

## C. Stručná souhrnná zpráva o realizaci projektu

Projekt Zhodnocení účinnosti nákladné léčby vzácných  
autoimunitních nervosvalových onemocnění

IČP 29/13/NAP, č. j. 20854/2013/OZS

### Obsah

<b>1</b>	<b>Cíle a výstupy projektu .....</b>	<b>2</b>
1.1	Přehled hlavních cílů projektu .....	2
1.2	Shrnutí hlavních výstupů projektu .....	2
<b>2</b>	<b>Shrnutí závěrů.....</b>	<b>3</b>
2.1	Použitá data – možnosti a omezení .....	3
2.2	Závěry pro diagnózu GBS .....	4
2.3	Závěry pro diagnózu jiné zánětlivé polyneuropatie (MMN a CIDP) .....	4
2.4	Vědecké důkazy o efektu centralizace této péče .....	4
2.5	Ekonomické parametry péče .....	5

## 1 Cíle a výstupy projektu

Zavedením Klinického standardu pro léčbu pacientů s autoimunitními nervosvalovými onemocněními intravenózním lidským imunoglobulinem a plazmaferézou (dále jen KS AINSO) do praxe, včetně monitorování způsobu a účinnosti léčby s využitím registru, dochází ke zvýšení kvality a efektivity péče o pacienty s vybranými vzácnými onemocněními a tedy i k adekvátnímu a efektivnímu vynakládání finančních prostředků<sup>1</sup>. To dokládají zahraniční zkušenosti, podložené vědeckými důkazy. Pro jejich ověření v českých podmínkách byly zvoleny následující tři diagnózy:

- Guillain-Barréův syndrom (GBS),
- Multifokální motorická neuropatie (MMN),
- Chronická zánětlivá demyelinizační polyneuropatie (CIDP).

Pro jejich léčbu je používána specifická imunomodulační léčba, jejíž účinnost byla prokázána řadou randomizovaných kontrolovaných studií, které jsou v současnosti považovány za standard medicíny založené na důkazech („evidence based medicine“ – EBM), a následně jsou výsledky těchto studií implementovány do mezinárodních i národních klinických standardů a doporučení (včetně KS AINSO). V současnosti existuje jednoznačný průkaz efektivity léčby intravenózním lidským imunoglobulinem (IVIG) a výměnnou plazmaferézou (VPF) u GBS (IVIG a VPF), MMN (IVIG) a CIDP (IVIG a VPF).

Předpokládaným efektem KS AINSO je cílenější a efektivnější použití nákladných a potenciálně rizikových léčebných postupů (IVIG a VPF), které povede ke snížení morbidity, mortality a zlepšení kvality života nemocných s autoimunitními nervosvalovými onemocněními.

Aby bylo dosaženo hlavního cíle standardizace, to je zvyšování kvality a efektivity péče, je třeba klinické standardy „uvést v život“. Znamená to vyškolení zdravotnických profesionálů, zavedení potřebné zdravotnické dokumentace a zavedení systému sledování míry naplnění standardu s využitím procesních ukazatelů a výsledků péče s využitím výsledkových ukazatelů. Významným nástrojem implementace KS AINSO do klinické praxe jsou zaváděné registry autoimunitních nervosvalových onemocnění, které podpoří poskytování péče podle klíčových doporučení KS AINSO a zajistí průběžné monitorování efektivity poskytované péče.

### 1.1 Přehled hlavních cílů projektu

Cílem projektu je optimální nastavení způsobu léčby pacientů s AINSO, která vychází ze zahraničních zdrojů EBM a bude přitom respektovat místní podmínky (podmínky českého zdravotnictví). Toho má být dosaženo implementací KS AINSO s předpokládaným efektem v podobě cílenějšího a efektivnějšího použití nákladných a potenciálně rizikových léčebných postupů (IVIG a VPF), které povede ke snížení morbidity, mortality a zlepšení kvality života nemocných s autoimunitními nervosvalovými onemocněními.

Vytvoření Registru AINSO přispívá ke sběru relevantních klinických i ekonomických dat, podporuje zavedení KS AINSO do praxe a umožňuje průběžné vyhodnocovat nejen efektivitu léčby, ale prostřednictvím tzv. procesních ukazatelů také sledovat míru dodržování klíčových doporučení KS AINSO.

### 1.2 Shrnutí hlavních výstupů projektu

- Zavedení kontinuálního monitorování kvality a efektivity péče u pacientů s vybranými AINSO (vzácná onemocnění léčená v neuromuskulárních centrech),
- Vědecké důkazy o účinnosti nákladné péče poskytované pacientům s AINSO,
- Vědecké důkazy o efektu centralizace této péče,
- Zvýšení kvality a efektivity péče o pacienty s AINSO v reálné klinické praxi.

---

<sup>1</sup> Pro naplnění tohoto předpokladu je ale třeba učinit odpovídající opatření v rámci úhradových mechanismů.

## 2 Shrnutí závěrů

### 2.1 Použitá data – možnosti a omezení

Pro vyhodnocování klíčových parametrů péče a účinku vydaných a aplikovaných doporučení je nezbytné systematicky sbírat potřebná data. V rámci projektu byly využity a hodnoceny následující dvě hlavní skupiny dat:

1. **administrativní data** - konkrétně data zdravotních pojišťoven; bylo potvrzeno, že tato data jsou dostupná v historicky dlouhých časových řadách, ale jsou málo klinicky specifická. Na druhé straně ale nesou určité informace ekonomické povahy.

Data z výkazů pro zdravotní pojišťovny, která byla použita pro odhad výskytu (incidence) případů hospitalizace pro tuto vzácná onemocnění, obsahují v omezeném rozsahu údaje umožňující provést základní odhad nákladů na tyto případy a posoudit například také stávající míru centralizace péče v ČR. Z dat, která máme k dispozici, lze odhadovat výhradně náklady na akutní hospitalizaci, ne náklady na ambulantní, následnou lůžkovou péči, nebo dokonce sociální dopady onemocnění. To se projevilo také jako omezení u diagnózy CIDP, která je léčena především ambulantně. Narazili jsme také na omezení MKN-10, která neodlišuje dva klinické stavy – MMN a CIDP, pro které používá shodně kód G61.8.

2. **klinicky relevantní data Registru AINSO** – tato data sbíraná prospektivně na základě rozhraní a metodik, vykazují vysokou klinickou specifičnost a přesnost, a tím i vhodnost pro posuzování kvality a efektivity péče o pacienty. Registr AINSO pracuje také s tzv. „procesními“ ukazateli, které dokládají míru dodržování klíčových doporučení vydaných v rámci KS AINSO. Ukazatele (resp. statistická zpracování) se proto z obecného pohledu zaměřují na následující oblasti:

- a. Demografické charakteristiky souborů případů s jednotlivými diagnózami,
- b. Charakteristiky předchobí a možné „spouštěcí“ mechanismy a klinické okolnosti chorobných stavů včetně organizačních (předchozí pobyt na pracovištích méně specializovaných, ambulantní péče, překlady atd.),
- c. Efekt léčby vyjádřený vývojem hodnot různých skórovacích systémů zaměřených především na svalovou sílu,
- d. Míru dodržení klíčových doporučení publikovaných v KS AINSO, především centralizace péče do neuromuskulárních center, volba způsobu léčby a volba dávkování.

Ukazatele efektu léčby byly modifikovány podle charakteristik průběhu onemocnění:

- u GBS, které je akutním onemocněním se závažným průběhem vyžadujícím intenzivní péči, je hodnocen především vývoj MRC skóre v doporučených časových odstupech po jednorázové léčbě IVIG nebo VPF a to ve smyslu podílu hodnoty skóre před léčbou, ihned po léčbě, měsíc po léčbě a 6 měsíců po léčbě.
- u MMN a CIDP<sup>2</sup>, která jsou chronickými onemocněními, je hodnocen dlouhodobý (až víceletý) vývoj hodnot Testu svalové síly a INCAT dvěma metodami:
  - Vyhodnocení průběhu poruchy svalové síly před a po zahájení léčby IVIG
  - Vyhodnocení doby bez progresu

„Administrativní“ data nám umožňují sledovat chování celého systému poskytování péče ale i jednotlivých nemocnic, hodnotit míru centralizace jako jeden z požadavků KS AINSO a hrubě vyhodnocovat výkonnost a s ní spojené náklady na péči. Spolu s parametricky hodnoceným efektem léčby zjišťovaným z dat Registru AINSO můžeme získat kontinuální systém monitorování efektivity péče a na základě toho dosáhnout i racionálního způsobu a výše financování.

---

<sup>2</sup> U CIDP, léčené převážně ambulantně, nelze využít data „administrativní“ a zavedení standardizovaného prospektivního sběru dat si vyžádá delší dobu.

Zjištěné údaje jak z administrativních dat, tak dat Registru AINSO byly porovnávány s literárními zdroji, co se týče incidence a prevalence těchto onemocnění, provedeno bylo také dotazníkové šetření v neuromuskulárních centrech v ČR. Všechna použitá data potvrdila závěr, že počty případů s těmito diagnózami jsou velmi nízké a pro přesnější statistická zpracování je třeba zajistit dlouhodobý, systematický a prospektivní sběr klinicky relevantních údajů. Současně je vhodné tyto klinické záznamy synchronizovat („fúzovat“) s daty ekonomickými, aby bylo možné exaktně vyhodnocovat efektivitu péče.

## 2.2 Závěry pro diagnózu GBS

Přesto, že sběr klinicky relevantních dat probíhá krátkou dobu, byly získány dostatečně statisticky validní důkazy o účinnosti léčby IVIG a VPF u diagnostické skupiny klasifikované dle MKN-10 jako G61.0 - GBS. Po 6 měsících dochází k uzdravení dle GBS score u 35 % pacientů, jejichž léčba byla zhodnocena. Výrazný je rovněž pokles podílu imobilních pacientů (ze 61 % na 6 % po odečtu zemřelých). U MRC score došlo k signifikantnímu zlepšení hodnocení při srovnání započetí léčby a hodnocení po 6 měsících od podání léčby ( $p < 0,001$ ). Při porovnávání výsledků léčby IVIG a VPF lze konstatovat, že jsou srovnatelné. Z provedených statistických šetření vyplývají následující závěry:

- Výskyt pacientů s GBS nevykazuje výrazné odchylky podle pohlaví (s mírnou převahou mužů), medián věku je 56 let u mužů a 59,7 let u žen.
- Efekt léčby (jak IVIG na VPF) je prokazatelný: po 6 měsících dochází k uzdravení dle GBS score u 35 % pacientů, jejichž léčba byla zhodnocena. Výrazný je rovněž pokles imobilních pacientů (ze 61 % na 6 % po odečtu zemřelých). U MRC score došlo k signifikantnímu zlepšení při srovnání započetí léčby a hodnocení po 6 měsících ( $p < 0,001$ ).
- Nejsou statisticky významné rozdíly léčebné odpovědi u obou metod (IVIG a VPF) ani u obou pohlaví.

## 2.3 Závěry pro diagnózu jiné zánětlivé polyneuropatie (MMN a CIDP)

U druhé skupiny onemocnění klasifikované dle MKN-10 jako G61.8 Jiné zánětlivé polyneuropatie se podařilo díky historickým klinickým záznamům zpracovat omezený počet případů a statisticky je vyhodnotit. Výsledky dokládají, že doporučená léčba (IVIG) umožňuje stabilizovat stav svalové síly, nebo výrazně omezit progresi poruchy svalové síly, která se u tohoto onemocnění očekává.

I při nízkém počtu dosud zaznamenaných případů s často nedostatečně dlouhým následným sledováním lze konstatovat, že při správné léčbě IVIG dle KS AINSO lze naprostou většinu pacientů udržet v remisi, nebo dokonce s mírným zlepšením svalové síly. Pro kvalitní statistické vyhodnocení bude třeba analýzy opakovat po uplynutí minimálně roku 2014 a pak i dále dlouhodobě.

## 2.4 Vědecké důkazy o efektu centralizace této péče

Z dostupných dat lze konstatovat, že zavedení KS AINSO vedlo k významné centralizaci zánětlivých neuropatií (především MMN) do neuromuskulárních center s příznivým efektem.

U GBS naopak dosud nedošlo k vyšší centralizaci péče a nákladná péče je v řadě případů poskytována na neurologických pracovištích nesplňujících kritéria neuromuskulárního centra. Tento stav lze zčásti vysvětlit tím, že se v případě GBS jedná o urgentní těžký stav vyžadující intenzivní péči, kdežto u chronických zánětlivých neuropatií je více času na organizaci překladač na odpovídající pracoviště.

Navíc je doba od zavedení KS AINSO do klinické praxe velmi krátká a rozhodující bude vývoj v následujících letech. Významným faktorem bude i to, do jaké míry se podaří zajistit odpovídající financování efektivního způsobu léčby.

Lze považovat za potvrzený předpoklad, že jedním z hlavních požadavků na péči o pacienty s AINSO je centralizace této péče a tím tedy vědecký důkaz pro Ministerstvo zdravotnictví a zdravotní pojišťovny o potřebě této organizační změny. Základními podmínkami úspěchu jsou pak stvrzení centralizace vyhlášením MZ ČR (stejně jako např. u center cerebrovaskulárních či traumatologických) a úhrada podání IVIG a VPF od zdravotních pojišťoven podmíněna provedením v neuromuskulárním centru.



## 2.5 Ekonomické parametry péče

Ekonomické údaje byly odvozeny z výkazů pro zdravotní pojišťovny, nejedná se tedy o reálné náklady pracovišť na péči, spíše náklady zdravotních pojišťoven na tuto péči.

Celkové náklady na nemocniční péči o pojednávané diagnostické skupiny (GBS, MMN, CIDP), se pohybují kolem 66 milionů Kč za rok. Zavedení péče dle KS AINSO postupně vede k centralizaci péče do neuromuskulárních center a správné indikaci nákladné péče. Celkový nárůst nákladů na specifickou péči s lepším efektem může být dle stávající míry centralizace péče maximálně dalších 30 milionů Kč pro celou Českou republiku. Přitom ale dojde k úsporám za péči, která dnes není poskytována dle doporučení klinického standardu a nevede k odpovídajícímu klinickému efektu (a benefitu pro pacienta). Celková bilance je z hlediska globálního ročního rozpočtu na akutní lůžkovou péči neutrální a přitom pozitivní léčebný efekt je zřejmý.

Detailnější ekonomické analýzy u různých klinických stavů je možné do budoucna provádět díky zavedení elektronického sběru klinicky relevantních a ekonomických dat v rámci tohoto projektu ve formě Registru AINSO.

Závěrečná zpráva o realizaci projektu, včetně příloh, je k dispozici na webových stránkách Registru AINSO [www.ainso.cz](http://www.ainso.cz).