

Oponentský posudok

Dizertačná práca: Farmakoeconomický pohľad na liečbu revmatických onemocnění

Študijný program:

Študijný odbor:

Autor práce: PharmDr. Alena Petříková

Školiteľ: Doc. RNDr. Jozef Kolář, CSc.

Školiteľ konzultant: MUDr. Tomáš Doležal, Ph.D.

Školiace pracovisko: *Katedra sociální a klinické farmacie, Farmaceutická fakulta, Univerzita Karlova, Hradec Králové*

Institut pro zdravotní ekonomiku a technology assessment (iHETA), Ústav farmakologie, 3. lékařská fakulta Univerzity Karlovy.

Oponent: prof. RNDr. Viliam Foltán, CSc., Farmaceutická fakulta UK, Bratislava

Písomná časť má celkom 150 strán, pri započítaní aj strán so zoznamom literatúry. Práca sa delí na 3 kapitoly: I. Teoretická časť, v ktorej dominuje popis farmakoeconomiky a klinických pohľadov na vybrané reumatické ochorenia (Ankylozujúci spondylitída -AS; Psoriáza - Ps a Psoriatická artritída - PsA; Revmatoidná artritída – RA) z pohľadu ich klasifikácie, epidemiológie, terapie, dopadu na kvalitu života a možnosti farmakoeconomického hodnotenia II. Metodická a praktická časť, v ktorej po jednotlivých ochoreniach boli stanovené ciele z oblasti farmakoeconomického hodnotenia a vzťahu nákladov a kvality života, pričom každú časť končí diskusiou a konfrontáciou s možnými prístupmi v zahraničí. - III. Záver práce prináša zovšeobecnenie na základe možnosti zhodného metodického prístupu, pričom analýza nákladovosti u ankyloznej spondylitidy, psoriatickej artritidy a psoriázy a reumatoidnej artritídy, vzhľadom ku kohorte 1008 a 509 pacientov s ankyloznou spondylitídou, 256 pacientov s psoriázou z ktorých 88 malo súčasne psoriatickú artritídu a 261 pacientov s reumatoidnou artritídou dáva dobrý odrazový mostík na širšie využitie výsledkov. Samostatnými časťami sú: - Úvod, - a na záver práce Literatúra, Zoznam použitých skratiek a značiek a Abstrakt v českom a anglickom jazyku. V samotnej práci bolo zaradených, 65 tabuliek a 20 grafov. Práca cituje celkom 137 literárnych zdrojov väčšinou zahraničného pôvodu z veľkej časti za obdobie posledného decénia, aj keď výnimočne (3 prípady) siaha po zdrojoch z rokov 1978, resp.1984. Autorka pomocou metodiky analýzy nákladovosti z pohľadu spoločnosti spracovala údaje o liečbe, znížení produktivity práce a miere invalidity na základe dotazníkov (od členov patientských organizácii alebo ošetrojúcich lekárov).

1, Aktuálnosť témy

Práca je tematicky aktuálna. Podľa štatistických údajov sa predpokladá, že uvedené ochorenia v ČR svojím dosahom sa podieľajú na cca 0,1% chorobnosti populácie v prípade ankyloznej spondylitídy, 2 - 3% v prípade psoriázy, aj keď k nej sa až z 20% pridružuje psoriatická artritída a reumatoidná artritída postihuje cca 1% populácie. Pre uvedené ochorenia je typický ich chronický charakter, prakticky celoživotná potreba terapie a samozrejme dosah na sociálny status chorých a teda v konečnom dôsledku aj celospoločenský dopad. Základom pre terapiu je individuálne určiť typ, aktivitu, rozsah a progresivitu každého ochorenia, laboratórnu aktivitu, možnosti ďalšej medikácie, psychosociálnych faktorov a očakávaní pacienta. Komplexná liečba najčastejšie pozostáva z nefarmakologickej a farmakologickej liečby a prešla podstatným vývojom. Osobitný prínos prinieslo zavedenie biologickej liečby, ktoré ale na druhej strane výrazne ovplyvnili dopady na rozpočet zdravotných poisťovní.

Preto sa aj národné zdravotné a liekové politiky museli s týmto faktom vyrovnávať pomocou farmakoekonomických metód, ktoré v konečnom dôsledku nehovoria len o cene liečby ale aj o hodnote, ktorú daná liečba za svoju cenu prináša pre pacienta i pre spoločnosť.

2, Splnenie cieľa

Stanovené ciele boli nasledovné:

- problematika hodnotenia dopadu vybraných reumatických ochorení na zdravotné a sociálne poistenie,
- stanovenie miery závažnosti a nákladovosti jednotlivých položiek a rozloženia nákladov medzi špecifickými podskupinami pacientov v závislosti od terapie alebo závažnosti ochorenia.

Uvedené ciele boli splnené.

3, Metódy

1. Pri hodnotení AS aktivity ochorenia na základe intenzity zápalu a symptómov, sa hodnotí štruktúrna progresia, axiálna a periférna bolesť na vizuálnej analogovej škále (VAS), ranná stuhlosť a celkové hodnotenie aktivity choroby pacientom a lekárom. Vhodným ukazovateľom aktivity AS je odporučené použitie skóre BASDAI (Bath Ankylosing Spondylitidy Disease Activity Index). Ide o dotazník so šiestimi otázkami vyplňovanými pacientom, keď hodnotí subjektívne ťažkosti na škále 0-10. V súčasnosti existuje pre ČR validovaná verzia. Ochorenie vyžaduje vyššie náklady na priamu medicínsku starostlivosť, na stratu produktivity a zníženú pracovnú schopnosť.
2. Ps a PsA, pri rozsiahlejšom postihnutí výrazne zhoršuje kvalitu života. Subjektívne ťažkosti (svrbenie, pálenie, bolesť kĺbov) komplikujú bežné denné činnosti a zmeny viditeľné na koži, pôsobia aj psychickú traumou ktorej dôsledky sa môžu prejaviť v zamestnaní, vylúčení zo spoločenského života, depresiach a pod. K objektivizácii vplyvu choroby na kvalitu života pacienta sa používa špecifický dotazník s desiatimi otázkami DLQI (The Dermatology Life Quality Index), orientovanými na denné aktivity, prácu, partnerské vzťahy, prejavy ochorenia. Skóre DLQI má rozsah od 0 do 30, hodnota nad 10 predstavuje závažný vplyv na kvalitu života pacienta. Náklady na liečbu pacientov s psoriázou a psoriatickou artritídou sa výrazne odlišujú vďaka rozdielnym algoritmom zdravotnej starostlivosti a spôsobu kalkulácie nepriamych nákladov. Nepriame náklady sa v závislosti od metodiky podieľajú na celkových nákladoch až 86 %, v závislosti na stupni postihnutia. Ročné náklady na liečbu jedného pacienta z pohľadu spoločnosti (societal perspective) v jednotlivých európskych štátoch predstavujú hodnotu od 1 000 € až po 10 000 €.
1. RA je dlhodobé, progredujúce a invalidizujúce ochorenie sprevádzané bolesťou. Obmedzuje chorého v pohybe a bráni vykonávať bežné každodenné aktivity a samostatný a nezávislý život. RA zhoršuje funkcie, vyvoláva disability a v priebehu 10 rokov invalidizuje až 50 % chorých. Funkčné schopnosti pacienta sa hodnotia pomocou špecifického dotazníka ako nástroja na meranie kvality života pacientov s reumatoidnou artritídou - HAQ (Health Assessment Questionnaire). Od roku 2010 existuje validovaná česká forma obsahuje 20 otázok zameraných na bežné činnosti v 8 kategóriach: obliekanie a úprava, vstávanie, stravovanie, chôdza, hygiena, dosiahnuteľnosť, stisk a činnosti. Dotazník vyplňuje pacient sám, skóre HAQ sa

pohybuje v hodnote od 0 do 3 (najťažšie stavy). Ochorenie generuje významné náklady prostriedkov verejného zdravotného poistenia, sociálnych nákladov sociálnej poisťovne. Výsledky farmakoekonomických hodnotení ukazujú, že funkčná porucha hodnotená pomocou HAQ je dôležitý prediktor priamych (súvisiacich so zdravotnou starostlivosťou), ako aj nepriamych nákladov (spojených so stratou produktivity práce).

Metódy spracovania výsledkov, vzhľadom k problematike a charakteru údajov, boli zvolené správne.

4, Výsledky a nové poznatky

AS, Ps/PsA a RA patria medzi chronické ochorenia, ktorých dôsledkom je postupná invalidizácia pohlcujúca značné náklady nielen zdravotného systému. Okrem poklesu kvality života, dochádza k zníženiu pracovnej produktivity v dôsledku ochorenia, k zníženiu účasti na trhu práce, možnosti sebarealizácie a tvorby spoločenských hodnôt.

Predložené výsledky môžu byť podkladom ďalších farmakoekonomických hodnotení pri analýze nákladovej efektivity v rámci podkladov rozhodovacích orgánov v oblasti zdravotníctva a jeho úhradového systému.

Výdavky z verejného zdravotného poistenia na liečbu daných ochorení sú pomerne vysoké. Správnu, účinnou a včasnou liečbou sa môže pozitívne ovplyvniť priebeh ochorenia zbrzdiť prechod do invalidity. Vzhľadom k invalidizujúcemu charakteru postihnutia sú nepriame náklady vyššie ako priame náklady.

Celkové náklady sa pohybovali od 94 492 Kč (Ps) do 228 623 Kč (RA) na jedného pacienta na rok daného ochorenia, pričom priame náklady boli v rozmedzí od 37 % (AS) do 81 % (RA). Najnižšie % pomeru nákladov na stratu produktivity oproti celkovým nákladom bol u ochorenia RA (18,9 %), Ps (22,7 %) a PsA 31,6 %), najvyššie u AS (55,9 % u Beda I a 62,8 % u Beda II). U pacientov s RA výška nákladov je v priamej úmere so závažnosťou ochorenia. V rámci pacientov s Ps a/alebo PsA práve prítomnosť PsA zvyšuje náklady na ochorenie.

5, Hodnotenie práce autora.

Predložená dizertačná práca predstavuje rozsiahly materiál, ktorým autorka dokazuje schopnosť nielen zhromaždiť fakty, ale tieto adekvátnym spôsobom spracovať a prepojiť v intenciách dopadov štátnej liekovej politiky. Autorka sústredila pozornosť na oblasti dopadu vybraných reumatických ochorení na zdravotné a sociálne poistenie spolu s overením miery závažnosti a nákladovosti jednotlivých položiek a rozloženia nákladov medzi špecifickými podskupinami pacientov podľa typu terapie či závažnosti ochorenia. Zvolená metodika pomocou analýzy nákladovosti z pohľadu spoločnosti, liečby, zníženia produktivity práce a miery invalidity sa hodnotila formou dotazníkov (medzi členmi patientských organizácií alebo ošetrojúcich lekárov). Nepriame náklady u všetkých hodnotených ochorení boli vypočítané metódou friction cost approach a umožnili porovnanie.

Široká škála materiálov, keď autorka musela nájsť dostatočnú úmeru medzi klinickým, ekonomickým a sociálnym prostredím bola pravdepodobne príčinou viacerých nepresností obsahového, technického ale aj významového charakteru. Príkladom sú nesprávne vyjadrenia napr. s.27, 36 activity, s.37 productivity, s.35, 43 že náklady asi náklady s.38 V ČR se tedy odhadujeme;

Iný typ nezrovnalosti autorka konštatuje napr. vyjadrenie v hodnote Euro, ale údaje ďalej udáva v Kč (s.53 a s.54); s.59 tab.4 nejasná autorka hovorí o všetkých pacientoch liečených, alebo len o pacientoch v jej súbore, ktorí boli liečení; s.60 posledné dva riadky majú neznámy pôvod, nakoľko graf 4 hovorí pri zmene lieku o 57,4 % u Beda I a 30,1 % u Beda II; s.63 nie proluky ale asi pro léky....; s.68 tab.14 nejasné prepočty; nejasný je aj výpočet hodnoty nákladov na lieky, keď v záhlaví je cena za 1DDD **Počet pacientů, % (z 1008), Náklady(Kč); s.100** praktickým lekárom; s.107 Do veku 63 let (věk starobního důchodu) a na s.109 u pacientů v produktivním věku (tj. do 64 let), kteří nestudují a nejsou ve starobním důchodu. Pri zozname literatúry došlo u autorky k niektorým nepresnostiam napr.16 nesprávny vydavateľ;Lit.1 Kobelt G., 31 G.Kobelt

6. Závěrečné zhodnotenie

Práca spĺňa kritériá kladené na dizertačnú prácu. Prácu hodnotím pozitívne. Uvádzané nepresnosti neznižujú jej celkovú hodnotu. Publikované práce dokresľujú profil autorky Odporúčam umožniť obhajobu práce a kandidátke po jej úspešnom priebehu udeliť vedecko-pedagogický titul Philosophiae Doctor (PhD).

Bratislava 17.11.2014

prof.RNDr.Viliam Foltán, CSc.,

Otázky

1. Vaša práca zahŕňa relatívne dlhé obdobie. V časti ANKYLÓZNA SPONDYLITIDA ste hodnotili údaje za roky 2005 a 2008. Majú tieto údaje dostatočnú výpovednú hodnotu aj pre rok 2014 resp. odporúčate ich za východisko pre ďalšie farmakoeconomické hodnotenie v terajšom období?
2. V práci hodnotíte priame aj nepriame náklady v rámci skupín pacientov s jednotlivými ochoreniami. Konštatujete, že takýto postup má komplexný význam. Napriek tomu v rámci úhradových systémov sa používa len hodnotenie priamych nákladov na lieky a úhradový systém neuvažuje s akceptáciou nepriamych nákladov. Aké sú perspektívy?
3. V práci sa odvolávate na skutočnosť, že so štúdiami Vami spracovaného typu hodnotení sa stretávate len zriedkavo v krajinách strednej a východnej Európy. Je možné jednoducho prenášať publikované výsledky z krajín ktoré majú rozdielne zdravotnícke systémy a teda akceptovať hodnotenia napr. z Anglicka (NICE), Francúzska či Nemecka odkiaľ prichádza väčšina nových terapeutických postupov?