тему: «Фармацевтична опіка при використанні препаратів заліза у
пацієнтів з хворобою Рандю-Ослера»

Виконала: здобувач вищої освіти 5 курсу, групи 11803
226 «Фармація, промислова фармація»

Освітньої програми «Фармація»
Євдокимова Єлизавета Віталіївна

Керівник: к. біол. н., доц. Темірова О. А.

Рецензент: к.фарм.н., доц. Саханда І.В.

ЗМІСТ

ВСТУП	4
ОСНОВНА ЧАСТИНА	8
Розділ 1. Теоретичні аспекти фармакотерапії анемії та застосування препаратів заліза у пацієнтів з хворобою Рандю-Ослера (огляд літератури)	8
1.1 Хвороба Рандю-Ослера: сучасні уявлення про етіологію, патогенез та клінічну картину.....	8
1.2 Роль залізодефіцитної анемії в клінічному перебігу хвороби.....	11
1.3 Клініко-фармакологічна характеристика препаратів заліза, що застосовуються для корекції анемії.....	13
1.3.1. Препарати для перорального прийому	13
1.3.2. Препарати для парентерального введення	16
РОЗДІЛ 2. МАТЕРІАЛИ ТА МЕТОДИ ДОСЛІДЖЕННЯ	21
2.1 Характеристика вибірки респондентів.....	22
РОЗДІЛ 3. РЕЗУЛЬТАТИ ДОСЛІДЖЕННЯ ФАРМАЦЕВТИЧНОЇ ОПІКИ ПРИ ВИКОРИСТАННІ ПРЕПАРАТІВ ЗАЛІЗА У ПАЦІЄНТІВ З ХВОРОБОЮ РАНДЮ-ОСЛЕРА	25
3.1. Результати аналізу клінічного випадку	25
3.2. Результати опитування фармацевтичних працівників	32
ВИСНОВКИ	38
ПРАКТИЧНІ РЕКОМЕНДАЦІЇ	39
СПИСОК ВИКОРИСТАНИХ ДЖЕРЕЛ	40
SUMMARY	45
Додаток А.....	46
Додаток Б.....	49
Додаток В.....	50
Додаток Г.....	52
Додаток Д.....	53
Додаток Е.....	54
Додаток Ж.....	55

ПЕРЕЛІК УМОВНИХ ПОЗНАЧЕНЬ

- ABM – артеріовенозні мальформації
- ЗДА – залізодефіцитна анемія
- СГТ – спадкова геморагічна телеангіектазія
- ALK1 – активін-подібна рецепторна кіназа 1 (ген ACVRL1)
- CARPA – псевдоалергія, пов'язана з активацією комплементу
- DMT1 – двовалентний металопротеїн-транспортер 1
- ENG – ендоглін (ген)
- FCM – заліза карбоксимальтозат
- FDI – заліза ізомальтозид 1000
- Fe²⁺ – двовалентне залізо
- Fe³⁺ – тривалентне залізо
- FGF23 – фактор росту фібробластів 23
- GPCR – G-білок-спряжені рецептори
- ННТ – спадкова геморагічна телеангіектазія (англ.)
- IgE – імуноглобулін E
- RASA-1 – ген, асоційований із судинними мальформаціями
- SMAD4 – ген, асоційований із синдромом RJ-СГТ
- TGF-β – трансформуючий фактор росту бета

ВСТУП

Актуальність теми. Спадкова геморагічна телеангіектазія (хвороба Рандю-Ослера) – рідкісне аутосомно-домінантне захворювання, що характеризується мультисистемною судинною дисплазією та проявляється рецидивуючими кровотечами, найчастіше носовими (епістаксис). Захворюваність у європейській популяції становить від 1:5000 до 1:8000, однак через низьку обізнаність лікарів та фармацевтичних працівників діагноз встановлюється із запізненням у середньому на 18 років. Хронічні крововтрати призводять до розвитку залізодефіцитної анемії, яка значно погіршує якість життя пацієнтів, спричиняє втому, задишку, тахікардію, а у важких випадках – серцеву недостатність [1, 2].

Фармакотерапія анемії у таких пацієнтів має свої особливості: поряд із традиційними пероральними препаратами заліза (солі двовалентного заліза) все більшого значення набувають новітні форми – сукросомне залізо, мальтол заліза (III), а також парентеральні комплекси (заліза карбоксимальтозат, заліза ізомальтозид 1000), які дозволяють швидко коригувати дефіцит заліза та мають кращий профіль безпеки [3]. Водночас фармацевтичні працівники часто недостатньо обізнані про рідкісне захворювання та сучасні підходи до лікування анемії, що знижує якість фармацевтичної опіки.

Таким чином, дослідження рівня обізнаності фармацевтичних працівників про хворобу Рандю-Ослера та оптимізація алгоритмів фармацевтичної опіки при застосуванні препаратів заліза є актуальними завданнями для підвищення ефективності та безпеки лікування пацієнтів із цією рідкісною патологією.

Мета роботи – встановити особливості застосування препаратів заліза у пацієнтів з хворобою Рандю–Ослера та обґрунтувати заходи фармацевтичної опіки щодо підвищення ефективності та безпеки фармакотерапії.

Завдання дослідження:

- Оцінити рівень обізнаності фармацевтичних працівників щодо хвороби Рандю–Ослера та особливостей фармацевтичної опіки при застосуванні препаратів заліза за результатами анкетного опитування.
- Провести аналіз клінічного випадку пацієнта з хворобою Рандю–Ослера та оцінити особливості застосування препаратів заліза і пов'язані з ними ризики.
- Обґрунтувати заходи фармацевтичної опіки щодо раціонального застосування препаратів заліза у пацієнтів з хворобою Рандю–Ослера для підвищення ефективності та безпеки фармакотерапії.

Об'єкт дослідження: фармацевтична опіка пацієнтів з хворобою Рандю-Ослера.

Предмет дослідження: застосування препаратів заліза для корекції залізодефіцитної анемії у пацієнтів з хворобою Рандю-Ослера та організаційно-практичні аспекти фармацевтичної опіки при їх застосуванні.

Методи дослідження: бібліосемантичний (аналіз наукової літератури, міжнародних рекомендацій), аналітичний (клініко-фармацевтичний аналіз випадку), соціологічний (анкетне опитування фармацевтичних працівників), статистичний (описова статистика – розрахунок відсотків та абсолютних величин), графічний (побудова діаграм).

Наукова новизна отриманих результатів. Вперше в Україні проведено комплексне дослідження, що поєднує аналіз клінічного випадку хвороби Рандю-Ослера та анкетне опитування фармацевтичних працівників щодо їхньої обізнаності про дане орфанне захворювання та підходів до вибору препаратів заліза. Визначено низький рівень обізнаності (82% респондентів мають недостатні знання) та виявлено прогалини у розумінні ризиків, пов'язаних із пероральними формами заліза. Оптимізовано алгоритм фармацевтичної опіки, який включає моніторинг показників гемоглобіну, феритину, коагулограми, а також комунікацію з лікарем.

Практичне значення отриманих результатів. Розроблені рекомендації можуть бути використані фармацевтичними працівниками для підвищення якості консультування пацієнтів із хворобою Рандю-Ослера, а також для вибору оптимальної форми препарату заліза (пероральна чи парентеральна) з урахуванням переносимості та клінічної ситуації. Матеріали роботи можуть бути впроваджені у систему безперервного професійного навчання фармацевтичних працівників.

Апробація результатів дослідження. Основні положення роботи були представлені на науково-практичній Internet-конференції «Актуальні питання клінічної фармакології та клінічної фармації» (29-30 жовт. 2025 р., м. Харків), а також на Всеукраїнській науково-практичній конференції «Сучасні проблеми клінічної фармакології, клінічної фармації та фармакотерапії» (м. Київ, 2026) (див. додаток Г) та на конкурсі Case2026 (див. додаток Д).

Публікації. Євдокимова Є.В., Темірова О.А. Особливості фармацевтичної опіки при орфанних захворюваннях (на прикладі синдрому Рендю-Ослера). Актуальні питання клінічної фармакології та клінічної фармації (Topical issues of clinical pharmacology and clinical pharmacy): матеріали наук.-практ. internet-конф. з міжнар. участю (29-30 жовт. 2025 р., м. Харків) - 58-60 с.

Євдокимова Є.В., Темірова О.А. Особливості фармацевтичної опіки при застосуванні препаратів заліза у пацієнтів із хронічними крововтратами (хвороба Рандю-Ослера). У матеріалах Всеукраїнської науково-практичної конференції «Сучасні проблеми клінічної фармакології, клінічної фармації та фармакотерапії» (29 квітня 2026 р., м. Київ). – прийнято до друку (див. додаток Г).

Євдокимова Є.В., Темірова О.А., Андрущенко І.П., Хайтович М.В. Клінічний випадок синдрому Рендю-Ослера: роль фармацевтичної опіки в оптимізації фармакотерапії. Український науково-медичний молодіжний журнал. 2026. № 2 (163) – прийнята до друку (див. довідку у додатку Ж).

Структура роботи. Випускна кваліфікаційна робота викладена на 55 сторінках машинописного тексту, складається зі вступу, переліку умовних позначень, 3 розділів (огляд літератури, матеріали та методи, результати дослідження), висновків, списку використаних джерел (кількість – 45 найменувань, з них 4 українською та 41 англійською мовами) та додатків. Робота містить 7 таблиць та 16 рисунків.

ОСНОВНА ЧАСТИНА

Розділ 1. Теоретичні аспекти фармакотерапії анемії та застосування препаратів заліза у пацієнтів з хворобою Рандю-Ослера (огляд літератури)

1.1 Хвороба Рандю-Ослера: сучасні уявлення про етіологію, патогенез та клінічну картину

Спадкова геморагічна телеангіоектазія (СГТ), також відома як синдром Рандю-Ослера, — це рідкісне аутосомно-домінантне спадкове захворювання, що характеризується мультисистемною судинною дисплазією [1, 2]. Це захворювання проявляється множинними аномальними судинними утвореннями — телеангіектазіями та артеріовенозними мальформаціями (АВМ), які можуть уражати шкіру, слизові оболонки та внутрішні органи [3].

У переважній більшості випадків СГТ зумовлена гетерозиготними мутаціями в гені ендогліну (ENG) або в гені ALK1 (ACVRL1), який кодує активін-подібну рецепторну кіназу 1 (рис.1.1) Залежно від локалізації мутації виділяють СГТ 1 типу (ураження гена ENG на 9-му хромосомі) та СГТ 2 типу (мутація гена ACVRL1 на 12-му хромосомі). Продукти обох генів є важливими елементами сигнального каскаду трансформуючого фактора росту бета (TGF- β) — системи, що регулює формування та стабільність судинної стінки. Коли цей каскад порушується, судини стають крихкими і сильними до спонтанних кровотеч. Окрім цих двох основних генетичних варіантів, описано й поодинокі випадки, пов'язані з мутаціями інших генів, що розширює уявлення про молекулярну гетерогенність захворювання [1, 4]

У рідкісних випадках (приблизно 2%) хвороба може бути спричинена мутацією гена SMAD4, що поєднує СГТ із ювенільним поліпозом (синдром PJ-СГТ). Було також описано мутації в інших, менш поширених генах, таких як GDF2 та RASA-1, які пов'язані з різними фенотипами захворювання [1, 4].

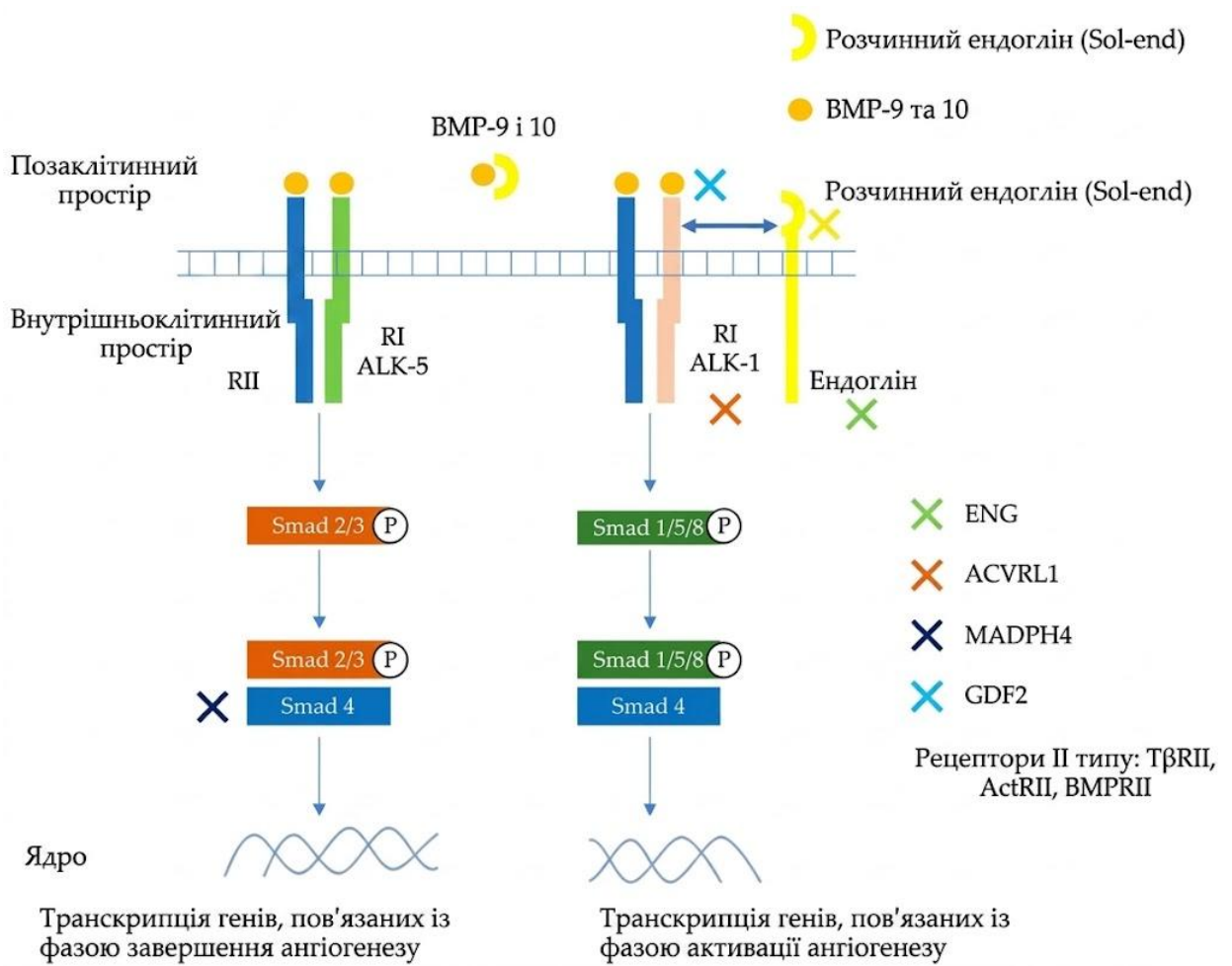


Рис. 1.1 Схема сигнального шляху TGF- β та роль мутацій генів ENG і ALK1 у патогенезі хвороби Рандю-Ослера. Адаптовано з [1]

Для встановлення діагнозу СГТ використовують клінічні критерії Курасао (табл. 1.1). Діагноз вважається достовірним, якщо у пацієнта виявлено не менше трьох з чотирьох наведених нижче ознак:

- спонтанні та рецидивуючі носові кровотечі;
- слизово-шкірні телеангіектазії в характерних місцях;
- вісцеральні судинні мальформації;
- наявність родича першого ступеня з діагностованою СГТ [5, 6].

Таким чином, клінічна діагностика СГТ ґрунтується на поєднанні характерних симптомів, однак чутливість критеріїв може бути нижчою на ранніх стадіях.

Клінічні критерії діагностики хвороби Рандю-Ослера (Критерії Курасао)

Ген	Уражений білок	Розташування	Фенотип	Частота
<i>АНГЛІЯ</i>	Ендоглінін	9q34.11	ННТ1	39–59%
<i>ACVRL1</i>	АЛК1	12q13.13	ННТ2	25–57%
<i>MADH4</i>	Смад4	18q21.1	ННТ-синдром ювенільного поліпозу	1–2%
<i>ГДФ2</i>	БМП9	10q11.22	ННТ-подібний	<1%
<i>RASA-1</i>	p120-RasGAP	5q14.3	Розлади, пов'язані з RASA-1 (СМ-АВМ)	Невідомо

Примітки: СГТ – спадкова геморагічна телеангіектазія; ГДФ – фактор диференціації росту; p120-RasGAP – білок, що активує ГДФазу P120-Ras; КМ-АВМ – синдром капілярної мальформації–артеріовенозної мальформації.

Симптоми СГТ можуть бути різноманітними і з віком стають вираженішими. У переважній більшості пацієнтів перші прояви з'являються в дитячому або підлітковому віці — це повторювані носові кровотечі, які згодом можуть почастишити. Починаючи з третього десятиліття життя, у пацієнтів поступово з'являються телеангіектазії шкіри та слизових оболонок, переважно на обличчі, губах, пальцях кистей та слизовій оболонці ротової порожнини. Збільшення кількості цих судинних утворень призводить до підвищення частоти носових або шлунково-кишкових кровотеч, що є основною причиною хронічної залізодефіцитної анемії [7, 8].

Важливо зазначити, що попри відносну поширеність у європейській популяції (1:5000 до 1:8000), хвороба часто не діагностується вчасно і в середньому проходить близько 18 років між появою перших симптомів та встановленням діагнозу [9]. У деяких пацієнтів розвиваються серйозніші ускладнення, зокрема вісцеральні артеріовенозні мальформації. Такі артеріовенозні мальформації (АВМ), особливо печінкові, можуть спричинити ішемію, некроз, гостру печінкову недостатність і навіть серцеву недостатність

з високим серцевим викидом. Досвід румунського центру трансплантації печінки, що включав аналіз 14 клінічних випадків, підтверджує ці спостереження, виявивши, що носові кровотечі були найчастішою причиною госпіталізації (у 57% пацієнтів), тоді як вісцеральні прояви мали більш серйозні наслідки для здоров'я (Рис. 1.2) [10, 11, 12].

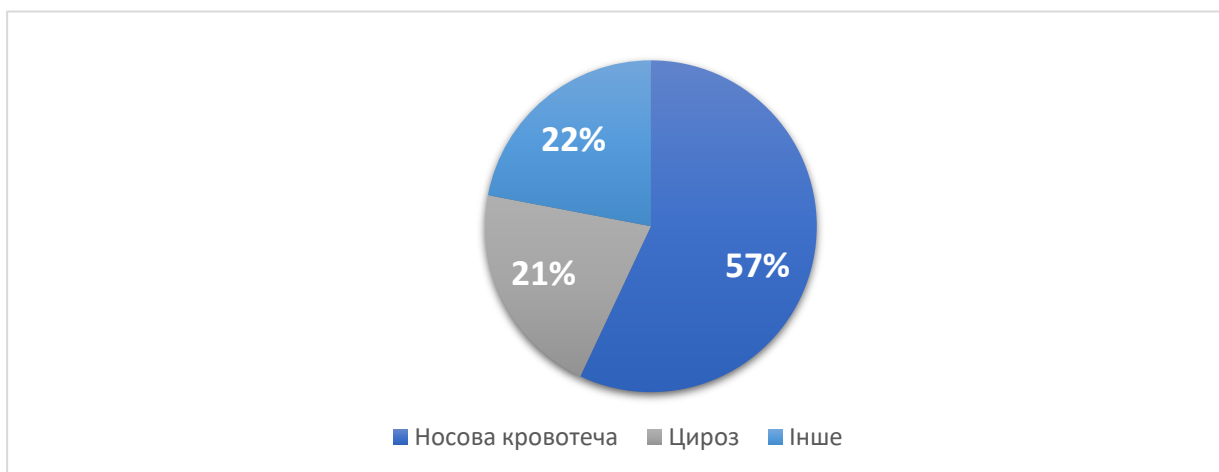


Рис 1.2 Розподіл причин госпіталізації пацієнтів із хворобою Рандю–Ослера за результатами аналізу 14 клінічних випадків. Адаптовано з джерела [10].

Отже, хвороба Рандю–Ослера є орфанним мультисистемним захворюванням із прогресуючим перебігом, основними клінічними проявами якого є рецидивуючі кровотечі та судинні мальформації. Хронічна крововтрата часто призводить до розвитку залізодефіцитної анемії, що визначає важливу роль фармакотерапії препаратами заліза та фармацевтичної опіки у веденні таких пацієнтів.

1.2 Роль залізодефіцитної анемії в клінічному перебігу хвороби

Хронічна крововтрата через спонтанний розрив телеангіектазій та артеріовенозних мальформацій нерідко призводить до залізодефіцитної анемії — одного з найбільш виснажених ускладнень СГТ [13, 14]. Її патогенез ґрунтується на виснаженні запасів заліза в організмі через постійну втрату крові, що має кілька ключових механізмів.

Найчастіше хронічну крововтрату зумовлюють рецидивні носові кровотечі — цей симптом спостерігається у 90% пацієнтів з СГТ, нерідко з самого дитинства. Часті епізоди, які можуть бути щоденними, призводять до значної кумулятивної втрати еритроцитів і, відповідно, гемоглобіну, що містить залізо [15]. Окрім того, телеангіектазії можуть уражати слизову оболонку шлунково-кишкового тракту, спричиняючи приховані або явні кровотечі. Ці крововтрати, що тривають роками, часто залишаються непоміченими для пацієнта, але призводять до виснаження депо заліза в організмі [16, 17]. В результаті постійних крововтрат та в деяких випадках порушення всмоктування заліза на тлі тривалих запальних процесів у кишківнику порушується процес синтезу гемоглобіну, що клінічно проявляється мікроцитарною гіпохромною анемією.

Наслідки анемії при СГТ виходять за рамки лише гематологічних показників, значно погіршуючи якість життя пацієнтів (Рис.1.3). Анемія є часто недооціненим чинником, що спричиняє:

- хронічної втоми та слабкості: дефіцит заліза порушує транспорт кисню до тканин, що призводить до кисневого голодування (гіпоксії) всіх органів;
- симптомів з боку серцево-судинної системи: організм, намагаючись компенсувати нестачу гемоглобіну, збільшує серцевий викид, що призводить до тахікардії, задишки та серцебиття, а у важких випадках може розвинутилася серцева недостатність;
- соціальних та психологічних проблем: постійна втома, потреба в частих медичних втручаннях (переливаннях крові або внутрішньовенному введенні заліза) та видимі симптоми (телеангіектазії, блідість) можуть призводити до соціальної ізоляції, тривоги та депресії [18, 40].

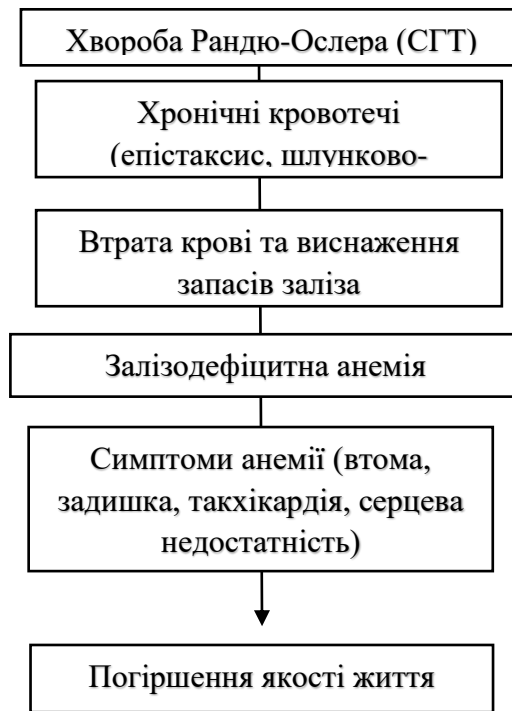


Рисунок 1.3 Патогенетичний цикл розвитку залізодефіцитної анемії при Хворобі Рандю-Ослера. Створено автором.

Отже, залізодефіцитна анемія є частим наслідком хронічних крововтрат при хворобі Рандю–Ослера та суттєво впливає на перебіг захворювання і якість життя пацієнтів. Це обґрунтовує важливість своєчасної корекції дефіциту заліза, раціонального застосування препаратів заліза та здійснення належної фармацевтичної опіки.

1.3 Клініко-фармакологічна характеристика препаратів заліза, що застосовуються для корекції анемії

У пацієнтів із хворобою Рандю–Ослера корекція дефіциту заліза є важливою складовою лікування, оскільки хронічні крововтрати часто призводять до розвитку залізодефіцитної анемії. Для відновлення запасів заліза застосовують пероральні та парентеральні препарати, вибір яких залежить від тяжкості анемії та клінічних особливостей пацієнта.

1.3.1. Препарати для перорального прийому

Пероральні препарати заліза є першою лінією терапії для корекції залізодефіцитної анемії, що розвивається на тлі хвороби Рандю-Ослера [19, 20]. Їхня доступність, простота застосування та доведена клінічна

ефективність роблять їх основним методом поповнення виснажених запасів заліза в організмі. Ефективність терапії безпосередньо залежить від правильного вибору препарату, його біодоступності, переносимості та належної фармацевтичної опіки [20].

Залежно від хімічної форми та валентності заліза, пероральні препарати поділяються на солі двовалентного заліза (Fe^{2+}) та комплекси тривалентного заліза (Fe^{3+}).

- Двовалентне залізо (Fe^{2+}) всмоктується переважно у дванадцятипалій кишці та в початковому відділі порожньої кишки. Для цього необхідно кисле середовище, що сприяє утворенню хелатних комплексів. Далі транспорт через мембрану ентероцита відбувається за допомогою білка-переносника DMT1 (divalent metal transporter 1) [19].
- Комплекси тривалентного заліза (Fe^{3+}). До цієї групи належать заліза гідроксид полімальтозат та новітні форми, такі як мальтол заліза (III) та сукросомне залізо. Всмоктування Fe^{3+} менш залежить від кислотності шлунка, але потребує попереднього відновлення до Fe^{2+} [19]. Сучасні пероральні форми заліза мають кращу біодоступність і значно рідше викликають побічні ефекти. Прикладом є мальтол заліза (III) — комплекс без солей, який не вивільняє вільне залізо у просвіт кишечника, через що не подразнює слизову. Крім того, він ефективно засвоюється навіть при підвищеному рівні гепцидину, що особливо важливо при хронічних запальних станах [21, 22]. Сукросомне залізо, своєю чергою, інкапсульоване у фосфоліпідну мембрану, яка захищає його від впливу шлункового соку та забезпечує транспортування через кишковий епітелій без взаємодії з його стінкою (Рис. 1.4) [23, 24, 25].

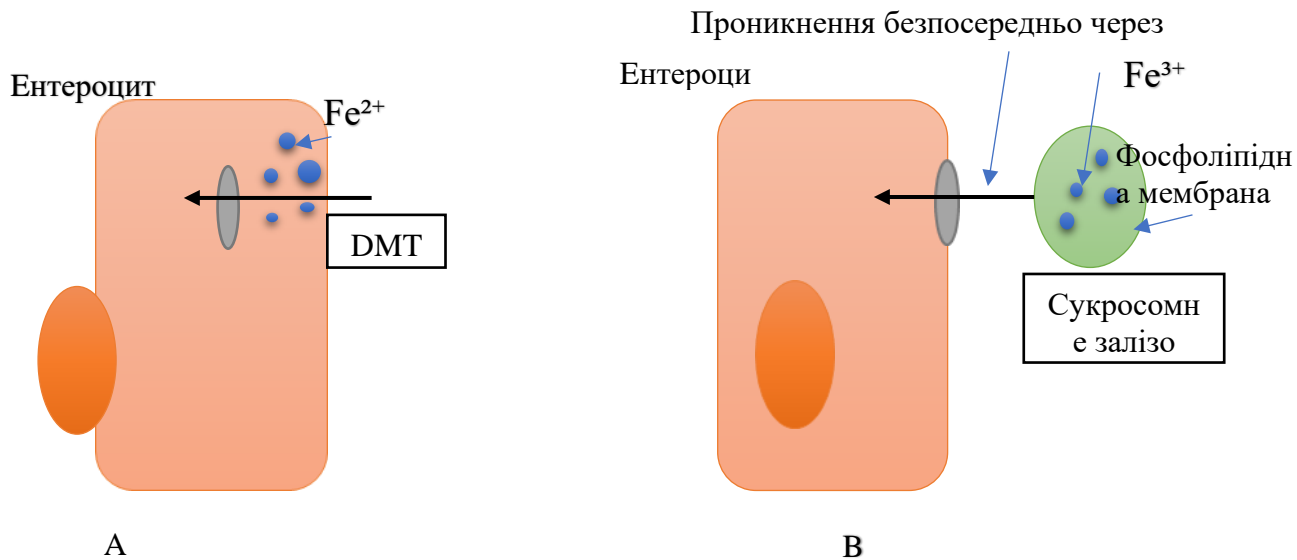


Рис. 1.4 А — Схема механізму всмоктування двовалентного заліза (Fe^{2+}) у клітинах кишківника. В — Механізм всмоктування сукросомального заліза (Fe^{3+}) через клітинну мембрану. Адаптовано з [19].

Незважаючи на високу ефективність, традиційні солі заліза (сульфат заліза) часто викликають небажані реакції з боку шлунково-кишкового тракту, такі як нудота, закріп, біль у животі та діарея [26, 27, 28]. Це значно знижує прихильність пацієнтів до лікування і може призводити до його припинення, що, як наслідок, погіршує результати терапії.

Новітні препарати, як, наприклад, сукросомезалізо, були розроблені для мінімізації цих небажаних реакцій, що є їхньою ключовою перевагою. Дослідження показали, що сукросомне залізо демонструє вищу ефективність у підвищенні концентрації гемоглобіну та феритину при значно менших дозах елементарного заліза (30–60 мг/день) порівняно із сульфатом заліза (105–210 мг/день) [23]. Отримані дані показали, що сукросомне залізо за показниками ефективності не поступалося внутрішньовенним препаратам заліза у пацієнтів, які не переносили лікування сульфатом заліза або не мали адекватної відповіді на таку терапію [29, 30]. У таблиці 1.2 узагальнено основні клініко-фармакологічні характеристики пероральних препаратів заліза [32].

Порівняльна характеристика пероральних препаратів заліза

Критерій порівняння	Традиційні солі заліза (Fe ²⁺) (Сульфат заліза)	Новітні форми заліза (Fe ³⁺) (Сукросомне залізо, мальтол заліза)
Клінічна ефективність	Ефективно коригує анемію, але потребує вищих доз елементарного заліза (105–210 мг/день)	Висока ефективність при значно менших дозах елементарного заліза (30–60 мг/день)
Біодоступність	Висока, але залежить від кислотності шлунка та може знижуватися через взаємодію з їжею (таніни, фітати)	Висока, не залежить від кислотності шлунка. Сукросомне залізо захищене мембраною, що забезпечує доставку
Небажані реакції	Низька частота. Часто викликає шлунково-кишкові побічні ефекти: нудоту, біль у животі, запор, діарею	Висока частота. Мінімізовані небажані реакції завдяки унікальному механізму всмоктування. Мальтол заліза має менший вплив на мікробіом
Механізм всмоктування	Всмоктується активно через переносник DMT1 у дванадцятипалій кишці	Всмоктується з мінімальною взаємодією зі стінкою кишківника. Сукросомне залізо проникає через клітинну мембрану безпосередньо
Клінічне застосування	Застосовується як терапія першої лінії через низьку вартість	Рекомендується пацієнтам з непереносимістю традиційних препаратів та при хронічних запальних станах, а також як альтернатива внутрішньовенному введенню

1.3.2. Препарати для парентерального введення

Парентеральне введення препаратів заліза є важливим компонентом у лікуванні залізодефіцитної анемії (ЗДА). Цей метод терапії показаний у клінічних випадках, коли пероральний прийом препаратів заліза є неефективним або неможливим. Основними показаннями для парентеральних

форм є: непереносимість пероральних препаратів, тяжкий ступінь ЗДА, синдроми мальабсорбції, наявність запальних захворювань кишківника, а також гостра потреба у швидкому поповненні запасів заліза, що є критично важливим для пацієнтів із хронічними кровотечами, як у випадку хвороби Рандю-Ослера [31, 33].

Сучасні препарати заліза для парентерального введення представлені у вигляді стабільних комплексів тривалентного заліза (Fe^{3+}). На відміну від застарілих форм, новітні препарати мають значно вищий профіль безпеки. Їхньою ключовою перевагою є можливість введення повної дози за раз, що дозволяє значно скоротити кількість візитів пацієнта та тривалість лікування [34]. Елементарне залізо в цих комплексах міцно зв'язане з вуглеводним ядром, що мінімізує вивільнення лабільного вільного заліза і, як наслідок, знижує ризик виникнення інфузійних реакцій [31, 35].

Механізм дії парентеральних препаратів заснований на обході процесу всмоктування в кишківнику. Після внутрішньовенного введення комплекси заліза поглинаються клітинами ретикулоендотеліальної системи (РЕС), що локалізуються переважно в печінці, селезінці та кістковому мозку. Вивільнене залізо зв'язується з транспортним білком трансферином, який доставляє його до еритробластів кісткового мозку для синтезу гемоглобіну. Надлишок заліза депонується у формі феритину та гемосидерину [31].

Серед найбільш поширених парентеральних препаратів заліза виділяють:

- Заліза сахарат (заліза (III) гідроксид сахарозний комплекс). Один із перших сучасних внутрішньовенних препаратів. Його вуглеводний носій забезпечує менш міцне зв'язування заліза порівняно з новішими формами, що може призводити до вищого ризику інфузійних реакцій при введенні доз понад 250 мг. Для досягнення терапевтичного ефекту, як правило, необхідна серія послідовних інфузій [31].
- Заліза карбоксимальтозат (FCM). Цей макромолекулярний комплекс дозволяє вводити високі дози заліза (до 1000 мг) за одну інфузію, що

значно пришвидшує корекцію анемії. Він ефективно застосовується при хронічній хворобі нирок, у вагітних та пацієнтів із запальними захворюваннями кишківника [36]. Однак застосування заліза карбоксимальтозату асоціюється з ризиком розвитку гіпофосфатемії (Рис. 1.5) Це ускладнення, що виникає внаслідок підвищення рівня гормону FGF23, може призвести до вторинного гіперпаратиреозу, остеомаліції та патологічних переломів, особливо при повторних введеннях [37, 38].

- Заліза ізомальтозид 1000 (FDI). Цей препарат є ефективним та безпечним для лікування ЗДА. Він дозволяє введення повної дози до 1500 мг (до 20 мг/кг), що прискорює корекцію анемії. У клінічних дослідженнях FDI продемонстрував зниження смертності від серцево-судинних подій у пацієнтів із застійною серцевою недостатністю, що підкреслює його клінічну значущість [31, 39].

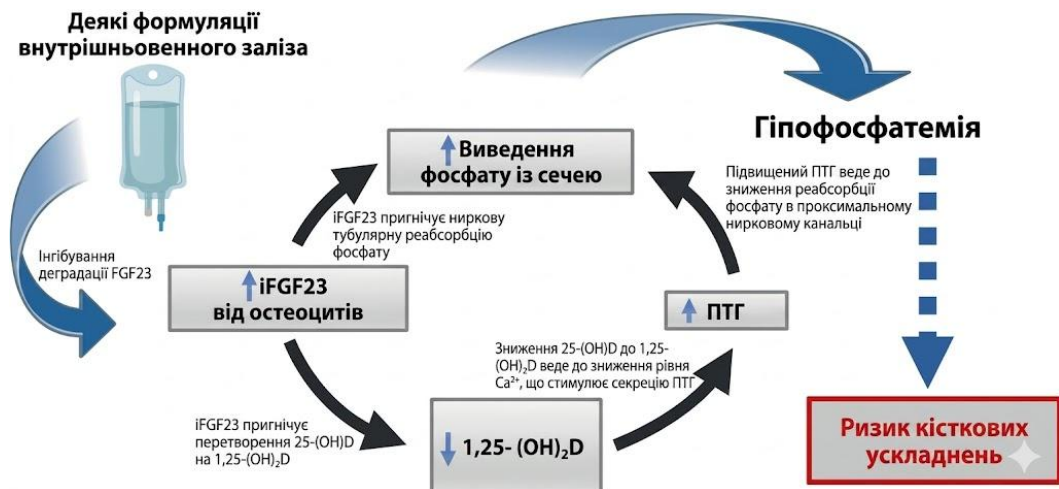


Рис. 1.5 Патофізіологічний механізм розвитку гіпофосфатемії після введення заліза карбоксимальтозату. Адаптовано з [37].

Важливим аспектом безпеки внутрішньовенних препаратів заліза є ризик розвитку інфузійних реакцій. При цьому більшість таких реакцій не має алергічної природи, а пов'язана з активацією системи комплементу та належить до реакцій типу CARPA (рис. 1.6). Ця реакція виникає внаслідок вивільнення лабільного вільного заліза, яке активує комплемент та спричиняє дегрануляцію тучних клітин. Симптоми CARPA, такі як припливи, міалгії та артралгії, як правило, не загрожують життю та є самообмежувальними. Справжні IgE-опосередковані анафілактичні реакції трапляються надзвичайно рідко — частота їх становить менше ніж 1 на 200 000 інфузій [31].

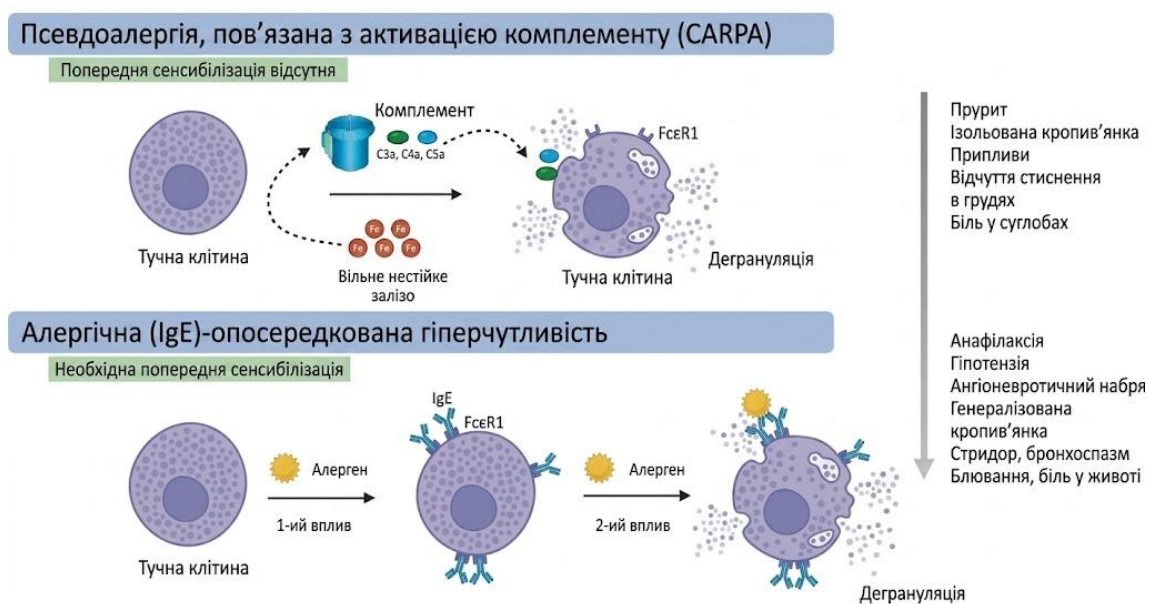


Рис. 1.6 Механізм псевдоалергії, пов'язаної з активацією комплементу (CARPA), та IgE-опосередкованої алергічної гіперчутливості. Адаптовано з [31].

Лікування інфузійних реакцій має бути поетапним:

1. негайно припинити інфузію.
2. Провести оцінку стану пацієнта та моніторинг життєвих показників.
3. Застосувати симптоматичне лікування. Легкі та помірні реакції часто минають самостійно. За необхідності можуть бути використані антигістамінні препарати другого покоління. Застосування

антигістамінних препаратів першого покоління не рекомендується, оскільки вони можуть погіршити стан пацієнта.

4. Після повного зникнення симптомів інфузію можна відновити, починаючи з меншої швидкості, під ретельним наглядом [31].

Висновки до розділу 1

1. Хвороба Рандю–Ослера є рідкісним спадковим захворюванням, що характеризується розвитком телеангіектазій та артеріовенозних мальформацій, які зумовлюють хронічні крововтрати та підвищують ризик виникнення залізодефіцитної анемії.
2. Залізодефіцитна анемія є одним із найпоширеніших ускладнень хвороби Рандю–Ослера, суттєво впливає на клінічний перебіг захворювання та якість життя пацієнтів, що обґрунтовує необхідність своєчасної діагностики та корекції дефіциту заліза.
3. Для лікування залізодефіцитної анемії у пацієнтів із хворобою Рандю–Ослера застосовують пероральні та парентеральні препарати заліза, вибір яких має ґрунтуватися на індивідуальних особливостях пацієнта, ефективності та безпеці терапії, що визначає важливу роль фармацевтичної опіки у забезпеченні раціонального застосування цих лікарських засобів.

РОЗДІЛ 2. МАТЕРІАЛИ ТА МЕТОДИ ДОСЛІДЖЕННЯ

У цьому розділі наведено характеристику матеріалів та методів дослідження, використаних для вивчення особливостей застосування препаратів заліза та фармацевтичної опіки у пацієнтів із хворобою Рандю–Ослера. У роботі було використано наступні методи досліджень:

- бібліосемантичний – аналіз наукових джерел, клінічних настанов та протоколів лікування анемії при геморагічних захворюваннях, а також пошук літератури в електронних базах даних PubMed та Cochrane Library за ключовими словами "Rendu-Osler syndrome", "hereditary hemorrhagic telangiectasia", "epistaxis", "tranexamic acid", "pharmaceutical care" за період 2020–2025 рр.;
- кейс-метод – ретроспективний аналіз медичної документації пацієнтки з верифікованим діагнозом «синдром Рандю-Ослера (спадкова геморагічна телеангіектазія)». Було проаналізовано амбулаторну карту, виписки зі стаціонару, результати лабораторних та інструментальних обстежень, а також листок призначення лікарських засобів. Це дозволило оцінити ефективність призначеної фармакотерапії, виявити потенційні лікопов’язані проблеми та ризики лікарських взаємодій;
- аналітичний (клініко-фармацевтичний аналіз призначеної терапії у наведеному клінічному випадку, оцінка лікарських взаємодій за допомогою бази даних DrugBank Online [41, 42]);
- соціологічний (анкетне опитування фармацевтичних працівників щодо рівня обізнаності про хворобу Рандю-Ослера та тактики вибору препаратів заліза);
- статистичний – статистична обробка даних проводилася з використанням методів описової статистики (обчислення відносних величин – відсотків та абсолютних значень) за допомогою програмного забезпечення Microsoft Excel;
- графічний – для візуального представлення отриманих результатів у вигляді діаграм.

Етичні аспекти. Усі процедури, пов'язані з аналізом клінічного випадку, виконано відповідно до принципів Гельсінської декларації. Від пацієнтки отримано інформовану згоду на використання клінічних даних у наукових цілях та їх публікацію. Під час проведення анкетування було забезпечено дотримання принципів анонімності учасників та добровільної участі.

2.1 Характеристика вибірки респондентів

У межах соціологічного методу було проведено анонімне анкетування фармацевтичних працівників за допомогою сервісу Google Forms. Метою опитування було дослідити рівень знань фахівців про специфіку лікування анемії при рідкісних судинних патологіях, а також вивчити пріоритети у виборі лікарських засобів заліза (традиційних солей проти новітніх комплексів).

Анкета (наведена у таблиці 2.1 в додатку А) складалася з 14 запитань, які охоплювали професійний статус респондентів, їхній досвід роботи, тип аптечного закладу, обізнаність про хворобу Рандю-Ослера, практику консультування щодо препаратів заліза, чинники вибору препарату, рекомендації пацієнтам, уявлення про ризики, роль фармацевтичної опіки та потребу в додатковій підготовці.

За результатами проведеного анкетування було зібрано та опрацьовано 90 анкет респондентів. Розподіл учасників опитування за посадою відображено на рисунку 2.1. Аналіз отриманих даних свідчить, що основну групу респондентів становлять фармацевти та асистенти фармацевтів.

Згідно з отриманими даними, частка фахівців на посаді асистент фармацевта склала 34,4% (31 особа), фармацевтів – 32,2% (29 осіб), завідувачів аптек – 25,6% (23 особи), клінічних фармацевтів – 1,1% (1 особа), студентів та інших – 5,7% (6 осіб). Такий професійний склад учасників дозволяє об'єктивно

оцінити стан надання фармацевтичної опіки та рівень обізнаності персоналу щодо специфіки терапії анемії у пацієнтів із хворобою Рандю-Ослера.

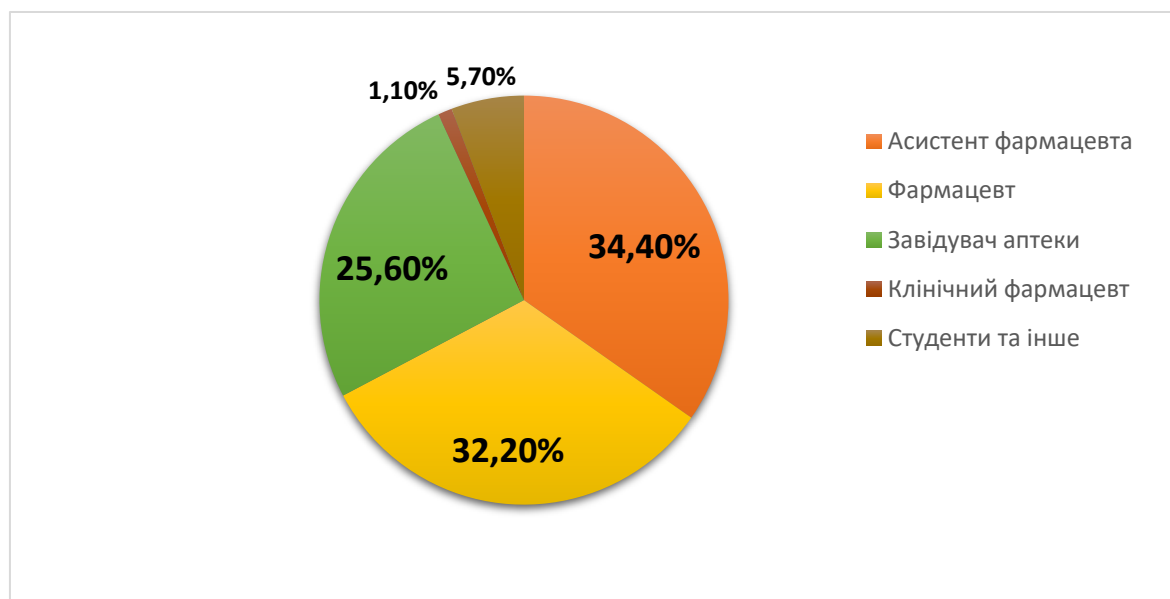


Рис. 2.1. Диференціація респондентів за посадою (n=90)

Наступним етапом аналізу професійного профілю респондентів стало вивчення їхнього стажу роботи у фармацевтичній галузі. Досвід роботи фахівців є критично важливим показником, оскільки він безпосередньо корелює з рівнем практичних навичок консультування пацієнтів із рідкісними патологіями та досвідом застосування різних поколінь препаратів заліза. Згідно з результатами опитування (рис. 2.2), вибірка представлена переважно молодими та середньої ланки фахівцями. Переважну більшість склали працівники зі стажем від 1 до 5 років – 35,6% (32 особи). Фахівці зі стажем до 1 року становлять 11,1% (10 осіб). Частка групи зі стажем від 6 до 10 років – 6,7% (6 осіб), а понад 10 років – 46,7% (42 особи). Такий розподіл свідчить про те, що результати дослідження відображають погляди фахівців різного рівня досвіду, що дозволяє отримати репрезентативні дані.

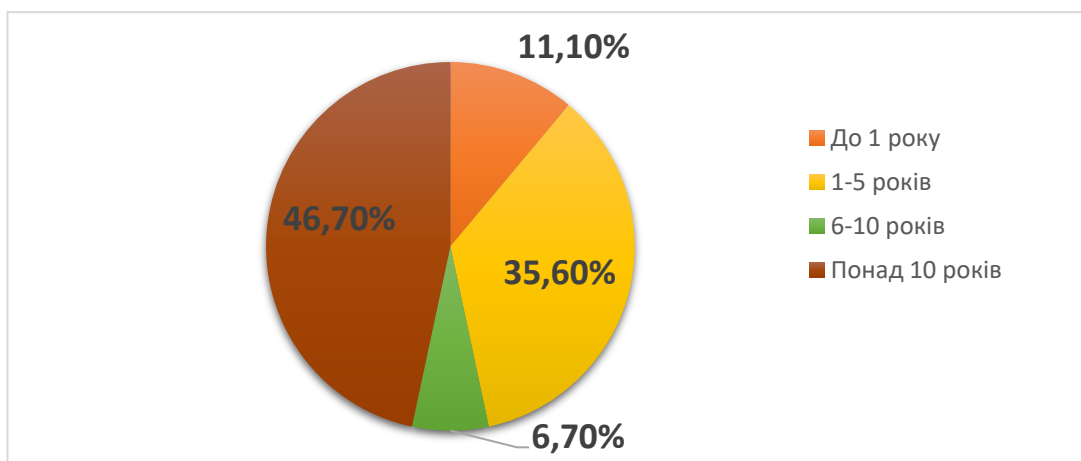


Рис. 2.2. Розподіл респондентів за стажем роботи (n=90)

Крім того, було проаналізовано типи аптечних закладів, у яких працюють респонденти (рис. 2.3). Переважна більшість фахівців (74,4%, або 67 осіб) працюють у приватних аптеках, 14,4% (13 осіб) – у комунальних, 7,8% (7 осіб) – у госпітальних, а 1,1% (1 особа) на момент опитування тимчасово не працювали. Це дозволяє стверджувати, що результати дослідження переважно відображають стан фармацевтичної опіки у роздрібній ланці фармацевтичного ринку.

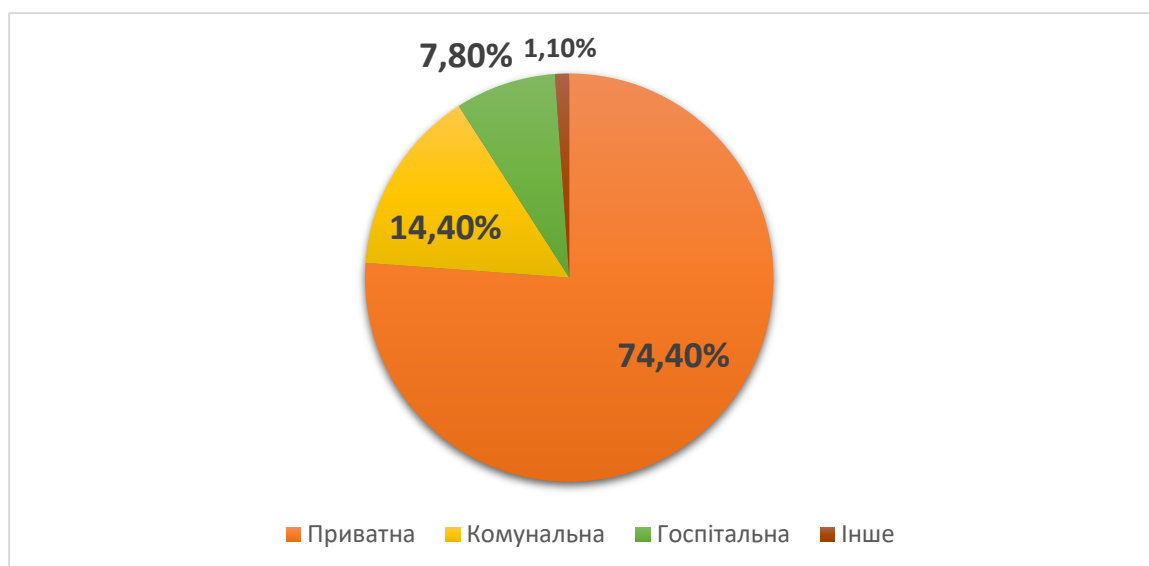


Рис. 2.3. Розподіл респондентів за типом аптечного закладу (n=90)

Таким чином, сформована репрезентативна вибірка фахівців (n=90) дозволяє перейти до детального аналізу результатів дослідження, що представлені у наступному розділі.

РОЗДІЛ 3. РЕЗУЛЬТАТИ ДОСЛІДЖЕННЯ ФАРМАЦЕВТИЧНОЇ ОПІКИ ПРИ ВИКОРИСТАННІ ПРЕПАРАТІВ ЗАЛІЗА У ПАЦІЄНТІВ З ХВОРОБОЮ РАНДЮ-ОСЛЕРА

У розділі представлено результати аналізу клінічного випадку пацієнтки з хворобою Рандю-Ослера (спадковою геморагічною телеангіектазією) та результати анкетного опитування фармацевтичних працівників щодо їхньої обізнаності про це захворювання та підходів до вибору препаратів заліза.

3.1. Результати аналізу клінічного випадку

Нами було проведено ретроспективний аналіз медичної документації пацієнтки з верифікованим діагнозом «синдром Рандю-Ослера (спадкова геморагічна телеангіектазія)». Жінка, 44 роки, діагноз підтверджено клінічно згідно з критеріями Курасао [3]. Сімейний анамнез обтяжений – у матері пацієнтки також спостерігалися прояви захворювання.

У таблиці 3.1 наведено основні дані щодо стану пацієнтки та призначеної фармакотерапії.

Таблиця 3.1

Дані листка призначення пацієнтки

Показник	Характеристика
Вік	44 роки
Стать	Жіноча
Основний діагноз	Синдром Рандю-Ослера (спадкова геморагічна телеангіектазія) [3]
Супутні захворювання та стани	Залізодефіцитна анемія легкого ступеня (Hb 95-105 г/л), гепатомегалія (підозра на вісцеральні артеріовенозні мальформації)
Анамнестичні дані	Рецидивуючі носові кровотечі (епістаксис) з частотою 2-3 рази на тиждень, три етапи ендоваскулярної емболізації верхньощелепної артерії (2023-2024 рр.), близько 20 госпіталізацій за 2023-2025 рр.

Показник	Характеристика
Призначене лікування	1. Аскорутин (аскорбінова кислота + рутин) – по 1 таблетці 3 рази на добу; 2. Кальцію глюконат – по 1 таблетці 3 рази на добу; 3. АТФ-лонг – по 1 таблетці 2 рази на добу; 4. Транексамова кислота 500 мг – по 1 таблетці при виникненні носової кровотечі (за потреби), але не більше 3 днів поспіль.

Джерело: складено автором на основі аналізу амбулаторної карти та виписок зі стаціонару.

Пацієнтка вважає себе хворою з 2022 року, коли вперше з'явилися інтенсивні спонтанні носові кровотечі. Надалі епізоди кровотеч повторювалися, зокрема у лютому 2022 року, березні 2023 року, березні та вересні 2024 року, а також у листопаді 2025 року. Пацієнтка перебуває під постійним наглядом лікаря-гематолога. У зв'язку з рецидивуючим перебігом захворювання та розвитком анемічного синдрому неодноразово проходила стаціонарне лікування у гематологічному відділенні: приблизно 8–10 госпіталізацій у 2023 році, близько 8 — у 2024 році та 5–6 — у 2025 році.

У зв'язку з рецидивуючим характером кровотеч та їхньою резистентністю до консервативної терапії у 2023–2024 роках пацієнтці проведено три етапи ендovasкулярного втручання — емболізації верхньощелепної артерії у нейрохірургічному відділенні. За результатами ультразвукового дослідження органів черевної порожнини виявлено гепатомегалію, що може свідчити про наявність вісцеральних судинних мальформацій, характерних для СГТ. Лабораторно встановлено залізодефіцитну анемію, зумовлену хронічною крововтратою.

Клінічні дані на момент аналізу

На момент аналізу пацієнтка скаржилась на періодичні носові кровотечі різної інтенсивності, загальну слабкість та запаморочення. Частота

епістаксису на момент аналізу терапії становила в середньому 2–3 епізоди на тиждень. Рівень гемоглобіну коливався в межах 95–105 г/л, що відповідало залізодефіцитній анемії легкого ступеня. Загальний стан пацієнтки порушений, супроводжувався зниженням працездатності, що було пов'язано з рецидивуючими кровотечами та проявами анемічного синдрому.

Призначена фармакотерапія

Пацієнтці було призначено курс комбінованої фармакотерапії тривалістю 10 днів, що включав такі лікарські засоби:

- Аскорутин (комбінація аскорбінової кислоти та рутину) – по 1 таблетці 3 рази на добу з метою зменшення проникності судинної стінки;
- Кальцію глюконат – по 1 таблетці 3 рази на добу, як засіб, що бере участь у процесах згортання крові;
- АТФ-лонг – по 1 таблетці 2 рази на добу для покращення метаболічних процесів та мікроциркуляції;
- Транексамова кислота 500 мг – по 1 таблетці при виникненні носової кровотечі (за потреби), але не більше 3 днів поспіль.

У попередні періоди загострення пацієнтка також застосовувала лікарські засоби, що входять до аналізованої схеми фармакотерапії, зокрема транексамову кислоту, лікарські засоби заліза, інші препарати симптоматичної терапії.

Клініко-фармацевтичний аналіз

Проведений клініко-фармацевтичний аналіз призначеної терапії дозволив виявити потенційні лікопов'язані проблеми та оцінити можливі ризики лікарських взаємодій. Зокрема, застосування транексамової кислоти потребує обережності у пацієнтів із підвищеним ризиком тромбоутворення, а також при можливому одночасному застосуванні з лікарськими засобами, що впливають на систему гемостазу (зокрема, антикоагулянтами). У таких випадках доцільним є моніторинг показників системи згортання крові. Аскорутин може впливати на гемостаз та потенційно змінювати ефекти антикоагулянтів, що потребує обережності при їх одночасному застосуванні.

Кальцію глюконат може знижувати ефективність блокаторів кальцієвих каналів при одночасному застосуванні, тому доцільним є клінічний моніторинг ефективності терапії.

Для препарату АТФ-лонг клінічно значущих лікарських взаємодій у доступних джерелах не виявлено (табл.3.2).

На підставі проведеного аналізу було сформульовано рекомендації з фармацевтичної опіки, спрямовані на підвищення безпеки фармакотерапії, зокрема моніторинг показників коагулограми та функції нирок при застосуванні транексамової кислоти, а також інформування пацієнтки щодо правил застосування лікарських засобів і необхідності дотримання призначеного режиму терапії .

Таблиця 3.2

**Клініко-фармацевтична характеристика призначеної
фармакотерапії**

Лікарський засіб	Механізм дії та режим застосування	Клінічна ефективність	Фармацевтичний моніторинг
Транексамова кислота	Антифібринолітик, 500 мг per os при виникненні кровотечі	Зменшення частоти та тривалості епістаксису	Контроль коагулограми, функції нирок [43]
Аскорутин	Ангіопротектор, 1 таб. 3 р/день	Зменшення проникності судинної стінки	Моніторинг АТ, можливі алергічні реакції [41]
Кальцію глюконат	Джерело кальцію, бере участь у процесах згортання крові	Покращення коагуляційних властивостей крові	Контроль рівня кальцію при тривалому застосуванні [44]
АТФ-лонг	Метаболічний засіб, покращує мікроциркуляцію	Покращення трофіки тканин	Специфічного моніторингу не потребує [45]

Результати спостереження

Після завершення 10-денного курсу терапії відзначалося суттєве покращення клінічного стану пацієнтки. Частота епістаксису зменшилась з 2–3 епізодів на тиждень до приблизно 1 епізоду на 1–2 тижні, при цьому кровотечі стали менш тривалими та менш інтенсивними. За результатами контрольного лабораторного обстеження у грудні 2025 року рівень гемоглобіну підвищився до 133 г/л, що відповідало нормальним показникам. Також відзначалося покращення загального самопочуття пацієнтки, зменшення проявів анемії (слабкість, запаморочення) та повне відновлення працездатності. Динаміка основних клініко-лабораторних показників наведена у табл. 3.3.

Таблиця 3.3

Динаміка клініко-лабораторних показників пацієнтки

Показник	Стан до лікування (2022–2023)	Стан після лікування (грудень 2025)
Гемоглобін	95–105 г/л (анемія легкого ступеня)	133 г/л (норма)
Епістаксис	Частий (2–3 рази на тиждень), рецидивуючий	Рідкісний (1 раз на 1–2 тижні), контрольований
Працездатність	Обмежена	Повна (повернення до роботи)

Обговорення

Епістаксис є найбільш поширеним клінічним проявом СГТ і спостерігається приблизно у 90–95% пацієнтів, що зумовлює значний вплив захворювання на якість життя та потребує ефективних стратегій фармакотерапії [10, 30]. У представленому клінічному випадку у пацієнтки спостерігався типовий перебіг синдрому Рандю-Ослера, що проявлявся рецидивуючими епізодами епістаксису, розвитком анемічного синдрому та необхідністю застосування інтервенційних методів лікування (емболізації верхньощелепної артерії).

Застосування транексамової кислоти за потреби сприяло зменшенню інтенсивності та тривалості епізодів носових кровотеч. Аналіз літературних джерел та міжнародних рекомендацій свідчить, що одним із препаратів, які застосовуються для контролю епістаксису при синдромі Рандю-Ослера, є транексамова кислота – антифібринолітик, що пригнічує фібриноліз та сприяє стабілізації тромбу. За даними клінічних досліджень, її використання може знижувати частоту кровотеч приблизно на 50% (рівень доказовості 1A) [10, 31]. Крім того, застосування транексамової кислоти при носових кровотечах передбачене чинними клінічними настановами.

До складу терапії також входили ангіопротекторні та метаболічні засоби, зокрема аскорутин, кальцію глюконат та АТФ-лонг. Аскорутин застосовувався з метою зменшення проникності судинної стінки, а кальцію глюконат – як засіб, що бере участь у процесах згортання крові. Призначення АТФ-лонгу було спрямоване на покращення метаболічних процесів та мікроциркуляції тканин. Водночас аналіз літературних даних показує, що доказова база щодо ефективності цих препаратів у лікуванні СГТ є обмеженою, і їх застосування має переважно допоміжний або симптоматичний характер [1, 4].

Позитивна клінічна динаміка у пацієнтки проявлялася зменшенням частоти епістаксису, нормалізацією рівня гемоглобіну (до 133 г/л) та відновленням працездатності. Підвищення рівня гемоглобіну, ймовірно, пов'язане передусім зі зменшенням частоти та інтенсивності кровотеч, що сприяло зниженню хронічної втрати заліза. Відомо, що у пацієнтів із СГТ важливим компонентом лікування є також корекція дефіциту заліза, оскільки тривалі кровотечі часто призводять до розвитку залізодефіцитної анемії. Це узгоджується з міжнародними рекомендаціями щодо ведення пацієнтів зі СГТ [9, 20], які передбачають регулярний контроль показників гемоглобіну та стану залізного обміну, а також своєчасну корекцію дефіциту заліза шляхом призначення його препаратів. Зокрема, скринінг рівня феритину, еритроцитів та гемоглобіну для виявлення залізодефіциту й анемії рекомендовано

проводити всім дорослим пацієнтам із СГТ незалежно від наявності симптомів, а також дітям із повторними кровотечами або клінічними ознаками анемії [9]. З огляду на це, важливою складовою фармацевтичної опіки є моніторинг показників залізного обміну. У разі виявлення порушень фармацевт може ініціювати обговорення з лікарем щодо доцільності призначення препаратів заліза з урахуванням їх фармакокінетичних особливостей для корекції залізодефіциту та лікування залізодефіцитної анемії.

Таким чином, комплексний підхід до ведення пацієнтів із синдромом Рандю-Ослера, що включає раціональну фармакотерапію, інтервенційні методи контролю кровотеч та активну фармацевтичну опіку (моніторинг безпеки, навчання пацієнта, комунікацію з лікарем), дозволяє досягти значного покращення клінічного стану та якості життя пацієнтів.

Рекомендації щодо фармацевтичної опіки в даному клінічному випадку:

а) Проводити моніторинг показників коагулограми (згортання крові, рівень фібриногену, час кровотечі) при застосуванні транексамової кислоти, особливо при тривалих курсах.

б) Контролювати показники залізного обміну (феритин, гемоглобін, еритроцити) для своєчасного виявлення залізодефіцитної анемії та прийняття рішення щодо призначення препаратів заліза.

в) Інформувати пацієнтку про правильний режим прийому лікарських засобів: транексамову кислоту застосовувати лише при виникненні кровотечі, не перевищувати рекомендовану тривалість (не більше 3 днів поспіль).

г) Роз'яснити пацієнтці необхідність негайного звернення до лікаря при появі симптомів тромбозу (біль у гомілках, задишка, раптове погіршення зору або мовлення).

д) За можливості забезпечити комунікацію між клінічним фармацевтом та лікарем-гематологом для оптимізації терапії.

3.2. Результати опитування фармацевтичних працівників

Паралельно з аналізом клінічного випадку було проведено анонімне анкетне опитування фармацевтичних працівників щодо їхньої обізнаності про хворобу Рандю-Ослера та практики консультування пацієнтів з приводу препаратів заліза. Усього опитано 90 респондентів.

Результати опитування щодо знайомства з рідкісним захворюванням наведено на рис. 3.1.

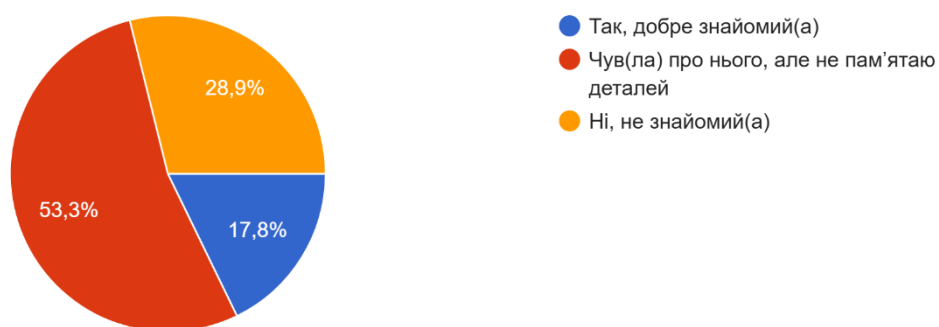


Рис. 3.1 Рівень обізнаності респондентів про хворобу Рандю-Ослера (n=90)

Виявлено, що лише 17,8% респондентів добре обізнані про це захворювання, тоді як понад половина (53,3%) має поверхове уявлення, а 28,9% взагалі не знайомі з патологією. Серед тих, хто відповів «так», джерелами інформації стали: навчання та література (близько 70,8%).

Частота звернень пацієнтів з приводу застосування препаратів заліза наведена на рис. 3.2.

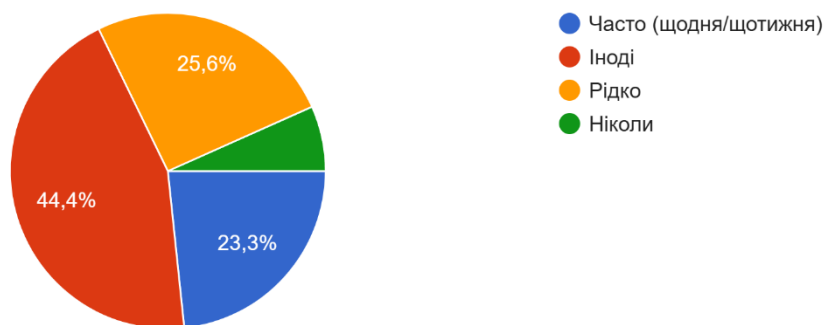


Рис. 3.2 Частота консультування щодо препаратів заліза (n=90)

Результати опитування свідчать, що майже половина респондентів (44,4%) хоча б іноді консультує пацієнтів щодо застосування препаратів заліза. Аналіз відповідей показав переважання рекомендацій пероральних форм заліза (90,0%), тоді як комбіновані препарати заліза з вітаміном С рекомендували 51,1% фармацевтичних працівників, а парентеральні препарати — лише 10,0%, що може свідчити про орієнтацію фахівців переважно на пероральну феротерапію. (рис. 3.3).

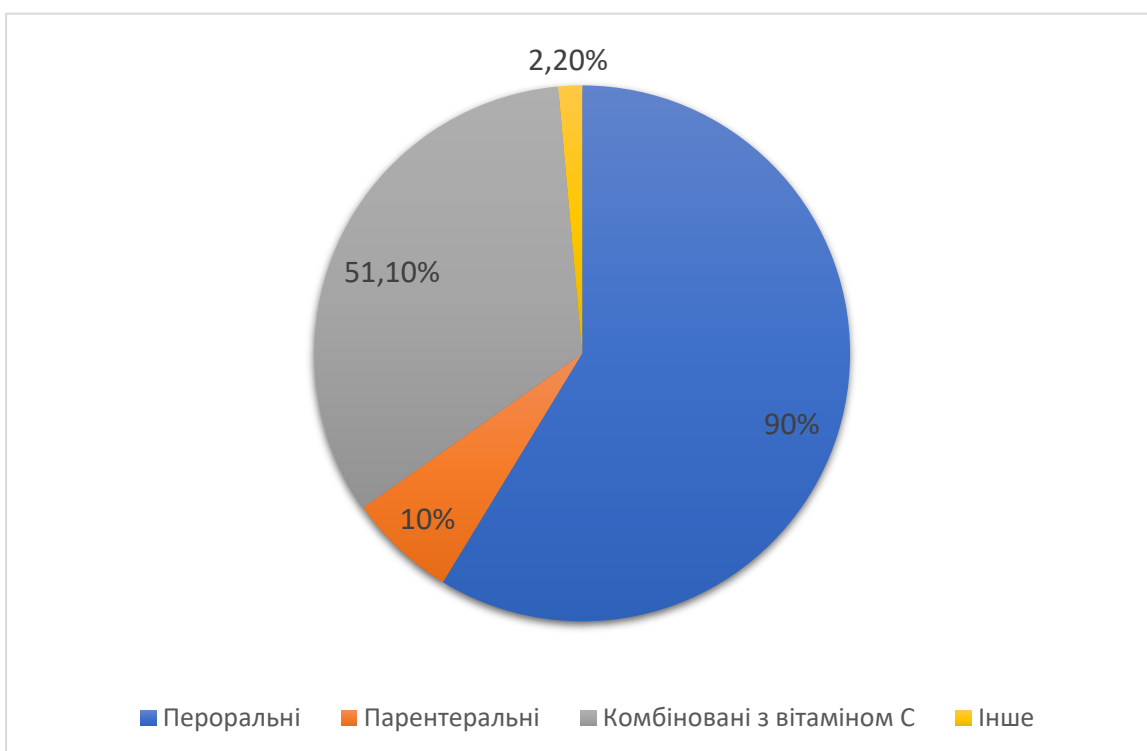


Рис. 3.3 – Форми препаратів заліза, які найчастіше рекомендують фармацевтичні працівники (множинний вибір, n=90)

Отримані результати свідчать, що при рекомендації препаратів заліза фармацевтичні працівники насамперед орієнтуються на характеристики, пов'язані з безпекою та зручністю застосування лікарського засобу. Найбільше значення мають лікарська форма препарату (70,0%), ризик небажаних реакцій (67,8%) та переносимість терапії (63,3%). Водночас лише 44,4% респондентів враховують можливі лікарські взаємодії, що може

свідчити про недостатність уваги до цього аспекту фармацевтичної опіки(рис3.4).

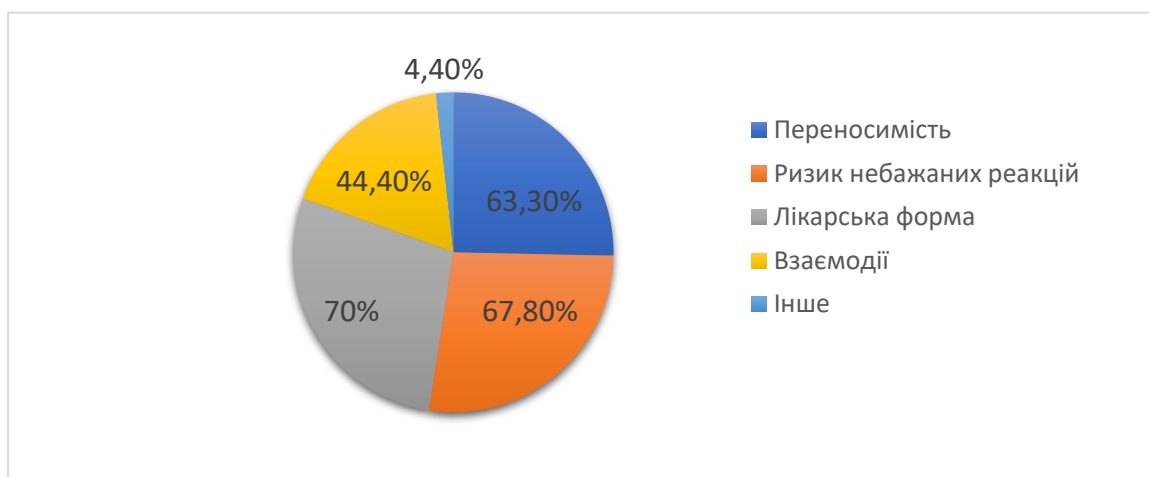


Рис. 3.4 Чинники, що впливають на вибір препарату заліза (множинний вибір, n=90)

Аналіз відповідей показав, що більшість фармацевтичних працівників надають пацієнтам рекомендації щодо особливостей застосування препаратів заліза. Найчастіше респонденти радять приймати препарати після їжі (67,8%) та уникати одночасного вживання певних продуктів або лікарських засобів, які можуть впливати на всмоктування заліза (64,4%). Крім того, 53,3% опитаних інформують пацієнтів про можливу зміну кольору калу під час терапії (рис.3.5) Водночас лише 3,3% респондентів зазначили інші рекомендації.

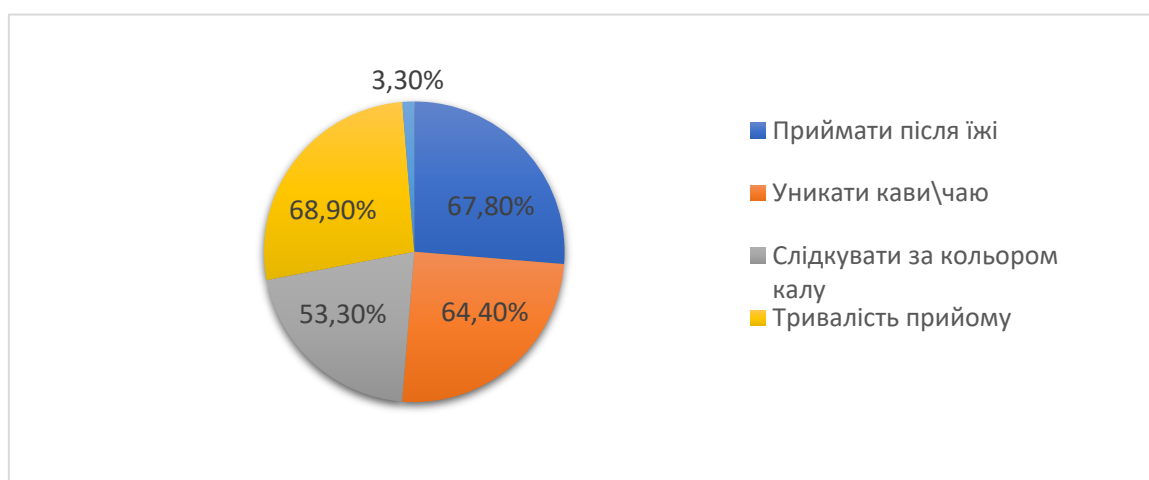


Рис. 3.5 Рекомендації, що надаються пацієнтам (множинний вибір, n=90)

Респондентам було запропоновано оцінити потенційні ризики при призначенні препаратів заліза пацієнтам із кровоточивими захворюваннями (зокрема, хворобою Рандю-Ослера). Результати наведено в таблиці 3.4.

Таблиця 3.4.

Ризики, які слід враховувати при призначенні заліза пацієнтам із судинними/кровоточивими захворюваннями (множинний вибір, n=90)

Ризик	Кількість респондентів	Відносна кількість (%)
Подразнення слизової оболонки шлунка або кишечника	51	56,7
Можливе посилення симптомів анемії через хронічні кровотечі	44	48,9
Труднощі у визначенні ефективності терапії через постійну втрату крові	53	58,9
Погана переносимість пероральних форм препаратів заліза	37	41,1
Ризик розвитку запору або нудоти	44	48,9
Несумісність із деякими лікарськими засобами (наприклад, антикоагулянтами)	60	66,7
Необхідність ретельного лабораторного моніторингу рівня гемоглобіну та феритину	66	73,3
Інше	1	1,1

Джерело: складено автором на основі результатів анкетування.

Дані, представлені в таблиці 3.4, свідчать про те, що при призначенні препаратів заліза пацієнтам із судинними та кровоточивими захворюваннями фармацевтичні працівники найчастіше враховують необхідність регулярного лабораторного моніторингу рівнів гемоглобіну та феритину (73,3%). Важливими факторами також визнано можливу несумісність препаратів заліза з іншими лікарськими засобами (66,7%), труднощі в оцінці ефективності терапії на тлі постійної крововтрати (58,9%) та ризик подразнення слизової оболонки шлунка або кишечника (56,7%).

Результати анкетування свідчать про позитивне ставлення фармацевтичних працівників до ролі фармацевтичної опіки у підвищенні ефективності лікування пацієнтів. Зокрема, 63,3% респондентів безумовно вважають, що фармацевтична опіка здатна покращити ефективність терапії, а ще 27,8% погоджуються з цим частково. Водночас 6,7% опитаних не змогли визначитися з відповіддю, а лише 2,2% не вбачають суттєвого впливу фармацевтичної опіки на результати лікування (рис.3.6)

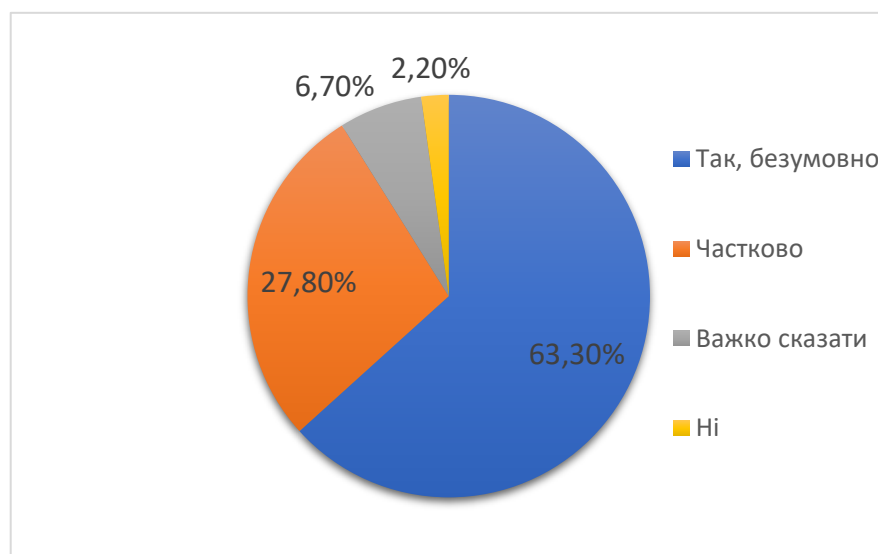


Рис. 3.6 Думка респондентів щодо ролі фармацевтичної опіки (n=90)

Виявлено, що найважливішими елементами фармацевтичної опіки респонденти вважають взаємодію з лікарем (82,2%) та контроль дотримання режиму прийому лікарських засобів (81,1%). Високу значущість також має моніторинг небажаних реакцій, на який вказали 65,6% опитаних. Понад половина респондентів (53,3%) відзначили важливість своєчасного виявлення симптомів кровотечі, тоді як навчання пацієнта щодо особливостей харчування визнали важливим 42,2% фармацевтичних працівників (талиця 3.5).

**Найважливіші елементи фармацевтичної опіки
(множинний вибір, n=90)**

Елемент фармацевтичної опіки	Кількість осіб	Відносна кількість (%)
Взаємодія з лікарем	74	82,2
Виявлення симптомів кровотечі	48	53,3
Моніторинг побічних реакцій	59	65,6
Навчання пацієнта щодо харчування	38	42,2
Контроль дотримання режиму прийому	73	81,1

Продовження таблиці 3.1

Понад 80% респондентів вказали на необхідність додаткового навчання щодо сучасних препаратів заліза, що підкреслює актуальність удосконалення професійної підготовки фармацевтичних працівників. У Додатку 2 представлено оптимізований алгоритм фармацевтичної опіки пацієнтів із хворобою Рандю–Ослера.

Висновки до розділу 3

- Хронічні крововтрати при хворобі Рандю–Ослера є основною причиною розвитку залізодефіцитної анемії та потребують тривалої корекції препаратами заліза.
- Аналіз клінічного випадку підтвердив важливість індивідуалізованого підходу до вибору препаратів заліза та здійснення фармацевтичної опіки для підвищення ефективності й безпеки лікування.
- Результати анкетування засвідчили потребу в поглибленні знань фармацевтичних працівників щодо особливостей фармацевтичної опіки пацієнтів із хворобою Рандю–Ослера.

ВИСНОВКИ

- За результатами анкетування фармацевтичних працівників (n=90) встановлено недостатній рівень обізнаності щодо хвороби Рандю–Ослера: лише 17,8% респондентів добре обізнані з даним захворюванням, тоді як 93,3% вказали на необхідність додаткового навчання щодо сучасних препаратів заліза та особливостей фармацевтичної опіки.
- Аналіз клінічного випадку підтвердив важливість комплексного ведення пацієнтів із хворобою Рандю–Ослера, що включає корекцію залізодефіцитної анемії препаратами заліза, моніторинг показників гемоглобіну та феритину, а також оцінку потенційних лікарських взаємодій.
- Розроблено практичні рекомендації щодо оптимізації фармацевтичної опіки при застосуванні препаратів заліза у пацієнтів із хворобою Рандю–Ослера, спрямовані на підвищення ефективності та безпеки фармакотерапії.

ПРАКТИЧНІ РЕКОМЕНДАЦІЇ

На підставі результатів аналізу клінічного випадку та анкетування фармацевтичних працівників розроблено практичні рекомендації щодо оптимізації фармацевтичної опіки при застосуванні препаратів заліза у пацієнтів із хворобою Рандю–Ослера:

1. Проводити оцінку наявності ознак залізодефіцитної анемії та частоти епізодів кровотеч під час фармацевтичного консультування пацієнтів.
2. Контролювати ефективність феротерапії за показниками гемоглобіну, феритину та клінічними проявами анемії.
3. Надавати рекомендації щодо раціонального застосування препаратів заліза, зокрема, щодо особливостей режиму прийому, тривалості терапії та можливих лікарських взаємодій.
4. Здійснювати моніторинг переносимості препаратів заліза та своєчасно виявляти небажані реакції, що можуть впливати на прихильність пацієнта до лікування.
5. Інформувати пацієнтів про необхідність звернення до лікаря у разі посилення кровотеч, погіршення симптомів анемії або виникнення небажаних реакцій на фармакотерапію.

СПИСОК ВИКОРИСТАНИХ ДЖЕРЕЛ

1. Floria M, Năfureanu ED, Iov DE, et al. Hereditary Hemorrhagic Telangiectasia and Arterio-Venous Malformations – From Diagnosis to Therapeutic Challenges. *J Clin Med*. 2022;11(9):2634. DOI: 10.3390/jcm11092634
2. Al-Samkari H. How I treat bleeding in hereditary hemorrhagic telangiectasia. *Blood*. 2024;144(9):940-954. DOI: 10.1182/blood.2024024001
3. McDonald J, Wooderchak-Donahue W, Webb CV, et al. Curaçao diagnostic criteria for hereditary hemorrhagic telangiectasia is highly predictive of a pathogenic variant in ENG or ACVRL1 (HHT1 and HHT2). *Genet Med*. 2020;22(7):1201-1205. DOI: 10.1038/s41436-020-0775-8
4. Żyła D, Zych K, Krawczyk M, Nowakowska J. Hereditary Hemorrhagic Telangiectasia—Current Therapies and Future Prospects. *J Vasc Dis*. 2025;4(4):43. DOI: 10.3390/jvd4040043
5. Geisthoff UW, Mahnken AH, Denzer UW, Kemmling A, Nimsky C, Stuck BA. Hereditary Hemorrhagic Telangiectasia (Osler's Disease): Systemic, Interdisciplinary, Relatively Common—and Often Missed. *Dtsch Arztebl Int*. 2024;121(18):601-607. DOI: 10.3238/arztebl.m2024.0111
6. Wishart DS, Feunang YD, Guo AC, et al. DrugBank 5.0: a major update to the DrugBank database for 2018. *Nucleic Acids Res*. 2018;46(D1):D1074-D1082. DOI: 10.1093/nar/gkx1037
7. Compendium. Хвороба Рандю-Ослера (Спадкова геморагічна телеангіектазія). 2025. URL: <https://compendium.com.ua/uk/handbooks-uk/nozologia-dovidnyk/hvoroba-randyu-oslera/>
8. Farneti P, Marcos-Salazar S, Crocione C, et al. Consensus on Sclerotherapy for Patients With Hereditary Hemorrhagic Telangiectasia–Related Epistaxis. *JAMA Otolaryngol Head Neck Surg*. 2025;151(9):881-887. DOI: 10.1001/jamaoto.2025.2296
9. Pavel C, Cabel T, Dinuță D, et al. Hereditary Hemorrhagic Telangiectasia—A Case Series Experience from a Liver Transplant Center in Romania. *Diagnostics*. 2022;12(12):2959. DOI: 10.3390/diagnostics12122959

10. Al-Samkari H. Hereditary hemorrhagic telangiectasia: systemic therapies, guidelines, and an evolving standard of care. *Blood*. 2021;137(7):888-895. DOI: 10.1182/blood.2020008739

11. Duan HG, Ji F, Yuan H, et al. Endoscopic Vascular Grading Directs Stepwise Therapy in Hereditary Hemorrhagic Telangiectasia. *Laryngoscope Investig Otolaryngol*. 2025;10(5):e70272. DOI: 10.1002/lio2.70272

12. Epistaxis Prevention, Treatment, and Future Perspectives for Hereditary Hemorrhagic Telangiectasia. *J Clin Med*. 2025;14(21):7724. DOI: 10.3390/jcm14217724

13. Hereditary hemorrhagic telangiectasia - Symptoms and causes. Mayo Clinic. 2025. URL: <https://www.mayoclinic.org/diseases-conditions/hht/symptoms-causes/syc-20351135>

14. Dhanvijay AD, et al. Efficacy of daily versus alternate day oral iron supplementation for management of anaemia: systematic review and meta-analysis. *BMC Pharmacol Toxicol*. 2025;26(1):152. DOI: 10.1186/s40360-025-00984-2

15. Cure HHT. Iron deficiency in HHT. 2024. URL: <https://curehht.org/resource/iron-deficiency-hht/>

16. Zarrabeitia R, Fariñas-Álvarez C, Santibáñez M, et al. Quality of life in patients with hereditary haemorrhagic telangiectasia (HHT). *Health Qual Life Outcomes*. 2017;15(1):19. DOI: 10.1186/s12955-017-0586-z

17. Cappellini MD, Musallam KM, Taher AT. Iron deficiency anaemia revisited. *J Intern Med*. 2025;297(1):15-32. DOI: 10.1111/joim.20005

18. Державний експертний центр МОЗ України. Настанова СТ-Н МОЗУ 42-7.17:2025 «Лікарські засоби. Клінічні дослідження лікарських засобів для лікування або профілактики захворювань в умовах пандемії, надзвичайної ситуації, особливого періоду. Загальні положення». Київ: ДЕЦ МОЗ України; 2025.

43 с. https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2025/03/2025_03_18_nastanova-st-n-mozu-42-7-17-2025.pdf

19. Sharp PA. Iron from the gut: the role of divalent metal transporter 1. *J Clin Biochem Nutr*. 2024;74(1):1-8. DOI: 10.3164/jcbtn.23-47

20. Benson AE, Lo JO, Achebe MO, et al. Management of iron deficiency in children, adults, and pregnant individuals: evidence-based and expert consensus recommendations. *Lancet Haematol.* 2025;12(5):e376-e388. DOI: 10.1016/S2352-3026(25)00038-9
21. Patel PN, et al. Comparative Effectiveness and Safety of Intravenous Versus Oral Iron Therapy With Iron-Deficient Heart Failure: A Network Meta-Analysis of Randomized Controlled Trials. *Cureus.* 2025 Sep 11;17(9):e92087. DOI: 10.7759/cureus.92087
22. Ferric maltol. MedPath Drug Monograph. 2025. URL: <https://trial.medpath.com/drug/fc8b3bb44389c58d/ferric-maltol>
23. Gómez-Ramírez S, Brilli E, Tarantino G, Girelli D, Muñoz M. Sucrosomial® Iron: An Updated Review of Its Clinical Efficacy for the Treatment of Iron Deficiency. *Pharmaceuticals.* 2023;16(6):847. DOI: 10.3390/ph16060847
24. Anker SD, et al. Ferric Carboxymaltose in Heart Failure with Iron Deficiency. *N Engl J Med.* 2025;392(22):2245-2254. DOI: 10.1056/NEJMoa2416987
25. Iron Therapy in Pediatric Iron Deficiency and Iron-Deficiency Anemia: A Narrative Review. *Hematol Rep.* 2026;18(1):6. DOI: 10.3390/hematolrep18010006
26. Pantopoulos K. Oral iron supplementation: new formulations, old questions. *Haematologica.* 2024;109(9):2790-2801. DOI: 10.3324/haematol.2024.284967
27. Prognostic impact of iron deficiency in new-onset chronic heart failure: Danish Heart Failure Registry insights. *ESC Heart Fail.* 2025;12(2):1346-1357. DOI: 10.1002/ehf2.70047
28. Iron Deficiency in Heart Failure: From ESC Guidelines to Clinical Practice. *J Clin Med.* 2025;14(18):6723. DOI: 10.3390/jcm14186723
29. Kumar A, Sharma E, Marley A, et al. Iron deficiency anaemia: pathophysiology, assessment, practical management. *BMJ Open Gastroenterol.* 2022;9(1):e000759. DOI: 10.1136/bmjgast-2021-000759

30. Al-Samkari H. How I treat bleeding in hereditary hemorrhagic telangiectasia. *Blood*. 2024;144(9):940-954. DOI: [10.1182/blood.2024024001](https://doi.org/10.1182/blood.2024024001)
31. Van Doren L, Steinheiser M, Boykin K, et al. Expert consensus guidelines: Intravenous iron uses, formulations, administration, and management of reactions. *Am J Hematol*. 2024;99(7):1338-1348. DOI: 10.1002/ajh.27220
33. Mubarak M, Rehman F. Efficacy and Safety of Intravenous Versus Oral Iron in Treating Maternal Anaemia During Pregnancy: A Systematic Review and Meta-Analysis. *Cureus*. 2025;17(9):e92775. DOI: 10.7759/cureus.92775
34. Auerbach M, et al. Intravenous iron: a review of current practice and new developments. *Am J Hematol*. 2023;98(12):1945-1956. DOI: 10.1002/ajh.27123
35. Potential and emerging therapeutics for HHT: a case report and review. *Hematology Am Soc Hematol Educ Program*. 2024;2024(1):724-727. DOI: 10.1182/hematology.2024000675
36. Saha P, et al. Ferric carboxymaltose in iron deficiency anemia. *Int J Obstet Gynaecol Res*. 2024;9(1):45-52. URL: <https://ijogr.org/archive/volume/9/issue/1/article/13409>
37. Wolf M, Rubin J, Achebe M, et al. Effects of Iron Isomaltoside vs Ferric Carboxymaltose on Hypophosphatemia in Iron-Deficiency Anemia: Two Randomized Clinical Trials. *JAMA*. 2020;323(5):432-443. DOI: 10.1001/jama.2019.22450. PMID: 32016310.
38. Risk of Hypophosphatemia Following Postpartum Anemia Treatment with IV Ferric Carboxymaltose, IV Ferric Derisomaltose, and Oral Ferrous Sulfate. *J Clin Med*. 2025;14(23):8393. DOI: 10.3390/jcm14238393
39. Lucas S, Chauhan A, Hurley C, et al. Intravenous administration of ferric derisomaltose is associated with a higher incidence of infusion reactions than ferric carboxymaltose, and unaffected by dilution volume. *Intern Med J*. 2025;55(8):1293-1300. DOI: 10.1111/imj.70100
40. Babitt JL, Eisenga MF, Haase VH, et al. Controversies in Optimal Anemia Management: Conclusions from a Kidney Disease: Improving Global Outcomes

(KDIGO) Conference. *Kidney Int.* 2025;107(2):208-222.
DOI: 10.1016/j.kint.2024.11.011.

41. Аскорутин [інструкція для медичного застосування]. Київ: ТОВ «Фармацевтична компанія «Здоров'я»; 2024. (Дата оновлення: 26.09.2024).

Доступно: <https://compendium.com.ua/uk/instructions/ascorutinum-tablet/>

42. St. Luke's Hospital. Calcium Gluconate. 2023. Available from: <https://www.stlukesonline.org/health-blogs/drug-information/calcium-gluconate>

43. Транексамова кислота-ЗДОРОВ'Я [інструкція для медичного застосування]. Державна реєстрація: UA/16157/01/01 з 09.12.2021. Оновлено: 13.03.2026. URL: [https://likicontrol.com.ua/інструкція/?\[38280\]](https://likicontrol.com.ua/інструкція/?[38280])

44. Кальцію глюконат [інструкція для медичного застосування]. Державна реєстрація: UA/6048/01/01 з 30.06.2017. Оновлено: 17.04.2026. URL: [https://likicontrol.com.ua/інструкція/?\[23083\]](https://likicontrol.com.ua/інструкція/?[23083])

45. АТФ-ЛОНГ® [інструкція для медичного застосування]. Державна реєстрація: UA/19052/01/01 з 02.07.2021 (необмежений). Оновлено: 27.08.2025. URL: [https://likicontrol.com.ua/інструкція/?\[38202\]](https://likicontrol.com.ua/інструкція/?[38202])

SUMMARY

Yevdokymova Yelyzaveta

PHARMACEUTICAL CARE IN THE USE OF IRON PREPARATIONS IN PATIENTS WITH RENDU-OSLER DISEASE

Department of Clinical Pharmacology and Clinical Pharmacy

Scientific supervisor: Candidate of Biological Sciences, Associate Professor Temirova Olena

Keywords: Rendu-Osler disease, hereditary hemorrhagic telangiectasia, iron deficiency anemia, iron preparations, pharmaceutical care, tranexamic acid

Introduction. Rendu-Osler disease (hereditary hemorrhagic telangiectasia) is a rare autosomal dominant disorder characterized by multisystem vascular dysplasia and recurrent bleeding, most commonly epistaxis. Chronic blood loss leads to the development of iron deficiency anemia, which significantly impairs patients' quality of life, causing fatigue, dyspnea, tachycardia, and in severe cases, heart failure. Pharmacotherapy of anemia in such patients has its own peculiarities: along with traditional oral iron preparations (ferrous salts), new formulations (sucrosomial iron, ferric maltol) as well as parenteral complexes (ferric carboxymaltose, ferric derisomaltose) are increasingly used, which allow rapid correction of iron deficiency and have a better safety profile.

Materials and methods. An anonymous survey of 90 pharmaceutical workers was conducted regarding their awareness of Rendu-Osler disease and the practice of counseling patients on the use of iron preparations. A retrospective analysis of the medical records of a patient with verified Rendu-Osler disease was also performed using the case method, including clinical and pharmaceutical analysis of the prescribed pharmacotherapy and assessment of potential drug interactions using the DrugBank Online database.

Results and conclusions. The survey results indicate a low level of awareness of Rendu-Osler disease among pharmaceutical workers (only 17.8% are well-informed). The vast majority of respondents (93.3%) recognize the importance of pharmaceutical care and consider additional training in the clinical and pharmacological aspects of modern iron preparations necessary. The analysis of the clinical case showed that the use of tranexamic acid as needed, along with ascorutin, calcium gluconate and ATP-long, contributed to a reduction in the frequency of nosebleeds (from 2-3 times per week to once every 1-2 weeks) and normalization of hemoglobin levels (up to 133 g/l). Pharmaceutical care includes monitoring of coagulogram, renal function and iron metabolism parameters, patient education and communication between the clinical pharmacist and the hematologist.

Додаток А

Таблиця 2

Анкета для фармацевтичних працівників

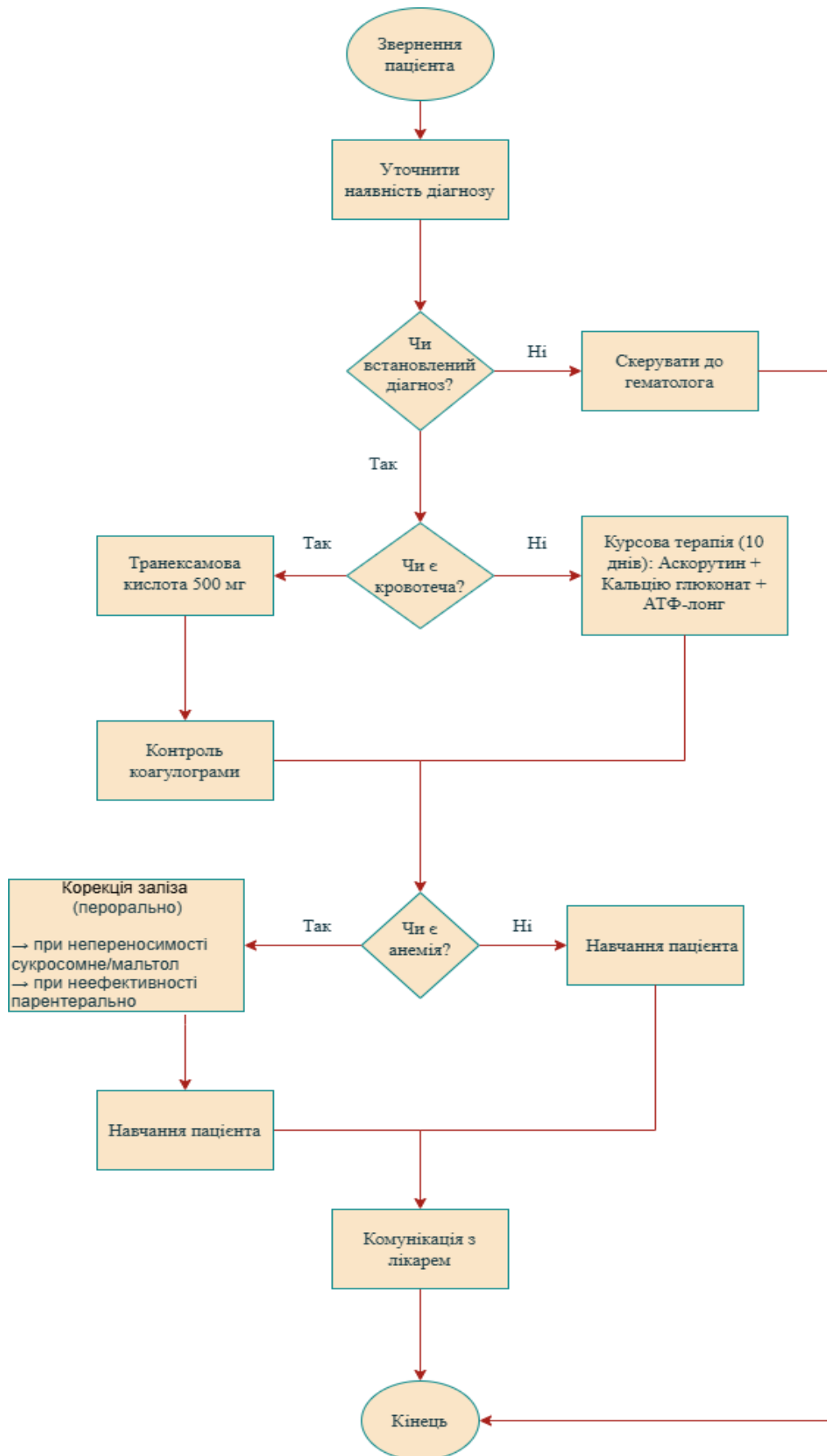
№	Перелік запитань анкети	Варіанти відповідей
1	Ваша посада в аптечній галузі	- Асистент фармацевта - Фармацевт - Завідувач аптеки - Клінічний фармацевт - Студент
2	Стаж роботи у фармацевтичній практиці	- до 1 року - 1-5 років - 6-10 років - понад 10 років
3	Тип аптеки, у якій Ви працюєте	- Комунальна - Приватна - Госпітальна (лікарняна аптека) - Не працюю
4	Чи знайомі Ви із синдромом Рандю-Ослера (спадковою геморагічною телеангіектазією)?	- Так, добре знайомий(а) - Чув(ла), але не знаю клінічних особливостей - Ні, не знайомий(а)
5	Якщо так – звідки Ви дізналися про нього?	- Навчання - Практика - Література
6	Як часто Ви консультуєте відвідувачів аптек щодо застосування препаратів заліза?	- Часто (щодня/щотижня) - Іноді - Рідко - Ніколи
7	Які форми препаратів заліза Ви найчастіше рекомендуєте? (Можна вибрати кілька варіантів)	- Пероральні (таблетки, капсули, сиропи) - Парентеральні (ін'єкції) - Комбіновані з вітаміном С
8	На які чинники Ви звертаєте увагу при виборі препарату заліза для пацієнта? (Можна вибрати кілька варіантів)	- Переносимість - Ризик небажаних ефектів - Лікарська форма - Взаємодії

№	Перелік запитань анкети	Варіанти відповідей
9	Чи доводилось Вам консультиувати пацієнтів із частими кровотечами або анемією, не пов'язаною із залізодефіцитом?	<ul style="list-style-type: none"> - Так - Ні - Інше
10	Які основні рекомендації Ви зазвичай надаєте відвідувачам аптек, що приймають препарати заліза? (Можна вибрати кілька варіантів)	<ul style="list-style-type: none"> - Приймати після їжі - Уникати кави/чаю - Слідкувати за кольором калу - Тривалість прийому тощо
11	На Вашу думку, які ризики слід враховувати при призначенні препаратів заліза пацієнтам із судинними або кровоточивими захворюваннями (зокрема синдромом Рандю-Ослера)? (Можна вибрати кілька варіантів)	<ul style="list-style-type: none"> - Подразнення слизової оболонки шлунка або кишечника - Можливе посилення симптомів анемії через хронічні кровотечі - Труднощі у визначенні ефективності терапії через постійну втрату крові - Погана переносимість пероральних форм препаратів заліза - Ризик розвитку закрепку або нудоти - Несумісність із деякими лікарськими засобами (наприклад, антикоагулянтами) - Необхідність ретельного лабораторного моніторингу рівня гемоглобіну та феритину
12	Чи вважаєте Ви, що фармацевтична опіка може покращити ефективність лікування анемії у таких пацієнтів?	<ul style="list-style-type: none"> - Так, безумовно - Частково - Важко сказати - Ні
13	Які елементи фармацевтичної опіки Ви вважаєте найважливішими у цьому випадку? (Можна вибрати кілька варіантів)	<ul style="list-style-type: none"> - Взаємодія з лікарем - Виявлення симптомів кровотечі - Навчання пацієнта щодо харчування - Контроль дотримання режиму прийому - Моніторинг побічних реакцій

№	Перелік запитань анкети	Варіанти відповідей
14	Чи, на Вашу думку, фармацевтичні працівники потребують додаткової підготовки з клініко-фармакологічних особливостей сучасних лікарських форм препаратів заліза (зокрема FDI, сукросомного заліза)?	<ul style="list-style-type: none"> - Так, це необхідно для ефективної фармацевтичної опіки - Ні, наявних знань достатньо - Це потрібно лише для працівників спеціалізованих аптек

Додаток Б

Алгоритм фармацевтичної опіки при синдромі Рандю-Ослера



Додаток В

Оглядові тези «Роль фармацевтичної опіки при орфанних захворюваннях (на прикладі синдрому Рендю-Ослера)» в науково-практичній Internet-конференції «Актуальні питання клінічної фармакології та клінічної фармації»

РОЛЬ ФАРМАЦЕВТИЧНОЇ ОПІКИ ПРИ ОРФАННИХ ЗАХВОРЮВАННЯХ (НА ПРИКЛАДІ СИНДРОМУ РЕНДЮ-ОСЛЕРА)

Євдокимова Є.В., Темірова О.А.

*Національний медичний університет імені О. О. Богомольця
м. Київ, Україна*

*Кафедра клінічної фармакології та клінічної фармації
levdokimova636@gmail.com*

Вступ. Орфанні захворювання — це рідкісні генетичні патології, які зустрічаються менш ніж у 1 людини на 2000 населення. Вони характеризуються складністю діагностики та лікування, що зумовлено обмеженою доступністю ефективних лікарських засобів, їх високою вартістю та потребою в індивідуальному підході до фармакотерапії. Синдром Рендю-Ослера (спадкова гемо-рагічна телеангіектазія) є прикладом орфанного захворювання, що характеризується васкулярними мальформаціями, рецидивуючими носовими кровотечами (епістаксісом), анемією та ризиком артеріовенозних мальформацій у легенях, печінці та мозку. Дослідження фармацевтичної опіки є важливим напрямом, спрямованим на підвищення ефективності лікування та якості життя пацієнтів із цим орфанним захворюванням.

Мета. Аналіз особливостей фармацевтичної опіки при орфанних захворюваннях на прикладі синдрому Рендю-Ослера з акцентом на вибір лікарських засобів, моніторинг небажаних ефектів та інформаційні заходи для пацієнтів.

Матеріали та методи. Проведено аналіз наукових статей із баз даних PubMed та Cochrane Library за період 2020-2025 рр. Використано ключові слова: "hereditary hemorrhagic telangiectasia", "ННТ", "pharmaceutical care", "drug therapy", "orphan disease". Переглянуто 15 наукових праць, серед яких контрольовані дослідження та рекомендації. Інформацію оброблено з урахуванням принципів доказової медицини за шкалою GRADE.

Результат. Виявлено, що фармацевтична опіка при телеангіектазії фокусується на профілактиці та контролі носових кровотеч, корекції анемії та зменшенні васкулярних мальформацій. До основних лікарських засобів, що застосовуються у пацієнтів із синдромом Рендю-Ослера, належить транексамова кислота — антифібринолітичний препарат, який може використовуватися як місцево, так і системно для контролю епістаксису. Рекомендована пероральна доза становить 1–1,5 г на добу. Дані рандомізованих контрольованих випробувань демонструють, що транексамова кислота зменшує частоту носових кровотеч приблизно на 50 %, що підтверджує її клінічну ефективність у даній групі пацієнтів. Бевацизумаб, інгібітор фактора росту судинного ендотелію, застосовується у пацієнтів із рецидивуючим епістаксісом внутрішньовенно в дозі 5–10 мг/кг кожні 2–4 тижні або інтраназально. Клінічні дослідження демонструють покращення якості життя у 70–80 % пацієнтів. Проте терапія пов'язана з ризиком розвитку артеріальної гіпертензії та тромбоемболічних ускладнень, що потребує регулярного моніторингу артеріального тиску та показників коагуляції щонайменше кожні 4 тижні. У комплексній терапії пацієнти отримують препарати заліза для корекції хронічної залізодефіцитної анемії.

У терапії пацієнтів з орфаними захворюваннями, зокрема синдромом Рендю–Ослера, клінічний фармацевт забезпечує оцінку лікарських взаємодій (наприклад, транексамової кислоти з антикоагулянтами), розробку індивідуального плану лікування, навчання пацієнта щодо самостійного застосування лікарських засобів, моніторинг доступу до орфанних лікарських засобів за програмами ЄС/України та оцінку фармакоекономічних аспектів, включаючи препарати заліза для корекції анемії.

Висновки: фармацевтична опіка у пацієнтів з орфаними захворюваннями, зокрема синдромом Рендю–Ослера, підвищує ефективність та безпеку фармакотерапії. Вона дозволяє оптимізувати застосування препаратів заліза та орфанних лікарських засобів і сприяє покращенню якості життя пацієнтів. Важливими є подальші дослідження, спрямовані на індивідуалізацію лікування та оцінку фармакоекономічної доцільності терапевтичних стратегій.

Додаток Г
Диплом переможця секції «Клінічна фармакологія та клінічна
фармація»


ДИПЛОМ
I ступеня
надається
Євдокимовій Єлизаветі Віталіївні

Науковий керівник: к.біол.н., доцентка Темірова Олена Анатоліївна
Секція: Клінічна фармакологія та клінічна фармація

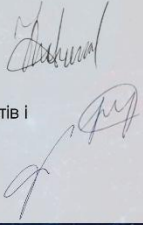
Назарій КОБИЛЯК
Проректор з наукової роботи та інновацій,
д.мед.н., професор

Ірина КОСТЮК
Голова Товариства молодих вчених, аспірантів і
спеціалістів, к.фарм.н., доцент

Роман СИРВАТКА
Голова СНТ імені О. А. Киселя



2026
SPRING STUDENT'S
SCIENTIFIC SESSION



Додаток Д
Диплом переможця конференції Case2026



DIPLOMA

III PLACE
IS AWARDED TO

YELYZAVETA YEVDOKYMOVA

**SCIENTIFIC SUPERVISOR:
OLENA TEMIROVA**

for presentation of student's scientific work in the section of

PHARMACOLOGY

Kobyliak N.
Vice-rector for research and
innovations, professor, MD. DSC

Kostiuk I.
Associate professor, CPSC
Head of SYSPS

Syrvatka R.
Head of Kysil SSS

Додаток Е
Сертифікат участі у науково-практичній Internet-конференції з міжнародною участю «Актуальні питання клінічної фармакології та клінічної фармації»



МІНІСТЕРСТВО ОХОРОНИ ЗДОРОВ'Я УКРАЇНИ
НАЦІОНАЛЬНИЙ ФАРМАЦЕВТИЧНИЙ УНІВЕРСИТЕТ
ІНСТИТУТ ПІДВИЩЕННЯ КВАЛІФІКАЦІЇ СПЕЦІАЛІСТІВ ФАРМАЦІЇ
КАФЕДРА КЛІНІЧНОЇ ФАРМАКОЛОГІЇ

**Науково-практична Internet-конференція з міжнародною участю
АКТУАЛЬНІ ПИТАННЯ КЛІНІЧНОЇ ФАРМАКОЛОГІЇ ТА КЛІНІЧНОЇ ФАРМАЦІЇ
TOPICAL ISSUES OF CLINICAL PHARMACOLOGY AND CLINICAL PHARMACY**

СЕРТИФІКАТ № 150 Даний сертифікат засвідчує, що

Єлизавета ЄВДОКИМОВА

28 жовтня 2025 року брав (ла) участь у науково-практичній Internet-конференції за програмою тривалістю 8 годин / 0,27 кредити ЄКТС

Досягнуті програмні результати навчання:

- ✓ здійснювати аналіз та оцінку інформації про ефективність та безпеку застосування лікарських засобів;
- ✓ використовувати сучасні підходи забезпечення раціонального застосування лікарських засобів.

В.о. ректора НФаУ,
доктор фармацевтичних наук,
професор

  Олександр КУХТЕНКО

м. Харків

Додаток Ж
Довідка про прийняття статті до друку

**Національний медичний університет
імені О.О. Богомольця**

Бул. Т.Шевченка, 13, м. Київ, 01601, Україна
тел./факс +380442349276
e-mail: kancnmu@nmu.ua
www.nmuofficial.com



**Bogomolets
National Medical University**
13, Shevchenka Blvd, Kyiv 01601, Ukraine
Tel/fax +380442349276
e-mail: kancnmu@nmu.ua
www.nmuofficial.com

Довідка №008/26

Видана Євдокимовій Єлизаветі на підтвердження того, що вона є співавтором статті «Клінічний випадок синдрому Рендю–Ослера: роль фармацевтичної опіки в оптимізації фармакотерапії», поданої 13 квітня 2026 року для публікації в Українському науково-медичному молодіжному журналі (УНММЖ).

Стаття пройшла первинну перевірку на відсутність ознак академічного плагіату, відповідність основним технічним вимогам журналу та сліпе рецензування. Статтю додано у Випуск №2 (163) 2026, котрий на даний момент в процесі формування, публікація випуску планується у червні 2026 року.

Довідку сформовано за запитом Темірової Олени.

Головний редактор,
Директор Навчально-наукового інституту медицини
НМУ імені О.О. Богомольця, професор

С.В. Земсков

Виконавець:
Відповідальний секретар УНММЖ
Анастасія Гринзовська
usmyj@nmu.ua
+380953620491