

Uniwersytet Ekonomiczny w Krakowie
Wydział Zarządzania

Rozprawa doktorska

**Metody metaanalizy w ekonomicznej ocenie technologii
medycznych**

Michał Seweryn

Pod opieką naukową:

Prof. AE dr hab. Andrzeja Sokołowskiego

Kraków
2007

Wstęp

Systemy ochrony zdrowia są przedmiotem coraz liczniejszych badań dotyczących ekonomicznych aspektów ich funkcjonowania. Nie ulega wątpliwości, że pomimo swojej specyfiki sektor ochrony zdrowia przypomina w dużym stopniu inne sektory gospodarki, a transakcje w nim zawierane znajdują swoje odzwierciedlenie w teoriach i pojęciach z zakresu mikro- i makroekonomii.

Rozwój ekonomiki zdrowia jest konsekwencją gwałtownego wzrostu nakładów na systemy ochrony zdrowia, wskutek czego koniecznym stało się pogodzenie stale rosnących potrzeb z ograniczoną ilością środków możliwych do wykorzystania. Istnieje szereg przyczyn stale rosnących nakładów na ochronę zdrowia. Do najważniejszych należą:

1. Gwałtowny rozwój technologii medycznych – stale wprowadzane są nowe sposoby leczenia, które są coraz bardziej kosztowne. Powstają coraz nowocześniejsze urządzenia, leki i metody diagnostyczne, które kosztują coraz więcej, jednocześnie pozwalając na zwiększenie wykrywalności wielu chorób.
2. Sytuacja demograficzna – we wszystkich krajach regionu Europy Środkowej i Wschodniej następuje gwałtowny proces starzenia się ludności. Wskaźnik udziału osób powyżej 65 roku życia istotnie wzrasta od połowy lat osiemdziesiątych¹. Tymczasem wzrost liczby ludzi w podeszłym wieku wymaga większych nakładów na ich leczenie. Tymczasem osoby w wieku powyżej 60 lat korzystają z opieki szpitalnej prawie dwukrotnie częściej niż ludzie młodszy i zużywają ponad 80% leków².
3. Wzrost zachorowań na tzw. choroby cywilizacyjne (nowotwory, CHNS, nadciśnienie tętnicze) oraz pojawienie się nowych wyzwań zdrowotnych (AIDS, SARS, nowe typy alergii, itp.), które wiążą się zazwyczaj z zastosowaniem kosztownej terapii, najczęściej trwającej do końca życia.

Wzrost nakładów na ochronę zdrowia powoduje problemy, których konsekwencją jest ograniczenie dostępności do świadczeń, odbieranej przez pacjentów jako efekt nieudolności systemu zdrowotnego. Tymczasem występujące ograniczenia są naturalną konsekwencją ograniczeń budżetowych. Twierdzenie to jednak nie zwalnia z obowiązku stworzenia takiego

¹ Golinowska S., Sowa A., *Procesy demograficzne i epidemiologiczne w Europie Środkowej i Wschodniej. Analiza porównawcza na przykładzie wybranych krajów: Estonii, Bułgarii, Słowacji, Polski i Węgier. Dystans do starych krajów UE...*, Zeszyty Naukowe Ochrony Zdrowia. Zdrowie Publiczne i Zarządzanie” 2005, tom III, nr 2 s. 6

² Por. Orlewska E., *Podstawy farmakoekonomiki*, Warszawa 1999, s. 8.

systemu i regulacji prawnych w ramach powszechnego ubezpieczenia zdrowotnego, które przyczynią się do minimalizacji liczby osób „wykluczonych” z dostępu do świadczeń³.

Dlatego naturalną odpowiedzią na ów stan rzeczy jest próba racjonalizacji wydatków, która pozwala na efektywniejsze dystrybuowanie pieniędzy w systemie ochrony zdrowia.

W tym celu dokonuje się ekonomicznej oceny technologii medycznych, której zadaniem wbrew pozorom nie jest uzyskiwanie oszczędności za wszelką cenę, lecz próba odpowiedzi na pytanie: w jaki sposób osiągnąć korzyści zdrowotne zachowując opłacalność kosztową?

Zastosowane oceny technologii medycznych pozwala między innymi na:

- ◆ Usystematyzowanie wiedzy na temat danej technologii i dokonanie rzetelnej analizy kosztów i konsekwencji zdrowotnych jej stosowania.
- ◆ Dostarczanie racjonalnych argumentów do dyskusji oraz podjęcia decyzji dotyczącej finansowania programów ochrony zdrowia, gdyż prawidłowo wykonana ocena ekonomiczna oparta jest na standardach naukowych.
- ◆ Przedstawienie różnych perspektyw badawczych (społecznej, płatnika, świadczeniodawcy, pacjenta), co nadaje jej uniwersalnego charakteru.

Jednym z celów niniejszej pracy jest prezentacja metod stosowanych w ocenie technologii medycznych (HTA – *Health Technology Assessment*). Dziedzina ta, chociaż zaliczana jest do grona nauk ekonomicznych, z przyczyn oczywistych czerpie bardzo wiele z nauk medycznych oraz statystyki, wykorzystywanej praktycznie na każdym etapie prowadzenia badania ekonomicznego programów ochrony zdrowia. Mówiąc o ekonomicznej ocenie technologii medycznych należy zdefiniować kilka kluczowych dla tej dziedziny pojęć.

Pierwszą istotną sprawą jest próba precyzyjnego określenia, czym jest technologia medyczna (nazywana również *programem ochrony zdrowia*). Otóż bardzo często w literaturze fachowej dotyczącej HTA i farmakoekonomiki (dziedziny składowej HTA zajmującej się tylko oceną ekonomiczną leków) za technologię medyczną uznaje się m.in.: leki, szczepionki, urządzenia medyczne oraz ludzkie umiejętności i wiedzę. Jednak w świetle definicji słowa *technologia*, według której jest ona *celowym procesem przetwarzania w sposób ekonomiczny dóbr naturalnych w dobra użyteczne*⁴, trudno nie zauważyć sprzeczności logicznej takiego założenia. Metodologicznie prawidłowe wydaje się więc uznanie za technologię medyczną

³ Por. Kycia J, Seweryn M., *Prawne regulacje udzielania deficytowych świadczeń zdrowotnych na przykładzie leku glivec - studium przypadku*, „Polityka Zdrowotna” 2006, tom V, s. 47.

⁴ *Technologia* [hasło w:] *Słownik języka polskiego*, red. M. Szymczak, Warszawa 1989, t. 3, s. 487.

wszystkich procedur, algorytmów i strategii postępowania z pacjentem, które mogą być wykorzystywane w systemie opieki zdrowotnej. Dlatego też konsekwentnie technologią medyczną powinniśmy nazwać „podanie leku”, „podanie szczepionki” bądź „zastosowanie urządzenia medycznego” lub procedury operacyjnej u konkretnych pacjentów. Lek oraz urządzenie medyczne same w sobie nie mogą być przedmiotem oceny ekonomicznej, gdyż zgodnie z powszechnie stosowaną definicją analizy ekonomicznej uznajemy, że jest ona: *analizą porównawczą alternatywnych sposobów postępowania pod względem zarówno kosztów jak i konsekwencji*⁵, a więc w przypadku badań nad technologiami medycznymi za analizę porównawczą kosztów i konsekwencji uznajemy połączenie wyników dotyczących skuteczności klinicznej z efektami ekonomicznymi stosowania porównywanych przez nas procedur. Analiza taka ułatwia proces podejmowania decyzji dotyczących finansowania konkretnych procedur medycznych, gdyż pozwala ustalić, w jakim stopniu określone działania (decyzje finansowe) w sektorze ochrony zdrowia mają wpływ na korzyści medyczne dla pacjentów oraz, jakie wywołuje to konsekwencje dla budżetu (płatnika, świadczeniodawcy, ubezpieczyciela).

Nazwą *Ocena Technologii Medycznych (HTA)* określa się kompleksową formę badań, której celem jest ocena bezpieczeństwa, skutków zdrowotnych oraz ekonomicznych stosowania danej technologii medycznej.

Szczególna uwaga w niniejszej pracy została poświęcono metodzie metaanalizy stosowanej w raportach oceny technologii medycznych (tzw. raportach HTA). Po raz pierwszy metaanaliza badań oceniająca efekt interwencji terapeutycznej została wykorzystana w medycynie około 50 lat temu, w 1955 roku, natomiast sam termin został użyty po raz pierwszy w 1976 roku przez Gene’a Glassa⁶. Metaanaliza wyników badań medycznych polega na łącznym opracowaniu rezultatów wielu różnych badań, których cele były wspólne lub zbliżone. Najczęstszym zadaniem, jakie sobie stawiają jej autorzy, jest połączenie i porównanie wyników badań klinicznych nad określoną procedurą. Podstawowy etap metaanalizy stanowi wyszukanie przeprowadzonych badań, weryfikacja kryteriów włączenia do opracowania oraz uzyskanie informacji o jego wynikach. Dopiero po jego zakończeniu możliwe jest sformułowanie właściwego problemu statystycznego. Pomimo bardzo szerokiego zastosowania tej techniki na świecie, wciąż dla niektórych jest ona metodą kontrowersyjną. Pojawiły się nawet zarzuty, że stanowi ona *wkroczenie statystyki do*

⁵ Drummond M. F., O’Brien B., Stoddart G. L., Torrance, G. W., *Metody badań ekonomicznych programów ochrony zdrowia*, Via Medica Gdańsk 2003, s. 8-9.

⁶ Por. Glass G. V., *Primary, secondary, and meta-analysis of research*, “Educational Researcher” 1976, no. 5, pp 3-8.

*medycyny, które jest nie do zaakceptowania*⁷. Tym zarzutom przeczy coraz częstsze jej stosowanie oraz ciągły wzrost liczby publikowanych metaanaliz. Dziedziną, która zainteresowała się wykorzystaniem owej metody, jest ekonomiczna ocena technologii medycznych, ponieważ dzięki zbiorczym wynikom otrzymywanym z badań możemy uzyskać najbardziej precyzyjne informacje medyczne konieczne do ekonomicznego porównania technologii medycznych. Badania przeprowadzone w krajach, które mają duże doświadczenie w dziedzinie HTA dowiodły, że jest to technika przydatna, która bardzo często znajduje swoje zastosowanie w ekonomicznej ocenie technologii medycznych⁸.

Polski system opieki zdrowotnej zbudowany w ramach radzieckiego wzoru (tzw. modelu Siemaszki) przez szereg lat funkcjonował praktycznie w oderwaniu od jakichkolwiek reguł ekonomicznych. Po reformie przeprowadzonej w roku 1999 zaistniała konieczność, aby decyzje o wydatkach publicznych pieniędzy na ochronę zdrowia były podejmowane w oparciu o racjonalne kryteria. Jednym ze sposobów stworzenia takiego zbioru procedur finansowanych przez budżet państwa jest koncepcja utworzenia instytucji, która zajmowałaby się ekonomiczną oceną technologii medycznych i pomagała w podejmowaniu jak najbardziej racjonalnych decyzji. Oczywiście, ze zrozumiałych w naszym kraju względów (trudności finansowe w sektorze ochrony zdrowia), podejmowanie decyzji związanych z wprowadzeniem standardów jest potrzebne, ale jednocześnie bardzo niepopularne. Środowisko medyczne bardzo często nie akceptuje idei analizowania ekonomicznej efektywności technologii medycznych, postrzegając ją jako posunięcie polityczne, mające na celu ograniczenie dostępności do świadczeń i uzyskanie oszczędności. Jednak w świetle lawinowo rosnących kosztów opieki zdrowotnej konieczne jest wykonywanie tego rodzaju analiz, gdyż na ochronę zdrowia można wydać każdą kwotę pieniędzy. Standardem, do którego powinno się dążyć, byłoby podejmowanie wszystkich decyzji odnośnie finansowania technologii medycznych na podstawie rzetelnie przeprowadzonej oceny ekonomicznej. Wobec producentów ubiegających się o refundację powinien to być wręcz wymóg formalny, zobowiązujący ich do przedstawienia analizy ekonomicznej stosowania określonej technologii medycznej (Australia już w 1993 r. wprowadziła tego typu rozwiązanie)⁹.

Analizując polskie prawodawstwo w tym zakresie można zauważyć, że problematyka badań ekonomicznych finansowanych przez Państwo technologii stała się ostatnio obiektem

⁷ Egger M., Smith G., *Meta-analysis. Potentials and promise*, "British Medical Journal" 1997, no 7119, vol. 315.

⁸ Por. Pang F., Drummond M. A., Song F. (1999). The use of meta-analysis in economic evaluation University of York, Centre for Health Economics Discussion Paper 173 pp 1-25.

⁹ Por. Seweryn M., Skrzekowska-Baran I., *Polska Agencja Oceny Technologii Medycznych (HTA) - czy to jest możliwe?*, „Zdrowie i Zarządzanie” 2004, tom VI, nr 5 s. 85

szerszego zainteresowania polityków, co pozwala mieć nadzieję, że już wkrótce oceny ekonomiczne będą miały w naszym kraju status o wiele wyższy niż obecnie. Zgodnie z zapowiedziami Ministerstwa Zdrowia w dniu 1 września 2005 roku ukazało się *Zarządzenie Ministra Zdrowia w sprawie utworzenia Agencji Oceny Technologii Medycznych*, której jest doradzanie i rekomendowanie Ministrowi Zdrowia w zakresie skuteczności efektywności medycznej procedur finansowanych z budżetu państwa. Wydaje się zatem, że coraz powszechniejsze staje się przekonanie, że w obliczu problemów finansowych, z jakimi boryka się polska służba zdrowia, istnieje konieczność racjonalizacji wydatków w oparciu o rzetelnie przeprowadzoną ocenę ekonomiczną, albowiem nie stać nas na finansowane procedur nieefektywnych kosztowo, które w sposób nadmierny obciążają budżet państwa.

Praca składać się będzie z pięciu głównych rozdziałów. Pierwsze trzy rozdziały mają charakter teoretyczny, a ich celem jest ukazanie sposobów badania efektywności technologii medycznych ze szczególnym uwzględnieniem zastosowania metod metaanalizy. Natomiast rozdziały czwarty oraz piąty stanowią przykład kompletnego badania ekonomicznego dwóch alternatywnych sposobów leczenia, sporządzonego na podstawie metaanalizy badań. W opracowaniu zostały użyte aktualne dane kosztowe zidentyfikowane dla polskich placówek szpitalnych oraz aktualne informacje pochodzące z katalogu świadczeń sformułowanym przez publicznego płatnika (Narodowy Fundusz Zdrowia). Wspólnie będą stanowić pełną analizę ekonomiczną, możliwą do wykorzystania w polskim systemie opieki zdrowotnej.

Silną stroną analizy porównującej technologie medyczne jest to, że potrafi ująć prawie wszystkie działania podejmowane na rzecz poprawy zdrowia ludzkiego w ramach sztywnego modelu ekonomicznego. Aby jednak to uczynić, musi opierać się na reprezentatywnych danych klinicznych, które pozwolą oszacować koszty i korzyści alternatywnych sposobów postępowania. Celem pracy jest wykazanie, że metaanaliza jest bardzo skutecznym, a często wręcz nieodzownym narzędziem stosowanym w ocenie technologii medycznych. W celu udowodnienia tej hipotezy badawczej przeprowadzono badanie ekonomiczne dwóch technologii leczenia ostrego zapalenia wyrostka robaczkowego.

Nie bez znaczenia jest również fakt, iż jak dotąd obszar ten nie został w Polsce poddany gruntownym badaniom. Pomimo że praktyczne zastosowanie Oceny Technologii Medycznych przeżywa w naszym kraju dynamiczny rozwój, brakuje wciąż publikacji i rozpraw naukowych przybliżających w sposób szczegółowy zagadnienia z nią związane. Podczas gdy obok jakości danych, metodologia odgrywa szczególnie istotną rolę w tego typu badaniach i, jak zostanie to zaprezentowane w niniejszej pracy, zaniechanie bądź pominięcie kluczowych etapów powoduje, że jakość analizy, a co za tym idzie jej wiarygodność

diametralnie spada. Tymczasem tylko prawidłowa ocena zależności między skutecznością procedur medycznych a poniesionymi nakładami finansowymi wydaje się być jedynym rozwiązaniem pozwalającym na prowadzenie polityki zdrowotnej, której celem jest interes zdrowotny obywateli, a nie korzyść określonych grup, takich jak producenci leków czy sprzętu medycznego.

Jednocześnie warto zwrócić uwagę, że w procesie dokonywania wyboru technologii medycznych powinny brać udział wszystkie zainteresowane nim podmioty: lekarze, płatnicy, a przede wszystkim pacjenci. Szczególnie ostatnie dwie grupy mogą odnieść wymierne korzyści z wyników raportu HTA, związane z redukcją kosztów oraz poprawą jakości opieki medycznej. Płatnik świadczeń medycznych jakim jest NFZ oraz tworzące politykę zdrowotną Ministerstwo Zdrowia dzięki ocenie technologii medycznych dostają wartościowe opracowania porównujące stosowanie poszczególnych technologii. Pacjenci natomiast wiedzą, które metody są najskuteczniejsze i najbezpieczniejsze¹⁰.

¹⁰ Por. Dziadyk M., Łanda K. Polska HTA: *Kiedy drożej znaczy taniej*. „Służba Zdrowia” 2002, nr 5-8