

Příklady zpracování dat v rámci vzácných onemocnění

**Cost of illness studie: cystická fibróza (CF) a zánětlivé onemocnění
střev (IBD) – pracovní den ČFES**

Obsah

1. Příklad cystická fibróza

2. Příklad idiopatické střevní záněty

3. „Ponaučení“ a praktické závěry

1. Cystická fibróza

Cíle, metodologie a demografické údaje

Cíl studie a sběru dat

Sběr dat v souladu s novelou zákona dle §39da a kritériích pro hodnocení v době přípravy (kritéria se nezměnila)

Sběr dat probíhal s cílem zjistit informace, jak od pacientů, tak i jejich pečovatелů

Celospolečenský význam = význam pro celou společnost, tedy pacient + jeho okolí

Celospolečenský význam možnosti terapeutického ovlivnění onemocnění

Vliv na pracovní produktivitu a průceschopnost, ovlivnění denních aktivit

Výdaje pacientů za léky, dopravu a jiné

Zátěž onemocnění pacientů (CFQ-R) i pečovatелů (ZBI) + časová zátěž

Dopady léčby na systém zdravotního a sociálního pojištění

Klinické údaje pacientů, aktuální léčba CF a její komplikace, souběžná onemocnění

Náklady sociálního zabezpečení (invalidní důchod, dávky osob zdravotně pojištěných, nemocenské dávky, příspěvek na péči, státní sociální podpora, jiné sociální příspěvky)

Přínos na zlepšení kvality života pacienta

Sběr CFQ-R, EQ-5D (pacient i pečovatel)

Metodologie sběru dat

Připraven robustní dotazník iHETA, který byl velmi detailně a pečlivě revidován a doplněn zástupci Klubu CF (dotazník 11 stran + dotazníky CFQ-R, EQ-5D, WPAI, Zarit burden)

Dotazníky byly překlopeny do eCRF (electronic case report form) na webovém rozhraní

Sběr dat probíhal mezi 24.11.2020 až 15.3.2021

Byli osloveni všichni členové Klubu CF, vyplňovali převážně děti s rodiči (55 %), ale ve významné míře také sami dospělí pacienti (45 %)

<http://www.iheta.org/p71-zivot-s-cystickou-fibrozu-socioekonomicky-dopad-onemocneni-na-pacienty-a-jejich-pecovatele> (dostupné online na webu iHETA)

Pozn. k metodologii po diskusi s prof. Mackem: nikdy nejsme v podobné observační studii schopni odstranit tzv. „selection bias“, kdy se nám do studie přihlásí pacienti více „namotivovaní“, kteří mohou mít těžší onemocnění. Z předběžné analýzy uvedených mutací se zdá, že naše kohorta má mírně závažnější onemocnění

Základní demografie (pacienti)

Celkem bylo do studie zařazeno **257 pacientů**

Průměrný věk pacientů byl 17 let (rozmezí 0-46 let)

55 % dětí a 45 % dospělých

Nejčastěji byli pacienti léčeni ve FN Motol (53%), poté FN Brno (24%)

Pracovní status osob >15 let

Pracovní status – pacienti starší 15 let (n=132; možno více)		
Plný úvazek	26	19,7 %
Částečný úvazek	23	17,4 %
DPP	9	6,8 %
DPČ	6	4,5 %
OSVČ	6	4,5 %
Invalidní důchod	47	35,6 %
Student	41	31,1 %
Nezaměstnaný	17	12,9 %

Navštěvované centrum léčby CF	N	%
FN Motol Praha	132	51,4 %
FN Brno	61	23,7 %
FN Olomouc	20	7,8 %
FN Hradec Králové	20	7,8 %
FN Plzeň	18	7,0 %
Neuvedeno	6	2,3 %
Celkem	257	100,0 %

Držitelé průkazů

Držitel průkazu OZP		
TP	8	3,1 %
ZTP	78	30,4 %
ZTP/P	8	3,1 %
Nejsem držitelem žádného průkazu	163	63,4 %

Základní demografie (pečovatelé)

Celkem do studie bylo zařazeno 108 pečovatelů

93% žen

97% rodič, 3% partner/manžel

Průměrný (medián) věk pečovatele je 39 (38) let (rozpětí 23-58 let)

Pracovní status pečovatelů (n=71):

Pouze 31% pracuje na plný úvazek, 23% na částečný úvazek, **31% nezaměstnanost**

Pracovní status (n=71)		
Plný úvazek	22	31,0 %
Částečný úvazek	16	22,5 %
DPP	4	5,6 %
DPČ	3	4,2 %
OSVČ	5	7,0 %
Nezaměstnaný	22	31,0 %

Dle dostupných údajů zároveň dalších 63 (58%) pacientů má ještě dalšího pečovatele

Dopad na rodinu a pečovatele

Činnosti spojené s CF a jejich čas

Činnosti a čas spojené s CF, v průměru pacienti absolvují 4,52 činnosti

Nejčastěji inhalace, cvičení/rehab/fyzio, příprava a podání léků, sterilizace, úklid/hygiena nad rámec běžného úklidu

Vlastní strava a časové náklady

Tabulka 4-14 Stravování pacientů s CF

Stravování pacientů s CF	N	Průměr	SD	Medián	Min	Max
Počet jídel denně	251	5,3	1,0	5,0	2,0	10,0
Možnost běžného stravování (n=256)	213	83,2 %				
Nutnost stravování pouze doma připravenou stravou (n=255)	34	13,3 %				
Kolik času tyto přípravy zaberou	34	91,2	42,8	70,0	40,0	180,0
Počet jídel denně	34	5,6	1,2	5,0	2,0	8,0
Nutnost kupování speciálních/specifických potravin (n=255)	99	38,8 %				

Tabulka 4-13 Činnosti spojené s CF

Činnosti spojené s CF	N	Průměr	SD	Medián	Min	Max
Inhalace	250	97,3 %				
Počet inhalací denně	249	3,2	1,3	3,0	1,0	17,0
Čas strávený jednou inhalací (min)	249	18,4	12,2	15,0	2,0	90,0
Oxygenoterapie	2	0,8 %				
Počet oxygenoterapií týdně	2	7,0	0,0	7,0	7,0	7,0
Čas strávený jednou oxygenoterapií (min)	2	960,0	678,8	960,0	480,0	1 440,0
Cvičení + rehabilitace + fyzioterapie	230	89,5 %				
Počet cvičení denně	228	2,3	0,8	2,0	0,0	5,0
Čas strávený jedním cvičením (min)	229	16,7	11,2	15,0	0,0	80,0
Počet rehabilitací mimo domov týdně	229	0,2	0,7	0,0	0,0	6,0
Příprava a podání léků a zdravotních prostředků	232	90,3 %				
Čas strávený přípravou léků a ZP denně (min)	231	19,0	20,7	15,0	0,0	240,0
Úklid, hygiena nad rámec běžného úklidu	195	75,9 %				
Čas strávený speciálním hygienickým režimem denně (min)	194	28,4	25,2	20,0	0,0	180,0
Sterilizace používaných pomůcek	225	87,5 %				
Čas strávený sterilizací denně (min)	224	23,0	19,5	15,0	0,0	120,0
Výživa pomocí PEG sondy	2	0,8 %				
Čas strávený výživou pomocí PEG denně (min)	2	62,5	81,3	62,5	5,0	120,0
Intravenózní aplikace léků a porty	20	7,8 %				
Celkový čas strávený intravenózní aplikací za poslední 3 měsíce (hod)	20	53,5	86,8	0,5	0,0	330,0
Celkový čas strávený používáním portu za poslední 3 měsíce (hod)	20	62,4	126,6	0,0	0,0	383,0

Doprava pacientů s CF a čas vyšetření

Doprava pacientů, v průměru >2 důvody

Čas čekání a celkový čas v CF centru (53 a 145 min)

Dojezdová doba a četnost

Průměr 80-100 minut

5-6x za rok

Tabulka 4-15 Doprava a čas ve specializovaném centru CF

Doprava a čas ve specializovaném centru (n=255)	N	Průměr	SD	Medián	Min	Max
Specializované vyšetření v rámci CF	217	85,1 %				
Čas strávený dojížděním (min)	217	83,4	55,6	70,0	4,0	420,0
Počet vyšetření (ročně)	217	4,9	2,5	4,0	0,2	23,0
Jiná doprava nutná vzhledem k onemocnění	98	38,4 %				
Čas strávený dojížděním (min)	98	99,5	191,9	60,0	0,0	1800,0
Četnost cestování (měsíčně)	96	5,7	9,5	1,0	0,0	40,0
Specializované centrum	180	70,6 %				
Čas strávený v centru čekáním (min)	179	52,8	57,5	30,0	0,0	360,0
Celkový čas strávený v centru (min)	179	145,1	71,2	120,0	4,0	360,0
Jiné činnosti spojené s CF	34	13,3 %				
Čas strávený jinými činnostmi za den (min)	41	48,3	47,6	30,0	0,5	240,0

Péče o pacienty s CF ze strany pečovatелů

Péče o pacienty zabere v průměru 276 minut (tj. 4,6 hodin denně)

Tabulka 4-19 Počet hodin denně péče o pacienta

Péče o pacienta	N	Průměr	SD	Medián	Min	Max
Péče o pacienta (hod/den)	107	4,6	5,5	2,5	0,1	24,0

Aktivity, u nichž je vyžadována pomoc pečovatele (průměr pro celou kohortu)

Tabulka 4-21 Aktivity vyžadující péči o pacienta – všichni pacienti

Aktivity, u kterých je vyžadována pomoc pečovatele (minuty/den)	N	Průměr	SD	Medián	Min	Max
Inhalace	107	29,6	21,2	30,0	0,0	80,0
Cvičení + rehabilitace + fyzioterapie	107	28,9	20,7	30,0	0,0	120,0
Příprava a podání léků a zdravotních prostředků	107	17,7	15,1	15,0	0,0	60,0
Úklid a hygiena nad rámec běžného úklidu	107	33,1	31,7	30,0	0,0	240,0
Sterilizace používaných pomůcek	107	22,8	20,9	20,0	0,0	120,0
Intravenózní aplikace léků	107	3,9	28,5	0,0	0,0	270,0
Doprovod pacienta	107	95,4	265,3	0,0	0,0	1 440,0
Dohled na pacienta (FT, braní léků)	107	117,0	287,3	20,0	0,0	1 440,0
Doprava pacienta (bez MHD)	107	40,6	99,4	20,0	0,0	960,0
Jiné aktivity	80	23,4	76,6	0,0	0,0	525,0

Dohled nad pacientem = 117 min

Doprovod pacienta = 95 min

Doprava pacienta = 41 min

Úklid/hygiena = 33 min

Inhalace = 30 min

Cvičení/rehab/fyzio = 29 min

Zarit burden interview a jeho porovnání s ostatními onemocněními

Zarit burden interview: celkem 22 otázek na pečovatele = standardizovaný, mezinárodně uznávaný a validovaný dotazník zatížení pečovatelů

0 = 0 bodů; 4 = 4 body; prostý součet

Průměr hodnot u naší kohorty je 25.44 (n=95)

ZBI významně koreluje s FEV1% (ne všichni pacienti vyplnili FEV1%)

Tabulka 4-55 Zarit burden interview u pečovatelů dle závažnosti onemocnění

ZBI	Mild	Moderate	Severe
Minimální nebo žádná zátěž (0-21)	52,5 %	0,0 %	0,0 %
Mírná až střední zátěž (21-40)	37,3 %	100,0 %	50,0 %
Střední až těžká zátěž (41-60)	10,2 %	0,0 %	50,0 %
Těžká zátěž (61-88)	0,0 %	0,0 %	0,0 %
Celkem	100,0 %	100,0 %	100,0 %

- Máte pocit, že Váš/Vaše příbuzný/příbuzná žádá více pomoci, než potřebuje?
0. Nikdy 1. Zřídka 2. Občas 3. Docela často 4. Téměř stále
- Máte pocit, že kvůli času, který trávíte se svým/svou příbuzným/příbuznou, nemáte dost času pro sebe?
0. Nikdy 1. Zřídka 2. Občas 3. Docela často 4. Téměř stále
- Cítíte se pod tlakem, protože musíte pečovat o příbuzného/příbuznou a současně se snažíte plnit své ostatní rodinné nebo pracovní povinnosti?
0. Nikdy 1. Zřídka 2. Občas 3. Docela často 4. Téměř stále
- Cítíte se trapně kvůli chování Vašeho/Vaší příbuzného/příbuzné?
0. Nikdy 1. Zřídka 2. Občas 3. Docela často 4. Téměř stále
- Máte zlost, když jste v blízkosti svého/své příbuzného/příbuzné?
0. Nikdy 1. Zřídka 2. Občas 3. Docela často 4. Téměř stále
- Máte pocit, že Váš/Vaše příbuzný/příbuzná v současné době negativně ovlivňuje Vaše vztahy s ostatními členy rodiny nebo s Vašimi přáteli?
0. Nikdy 1. Zřídka 2. Občas 3. Docela často 4. Téměř stále
- Máte obavy z toho, co s Vaším/Vaší příbuzným/příbuznou bude v budoucnu?
0. Nikdy 1. Zřídka 2. Občas 3. Docela často 4. Téměř stále
- Máte pocit, že je Váš/Vaše příbuzný/příbuzná na Vás závislý/závislá?
0. Nikdy 1. Zřídka 2. Občas 3. Docela často 4. Téměř stále

Zážití burden a porovnání s jinými onemocněními

V naší studii byla průměrná hodnota ZBI = 25,44 bodu

V porovnání s jinými závažnými onemocněními není tato hodnota příliš odlišná

Např. srovnatelná hodnota s pokročilým nádorovým onemocněním (23,3), kortikobazální degenerací (26,1) či demencí (27,9/33). Pouze mírně vyšší hodnoty má Duchennova svalová dystrofie (29,0) či Alzheimerova nemoc (30,6)

Z těchto údajů je zřejmé, že zatížení pečovatелů je velmi vysoké a nelze jej brát na lehkou váhu

Tabulka 4-23 Srovnání ZBI u pacientů s CF a jinými onemocněními

	Onemocnění	Autor	Rok studie	Stát	Vzorek	Průměrná hodnota ZBI
1	Demence	Vandepitte (21)	2020	Belgie	355	33 (SD=16,18)
2	Mukopolysacharidoza	Péntek (22)	2016	FR, DE, IT, ES, SE	66	32,7
3	Duchennova svalová dystrofie	Landfeldt (23)	2016	DE, IT, UK, US	770	29
4	Prader-Willi syndrom	Kayadjanian (24)	2018	US	142	44 (+/- 15,4)
5	Alzheimerova nemoc	Bruno	2019	Itálie	198	30,6 (28,3;32,9)
6	Spinální svalová atrofie	López-Bastida (25)	2017	ES	81	34,53 (13,41)
7	Frontotemporální degenerace	Armstrong (26)	2013	US	180	39,9 (+/- 13,2)
8	Kortikobazální syndrom		2013	US	87	26,1 (+/-11,3)
9	Pokročilé onkologické onemocnění	Harding (27)	2015	UK	105	23,3 (SD 13,4)
10	Demence		2015	UK	131	27,9 (SD 16,4)
11	Získané poranění mozku		2015	UK	215	39,1 (SD 17,3)

Kvalita života měřená EQ-5D

Kvalita života je obecně u pacientů s CF či jejich pečovatelů udáváná jako vysoká
To potvrzují i závěry naší studie při použití nejrozšířenějšího dotazníku EQ-5D

EQ-5D pacienti = 0.802

EQ-5D pečovatelé = 0.869

Tabulka 4-31 Utilita (EQ-5D) pacientů a pečovatelů

Utilita	N	Průměr	SD	Medián	Min	Max
Pečovatelé	88	0,869	0,194	1,000	0,028	1,000
Pacienti	223	0,802	0,231	0,848	-0,016	1,000
Pacienti bez pečovatele	125	0,850	0,168	0,848	0,260	1,000
Pacienti s pečovatelem	98	0,740	0,282	0,814	-0,016	1,000

Důvody pro takto vysokou kvalitu života v porovnáním s jinými onemocněními je
povaha CF, kdy se jedná o chronické a celoživotní onemocnění

Pacienti si na svůj zdravotní stav „zvyknou“ a posléze reportují „nadhodnocenou“
kvalitu života (v psychologii známé jako tzv. hédonická adaptace)

Při vývoji tzv. elicitálních studiích kvality života by běžná populace při náhlé změně reportovala
významně nižší kvalitu života

Náklady pacientů, sociální dopady a dopady na práceschopnost

Přímé náklady rodiny

86 % pacientů/pečovatelů vlastní automobil

Celkové náklady spojené s CF jsou rovny 6852 Kč/měsíc (průměr na pacienta; nikoliv na nositele nákladů)

Největší položky čítají

Náklady na stravu = 1803 Kč

Volně prodejné léky/doplňky = 1482 Kč

Doprava automobilem = 1428 Kč

Léky na předpis = 1101 Kč

Desinfekce = 380 Kč

Hygienické potřeby 267 Kč

Přímé měsíční náklady rodiny	N	Průměr	SD	Medián	Min	Max
Doprava vlastním automobilem	254	1 428	2 155	900	0	23 800
Doprava na specializované vyšetření v rámci CF	254	498	677	300	0	7 000
Doprava na jiné aktivity spojené s CF	254	847	1 787	400	0	22 000
Parkovné (bez průkazu ZTP)	254	83	165	0	0	1 500
Doprava jiná než automobilem	254	31	125	0	0	1 000
Doprava na vyšetření/jiné aktivity spojené s CF	254	31	125	0	0	1 000
Náklady na stravu	254	1 803	2 268	1 000	0	10 000
Rehabilitace + cvičení + fyzioterapie	254	249	558	0	0	3 500
Rehabilitace	254	91	347	0	0	3 000
Cvičení	254	99	280	0	0	2 000
Fyzioterapie	254	60	195	0	0	1 400
Volně prodejné	254	1 482	1 401	1 080	0	11 000
Doplňky stravy	254	467	671	300	0	5 000
Vitaminy	254	636	609	500	0	5 000
Další léčivé přípravky, které nejsou na předpis	254	379	684	200	0	8 000
Na předpis	254	1 101	1 440	700	0	10 300
Léky	254	476	673	300	0	5 000
Inhalátory	254	255	554	30	0	7 000
Filtry	254	140	511	0	0	5 000
Pitíčka (tekutá klinická výživa)	254	131	431	0	0	5 000
Jiné	254	98	495	0	0	7 000
Další měsíční náklady spojené s CF	254	757	777	575	0	5 000
Desinfekce	254	380	441	300	0	3 000
Hygienické potřeby	254	267	278	200	0	2 000
Jiné	254	111	329	0	0	3 300
Celkem měsíční náklady rodiny	254	6 852	5 074	5 680	720	31 500

Náklady sociálního zabezpečení: pacient a pečovatel

Pacienti

35% invalidní důchod

13% OZP

Nejčastěji invalidní důchod 3. stupně (39%)

Tabulka 4-28 Náklady sociálního zabezpečení pacientů

Náklady sociálního zabezpečení (n=254)	N	%
Invalidní důchod	89	35,0 %
1. stupeň	32	36,0 %
2. stupeň	20	22,5 %
3. stupeň	35	39,3 %
Invalidní důchod z mládí	2	2,2 %
Dávky osob zdravotně postižených (OZP)	32	12,6 %
Příspěvek na mobilitu	30	93,8 %
Příspěvek na zvláštní pomůcky	2	6,3 %
Nemocenské dávky v posledním roce	8	3,1 %
Jiné sociální příspěvky	5	2,0 %
Dlouhodobá pracovní neschopnost	1	20,0 %
Dávky v nezaměstnanosti po dobu 6 měsíců	1	20,0 %
Rodičovský příspěvek	1	20,0 %
Příspěvek na péči	1	20,0 %
Jiné/neuvedeno	1	20,0 %
Příspěvek od nadace	91	35,8 %
Žádné	63	24,8 %

Pečovatelé

49% příspěvek na péči

Tabulka 4-30 Náklady sociálního zabezpečení pečovatelů

NSZ pečovatelů (n=108)	N	Průměr/%	SD	Medián	Min	Max
Příspěvek na péči	53	49,1 %				
Výše příspěvku na péči	40	4 786	1 963	4 450	880	8 600
Počet podaných žádostí	38	1,5	0,8	1,0	1,0	4,0
Státní sociální podpora	7	6,5 %				
Příspěvek na dítě	1	1 000	-	1 000	1 000	1 000
Příspěvek na bydlení	2	5 650	3 748	5 650	3 000	8 300
Rodičovský příspěvek	5	8 415	2 157	9 000	5 900	11 000
Další příspěvky	2	1,9 %				
Žádné	26	24,1 %				
Neuvedeno	28	25,9 %				

Práceschopnost pacientů a pečovatelů

Pacienti (starší 18 let)

Zaměstnáno 52% (n=49; celkem n=95)

Pracovní produktivita snížena o 24,6%

19,3% presentismus = snížení pracovní produktivity během práce

10,5% absentismus = absence v práci

Běžné aktivity omezeny o 26,6%

Tabulka 4-36 Ztráta pracovní produktivity (WPAI) u pacientů starších 18 let

WPAI	N	Průměr	SD	Medián	Min	Max
Absentismus	45	10,5	21,8	0,0	0,0	100,0
Presentismus	44	19,3	20,8	15,0	0,0	70,0
Zhoršení pracovní produktivity (WI)	44	24,6	25,7	20,0	0,0	85,0
Zhoršení nepracovních aktivit (AI)	95	26,6	25,1	20,0	0,0	90,0

Pečovatelé o pacienty mladší 18 let

Zaměstnáno 46% (n=41; celkem n=90)

Pracovní produktivita snížena o 14,5%

11,4% presentismus

7,6% absentismus

Běžné aktivity omezeny o 12,6%

Tabulka 4-37 Ztráta pracovní produktivity (WPAI) u pečovatelů

WPAI	N	Průměr	SD	Medián	Min	Max
Absentismus	36	7,6	18,4	0,0	0,0	100,0
Presentismus	35	11,4	18,5	0,0	0,0	70,0
Zhoršení pracovní produktivity (WI)	35	14,5	22,0	0,0	0,0	82,0
Zhoršení nepracovních aktivit (AI)	90	12,6	19,6	0,0	0,0	90,0

Náklady ztráty produktivity (metody)

Work productivity and activity impairment (**WPAI**) použit pro odhad ztráty produkt

Pro monetizaci byla použita metoda human capital approach (**HCA**) v souladu s metodikou ČFES a ztráta produktivity byla odhadována v celoživotním časovém horizontu do doby odchodu do důchodu

Náklady diskontovány 3% v souladu se SUKL/ČFES metodikami

Předpoklad průměrné doby odchodu do starobního důchodu 64 let

Do této doby se počítají ztráty produktivity, od 65. roku jsou nulové

Superhrubá mzda včetně všech odvodů (tj. hrubá mzda +33,8%) = 50 174 Kč (tzn. celkové náklady/zaměstnanec/měsíc)

Vychází z průměrné hrubé mzdy Q3/2021 = 37 499 Kč

Předpoklad „aplikovatelnosti“ na populaci pacientů s CF

Náklady ztráty produktivity: invalidita, nezaměstnanost a předčasná úmrtí

Pacienti s invalidním důchodem (dle vyhlášky č. 359/2009 Sb)

Invalidita 1. stupně: snížení produktivity o 42% (dle vyhlášky 35-49% snížení pracovní produktivity)

Invalidita 2. stupně: snížení produktivity o 60% (dle vyhlášky 50-70%)

Invalidita 3. stupně: snížení produktivity o 85% (dle vyhlášky 70-100%)

Průměrná vážená ztráta produktivity (dle zastoupení důchodů) = 63,36%

Nezaměstnaní pacienti i pečovatelé

Předpoklad snížení pracovní produktivity o 100%

Rozdíl nezaměstnanosti mezi „naší“ kohortou a běžnou populací (tj. dle ČSÚ = 3,2% nezaměstnanost)

Nezaměstnanost pacientů s CF = 12,9%; pečovatelů s CF = 31,0%

Předčasná úmrtí pacientů

Dle četných studií je průměrná doba dožití pacientů s CF $\approx$ 45 let

Od doby předčasného úmrtí je předpokládáno snížení pracovní produktivity o 100%

Základní scénář = bez předčasného úmrtí pacientů

Náklady ztráty produktivity: na osobu

Náklady ztráty produktivity pracujících

Náklady ztráty produktivity: invalidita

	Pacienti
Průměrný věk	28,50 let
Odchod do důchodu	64,00 let
Zbývající roky průčeschnosti	35,00 let*
Ztráta pracovní produktivity (1. stupeň invalidity)	42 %
Ztráta pracovní produktivity (2. stupeň invalidity)	60 %
Ztráta pracovní produktivity (3. stupeň invalidity)	85 %
Průměrná vážená ztráta produktivity	63,36 %**
Průměrné náklady ztráty produktivity jednoho pacienta s invalidním důchodem	8 578 373 Kč

	Pacienti	Pečovatelé
Průměrný věk	29,72 let	41,97 let
Odchod do důchodu	64,00 let	64,00 let
Zbývající roky průčeschnosti	34,00 let*	22,00 let*
Ztráta pracovní produktivity (work impairment)	24,59 %	14,55 %
Průměrné náklady ztráty produktivity jednoho pracujícího pacienta/pečovatele	3 277 231 Kč	1 483 349 Kč

Nezaměstnanost

	Pacienti	Pečovatelé
Průměrný věk	28,50 let	38,70 let
Odchod do důchodu	64,00 let	64,00 let
Zbývající roky průčeschnosti	35,00 let*	25,00 let*
Ztráta pracovní produktivity (předpoklad)	100 %	100 %
Podíl nezaměstnaných v kohortě	12,90 %	31,00 %
Podíl nezaměstnaných v populaci	3,20 %	3,20 %
Podíl „dodatečných“ nezaměstnaných v kohortě	75,19 %	89,68 %
Průměrné náklady ztráty produktivity jednoho nezaměstnaného pacienta	10 180 634 Kč	12 141 600 Kč

Náklady ztráty produktivity invalidita

Ilustrace nákladů ztráty produktivity
vlivem předčasného úmrtí pacientů

U pacientů s invalidním důchodem
jsou náklady méně rostoucí vlivem
snížené pracovní produktivity

	Ztráta produktivity z důvodu onemocnění (viz sekce výše)	Ztráta produktivity z důvodu předčasného úmrtí	Ztráta produktivity celkem (na 1 pacienta)
Ztráta produktivity jednoho průměrného pracujícího pacienta			
Věk odchodu do důchodu 64 let (základní scénář)	3 277 231 Kč	0 Kč	3 277 231 Kč
Předčasné úmrtí 60 let	3 050 466 Kč	922 029 Kč	3 972 494 Kč
Předčasné úmrtí 55 let	2 726 576 Kč	2 238 963 Kč	4 965 539 Kč
Předčasné úmrtí 50 let	2 351 100 Kč	3 765 651 Kč	6 116 751 Kč
Předčasné úmrtí 45 let	1 915 820 Kč	5 535 501 Kč	7 451 320 Kč
Předčasné úmrtí 40 let	1 411 210 Kč	7 587 241 Kč	8 998 452 Kč
Předčasné úmrtí 35 let	826 230 Kč	9 965 771 Kč	10 792 002 Kč
Předčasné úmrtí 30 let	148 078 Kč	12 723 140 Kč	12 871 217 Kč
Ztráta produktivity jednoho průměrného pacienta s invalidním důchodem			
Věk odchodu do důchodu 64 let (základní scénář)	8 578 373 Kč	0 Kč	8 578 373 Kč
Předčasné úmrtí 60 let	8 011 195 Kč	895 173 Kč	8 906 368 Kč
Předčasné úmrtí 55 let	7 201 094 Kč	2 173 750 Kč	9 374 844 Kč
Předčasné úmrtí 50 let	6 261 965 Kč	3 655 972 Kč	9 917 937 Kč
Předčasné úmrtí 45 let	5 173 285 Kč	5 374 272 Kč	10 547 530 Kč
Předčasné úmrtí 40 let	3 911 147 Kč	7 366 254 Kč	11 277 401 Kč
Předčasné úmrtí 35 let	2 448 015 Kč	9 675 506 Kč	12 123 522 Kč
Předčasné úmrtí 30 let	751 844 Kč	12 352 563 Kč	13 104 407 Kč

Náklady ztráty produktivity: výsledky přepočtené pro celou kohortu pacientů

Základní scénář (bez předčasného úmrtí)

Předčasné úmrtí ve věku 45 let

	Počet pacientů v kohortě	Náklady/pacient	Náklady/kohorta
Počet pacientů s CF v ČR (n = 687) (2)			
Náklady dospělí pacienti	347	-	1 884 259 486 Kč
Náklady pečovatelé	255	-	1 220 788 737 Kč
Náklady celkem	-	4 519 751 Kč*	3 105 048 222 Kč
Dospělí pacienti s CF v ČR (n = 347) (2)			
Invalidní důchod	124 (35,6 %)	8 578 373 Kč	1 059 703 573 Kč
Nezaměstnaní	45 (12,9 %)	10 180 634 Kč	455 715 720 Kč
Student	66 (19,1 %)	-	-
Pracující	113 (32,4 %)	3 277 231 Kč	368 840 193 Kč
Celkem	347 (100%)	-	1 884 259 486 Kč
Pediatrickí pacienti s CF v ČR (n = 340) (2); 75% pečovatelů (n = 255)			
Nezaměstnaní	79 (31 %)	12 141 600 Kč	959 793 480 Kč
Zaměstnaní	176 (69 %)	1 483 349 Kč	260 995 257 Kč
Celkem	255 (100 %)	-	1 220 788 737 Kč

Náklady celkem 3,1 miliardy Kč v celoživotním časovém horizontu u dané kohorty

	Počet pacientů v kohortě	Náklady/pacient	Náklady/kohorta
Počet pacientů s CF v ČR (n = 687) (2)			
Náklady dospělí pacienti	347	-	2 597 291 622 Kč
Náklady pečovatelé	255	-	1 220 788 737 Kč
Náklady celkem	-	5 557 613*	3 818 080 358 Kč
Dospělí pacienti s CF v ČR (n = 347) (2)			
Invalidní důchod	124 (35,6 %)	10 547 530 Kč	1 302 957 476 Kč
Nezaměstnaní	45 (12,9 %)	10 180 634 Kč	455 715 720 Kč
Student	66 (19,1 %)	-	-
Pracující	113 (32,4 %)	7 451 320 Kč	838 618 426 Kč
Celkem	347 (100%)	-	2 597 291 622 Kč
Pediatrickí pacienti s CF v ČR (n = 340) (2); 75% pečovatelů (n = 255)			
Nezaměstnaní	79 (31 %)	12 141 600 Kč	959 793 480 Kč
Zaměstnaní	176 (69 %)	1 483 349 Kč	260 995 257 Kč
Celkem	255 (100 %)	-	1 220 788 737 Kč

Náklady celkem 3,8 miliardy Kč v celoživotním časovém horizontu u dané kohorty

Závěr studie CF

Závěr

Cystická fibróza má podstatný vliv na pacienty i pečovatele

Pacienti i pečovatelé o pacienty s CF mají významně ovlivněnou práceschopnost

Náklady ztráty produktivity přepočteny na celou kohortu pacientů jsou >3 mld Kč

Pacienti i pečovatelé mají výrazně ovlivněné denní aktivity

Značná část pacientů s CF má invalidní důchod a není práceschopná

Pacienti i pečovatelé mají podstatné výdaje spojené s onemocněním CF

CF je časově náročné onemocnění

Věříme, že prezentovaná data mohou užitečná v rámci nového úhradového procesu nových terapií pro CF

2. Idiopatické střevní záněty (IBD)

Cíl studie a metodologie

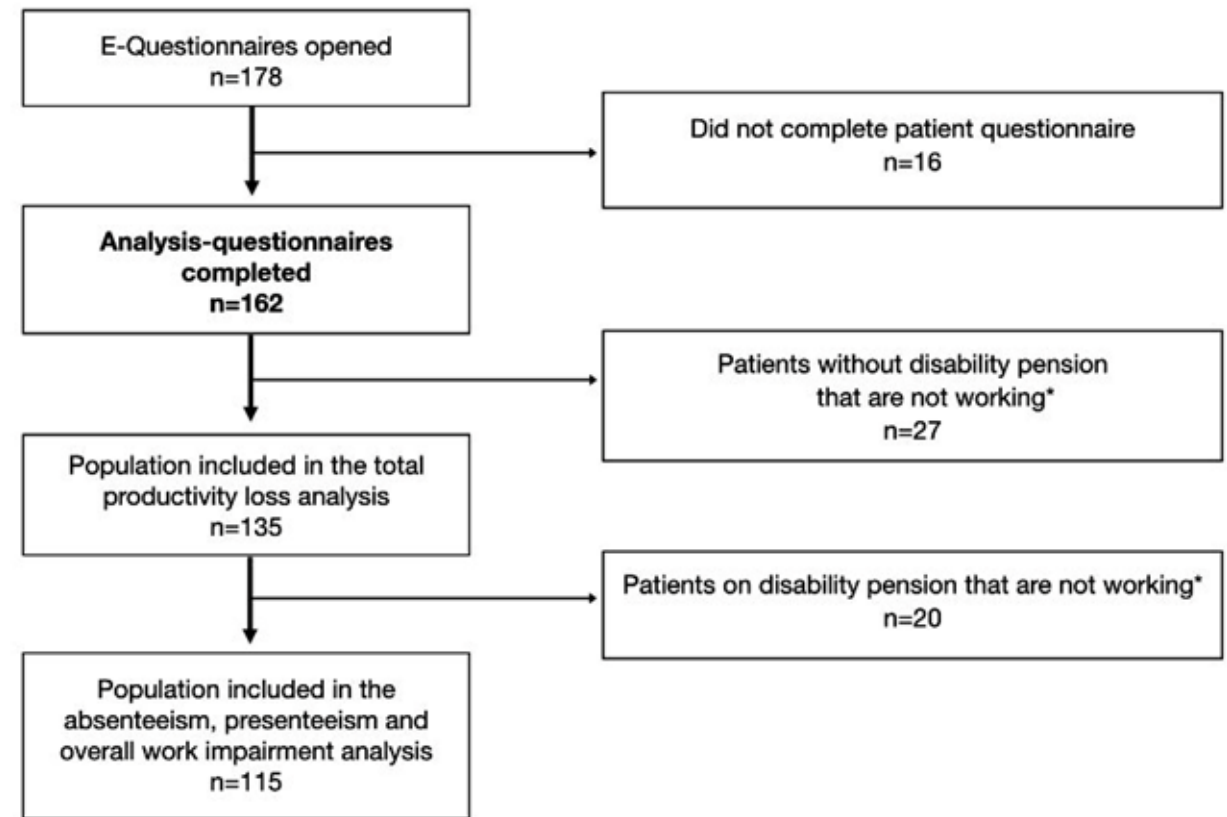
Odhadnout celospolečenský dopad IBD

Identifikovat prediktory zhoršení
pracovní produktivity/denních aktivit a
nákladů pacienta související s IBD

eCRF (electronic case report form)

Sběr dat probíhal od 4/2021 do 3/2022

Souvislosti mezi jednotlivými
proměnnými byly hodnoceny pomocí
vícerozměrné lineární regrese



**not working = answered NO to question 1 on the WPAI questionnaire*

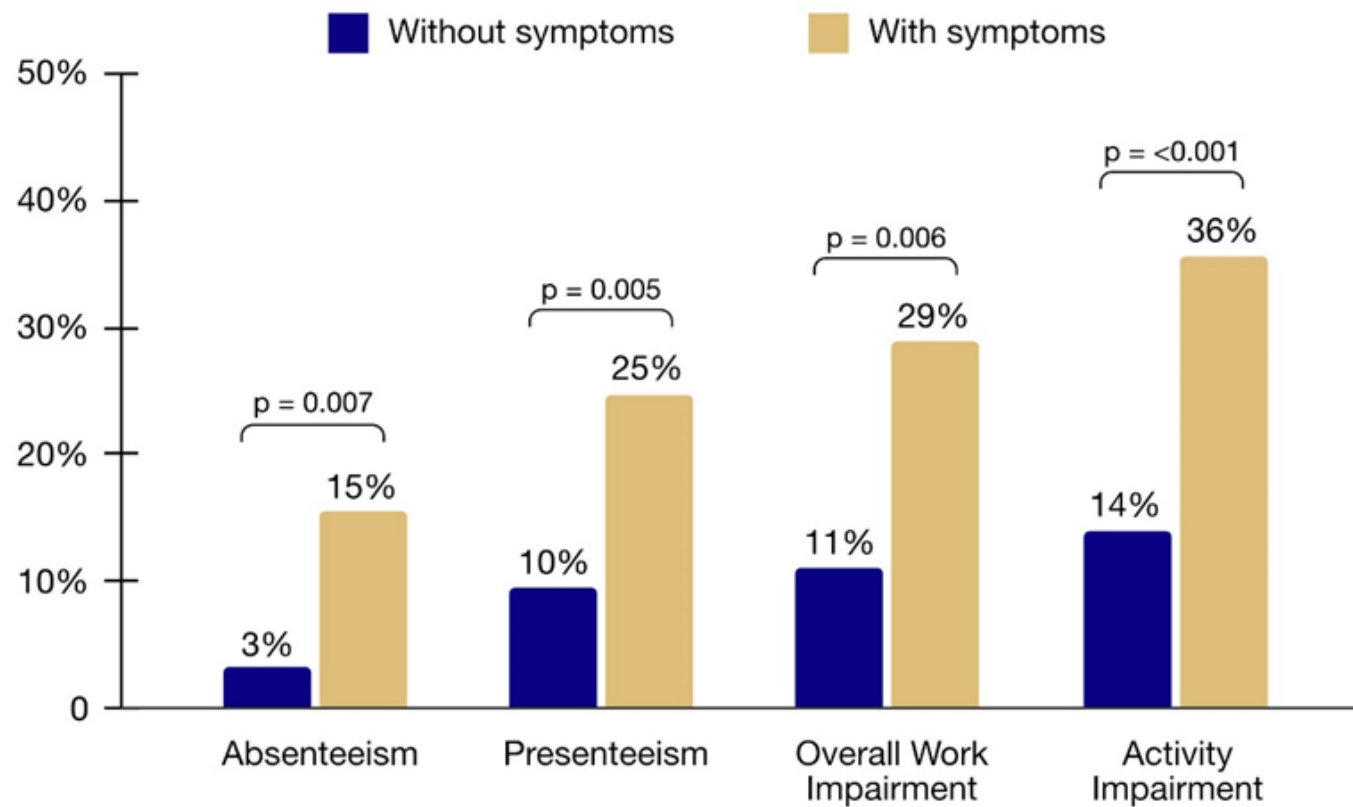
Vstupní charakteristiky pacientů

Table 1: Patient characteristics

	Total (N=162)	Patient- reported remission (N=123)	Patient- reported active disease (N=39)	p- value*
Crohn's disease, n (%)	105 (65%)	82 (67%)	23 (59%)	0.381
Female, n (%)	94 (58%)	69 (56%)	25 (64%)	0.377
Mean age, y (SD)	41.22 (13.07)	41.67 (13.04)	39.77 (13.20)	0.365
Disease duration, y (SD)	13.16 (8.72)	13.27 (8.22)	12.78 (10.50)	0.430
Mean age at presentation, y (SD)	27.58 (10.08)	27.58 (10.14)	27.57 (10.07)	0.928
Mean age at diagnosis, y (SD)	29.00 (10.40)	29.05 (10.65)	28.83 (9.67)	0.972
Mean BMI, kg/m ² (SD)	25.29 (4.68)	25.46 (4.86)	24.76 (4.06)	0.460
Smoking, n (%)	17 (10%)	11 (9%)	6 (15%)	0.126
Presence of complications, n (%)	34 (21%)	19 (15%)	15 (38%)	0.002

*Differences between groups were assessed using Mann-Whitney and Chi-square tests.

Přítomnost symptomů významně ovlivňovala pracovní produktivitu/denní aktivity pacientů



Přítomnost symptomů byla jediným prediktorem celospolečenských nákladů IBD

Table 2: Productivity, and out-of-pocket costs in patients with/without IBD symptoms

	Total (SD)	Patient-reported remission (SD)	Patient-reported active disease (SD)	Difference [95% CI]	p-value*	Adjusted difference [95% CI]**	p-value adjusted**
Productivity costs (A), €/year	1,158 (3,593)	475 (824)	3,183 (6,694)	-2,709 [-4,159; -1,259]	0.009	-2,953 [-4,513; -1,392]	0.000
Productivity costs (P), €/year	2,132 (3,413)	1,874 (3,284)	2,897 (3,727)	-1,024 [-2,470; 422]	0.146	-1,336 [-2,889; -217]	0.091
Productivity costs (WI; A+P), €/year	3,290 (5,111)	2,348 (3,589)	6,081 (7,512)	-3,732 [-5,802; -1,662]	0.016	-4,289 [-6,518; -2,061]	0.000
Total productivity costs (A+P+D), €/year	7,649 (9,002)	6,002 (7,636)	12,345 (10,902)	-6,352 [-9,689; -3,015]	0.001	-6,626 [-10,051; -3,200]	0.000
Out-of-pocket costs, €/year	559 (608)	469 (509)	844 (791)	-375 [-589; -162]	0.001	-397 [-622; -172]	0.001

*Differences between groups were assessed using Mann-Whitney and Chi-square tests.

**adjusted for age, disease duration, gender, BMI, IBD type and smoking history

Závěr, silné stránky a limitace studie

Vysoká celospolečenská zátěž
související s IBD

Významná souvislost zhoršení
pracovní neschopnosti, denních
aktivit, invalidity a nákladů se
symptomy IBD

Silné stránky:

Komplexita dotazníku

Patient-reported outcomes

Eliminace interviewer bias

Limitace:

Potenciální bias: *recall, response, sampling, social desirability bias*

Korelace vs. kauzalita

Závěr a ponaučení

Závěr

Nepředpokládat, že pacienti ve všech případech musí pochopit správně otázky

Být si vědom „chybovosti“ a „možnosti chyb“ při vyplňování a eliminovat je

Složitě a takřka nemožné vyhodnocení dat, pokud jsou v nich chyby

„Motivovat“ účastníky studie – např. vysvětlením účelu (k čemu podobné studie slouží a co mohou změnit), smysluplností, důležitostí → může pomoci i patientská organizace

Nasbíraná data mohou pomoci objasnit tíži onemocnění pacientů s daným onemocněním, ačkoliv toto onemocnění nevypadá tak náročně (viz porovnání Zarit burden u pacientů s CF vs. jiná onemocnění)

Časově náročné: dlouhé přípravy dotazníku (příprava, schvalování, příprava eCRF) a ještě delší vyhodnocování dat 😊

**Institut pro zdravotní ekonomiku
a technology assessment o.p.s.**
Václavská 316/12, Praha 2
info@iheta.org