mgr Agata Schubert-Włodarczyk

Metody wykorzystania danych medycznych do analiz ekonomicznych w cukrzycy - od kosztów choroby do kosztowej efektywności.

Application of medical data for economic analysis in diabetes - from cost of disease to cost-effectiveness

Rozprawa doktorska na stopień doktora
w dziedzinie nauk medycznych i nauk o zdrowiu
w dyscyplinie nauki o zdrowiu
przedkładana Radzie Dyscypliny Nauk o Zdrowiu
Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego

Promotor: prof. dr hab. n. med. i n. o zdr. Marcin Czech

Warszawa, 2023 rok

2 Streszczenie w języku polskim

Starzejące się społeczeństwo i rosnąca liczba osób z cukrzycą typu 2 stają się coraz większym wyzwaniem dla systemu opieki zdrowotnej w Polsce, zarówno z powodów organizacyjnych jak i kosztowych. W Polsce na cukrzycę choruje ponad 3 miliony dorosłych i szacuje się, że 20% z nich nie jest jeszcze zdiagnozowana. W ostatnich latach wprowadzono wiele zmian zarówno w dostępie do technologii medycznych w terapii i monitorowaniu pacjentów z cukrzycą, jak i w samym systemie sprawowania opieki. Zmiany te mają na celu optymalizację systemu opieki, którego obciążenie cukrzycą jest z roku na rok coraz większe. Cukrzyca i jej powikłania wpływają nie tylko bezpośrednio na system ochrony zdrowia, ale także generują koszty pośrednie związane z niezdolnością do pracy osoby chorej, a także opiekunów. Pełne zrozumienie tych kosztów i przedstawienie ich w odpowiednim kontekście jest kluczowe dla skutecznego planowania ochrony zdrowia w Polsce.

Analiza kosztów cukrzycy opiera się na wykorzystaniu danych medycznych, które dostarczają niezbędnych informacji do oceny i zrozumienia wpływu tej choroby na systemy opieki zdrowotnej. Dane medyczne są także wykorzystywane do analiz predykcyjnych pozwalających na lepsze planowanie ograniczonych zasobów w ochronie zdrowia.

Celem rozprawy doktorskiej była analiza i zastosowanie metod wykorzystania danych medycznych w analizach farmakoekonomicznych przeprowadzanych w cukrzycy. Główny cel pracy został zrealizowany w trzech etapach. Na pierwszym etapie pracy przeanalizowano dostępną literaturę dotyczącą metodologii szacowania kosztów bezpośrednich i pośrednich związanych z jednostką chorobową i jej powikłaniami. Przeanalizowano także metody szacowania kosztów pośrednich dotyczących osób sprawujących opiekę. W przeglądzie metod uwzględniono również metody predykcyjne analizy kosztów opierające się na modelowaniu farmakoekonomicznym. W drugim etapie pracy, metody dostępne w literaturze zastosowano w praktyce w trzech typach analiz danych. W pierwszej analizie wykorzystano dane z Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) i Zakładu Ubezpieczeń Społecznych (ZUS) w celu oszacowania kosztów bezpośrednich i pośrednich cukrzycy i jej powikłań w Polsce. Była to pierwsza w Polsce praca oceniająca zarówno koszty bezpośrednie leczenia cukrzycy, jak i skalę kosztów pośrednich wykorzystująca podejście top-down przy użyciu danych NFZ i ZUS. W drugiej analizie zastosowano metodę oceny efektywności kosztów w celu porównania kosztów kontroli glikemii przy zastosowaniu różnych substancji z klasy SGLT2. W kolejnej analizie wykorzystano dane z długookresowych badań obserwacyjnych i model cukrzycy CORE w celu oszacowania jakie nakłady na intensyfikację leczenia diabetologicznego byłoby kosztowo efektywne w Polsce. W trzecim etapie prac wykorzystano przegląd dostępnej

literatury oraz publikowanej dokumentacji Ministerstwa Zdrowia i NFZ do podsumowania obecnego stanu leczenia pacjentów z cukrzycą w Polsce skupiając się na ostatnich 5 latach. Wykorzystano także raportowane dane NFZ, w celu oszacowania zmian w refundacji substancji leczniczych dostępnych w terapii pacjentów z cukrzycą.

Dostępne metody analiz kosztów choroby pozwalają na wyczerpującą analizę kosztów cukrzycy zarówno w systemie ochrony zdrowia jak i analizę kosztów pośrednich. W analizie kosztów cukrzycy z roku 2009 wykazano, że całkowite koszty usług opieki zdrowotnej dla cukrzycy i jej powikłań wyniosły 654 miliony euro, z uwzględnieniem kosztów pośrednich ten koszt w roku 2009 wyniósł 1,5 miliarda euro. W kolejnej analizie wykorzystano dane medyczne pochodzące bezpośrednio z badań klinicznych w celu krótkookresowej oceny efektywności kosztowej terapii, gdzie porównano trzy substancje z klasy SGLT2. W przypadku cukrzycy jest możliwe także modelowanie długoterminowych efektów leczenia wykorzystując dane medyczne z długookresowych badań obserwacyjnych. Wykorzystując model cukrzycy CORE oszacowano, że w 2011 roku leczenie zgodnie z wytycznymi PTD mogło być opłacalne pod warunkiem, że dodatkowe koszty związane z intensyfikacją terapii nie przekroczyłyby 725 EUR rocznie. W ostatnim etapie pracy, analiza systemu opieki nad pacjentem z cukrzycą w Polsce w 2023 wykazała, że ten obszar ochrony zdrowia dynamicznie się zmienia dążąc do systemu opartego o opiekę, w której centrum jest pacjent. Wprowadzane zmiany wiążą się także ze wzrostem kosztów bezpośrednich w tym na refundacje leków stosowanych w cukrzycy, które pozwalają na bardziej zindywidualizowaną terapię. W ostatnich 5 latach kwota refundacji leków stosowanych w cukrzycy wzrosła o prawie 40%.

Koszty cukrzycy rosną z roku na rok, ale podejmowane są również działania, żeby optymalizować system ochrony zdrowia. Konieczna jest zarówno kompleksowa ocena kosztów cukrzycy oraz analiza zmian w systemie ochrony zdrowia w oparciu o dobrej jakości dane pochodzące z badań klinicznych oraz realnej praktyki klinicznej z zastosowaniem metod farmakoekonomicznych w celu wyznaczania ścieżek dla rozwoju systemu opieki nad pacjentem z cukrzycą.