

## B. Zhodnocení dosažených výsledků z hlediska stanovených cílů a harmonogramu 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, kritéria a harmonogram projektu .....</b>	<b>2</b>
1.1	Cíle projektu.....	2
1.2	Kritéria hodnocení efektivity projektu.....	2
1.3	Harmonogram projektu .....	2
<b>2</b>	<b>Plnění vydaných kritérií .....</b>	<b>3</b>
2.1	Počet neuromuskulárních center zapojených do projektu .....	3
2.2	Počet záznamů zanesených do databáze v rámci roku 2013.....	3
2.3	Podíl případů léčených dle doporučení uvedených v KS AINSO.....	3
2.4	Vyhodnocení sebraných dat z hlediska incidence případů jednotlivých diagnóz včetně demografické struktury postižených pacientů (pohlaví, věk) .....	3
2.4.1	GBS .....	4
2.4.2	MMN .....	4
2.5	Vyhodnocení sebraných dat z hlediska účinnosti léčby posouzením vývoje svalové síly (pomocí tzv. MRC skóre) a to v různých časových odstupech po léčbě.....	5
2.5.1	GBS .....	5
2.5.2	MMN .....	6
2.6	Vyhodnocení vlivu dodržování standardu KS AINSO na kvalitu a efektivitu péče a to především s ohledem na centralizaci péče do neuromuskulárních center .....	6
2.7	Vytvoření doporučení pro optimalizaci léčby v praxi na základě informací ze sebraných dat .....	7

## 1 Cíle, kritéria a harmonogram projektu

### 1.1 Cíle projektu

Zavedením KS AINSO do praxe včetně monitorování způsobu a účinnosti léčby s využitím registru dojde ke zvýšení kvality a efektivity péče a tedy i k adekvátnímu a efektivnímu vynakládání finančních prostředků. Cílem projektu je optimální nastavení způsobu léčby, která vychází ze zahraničních zdrojů EBM a bude přitom respektovat místní podmínky. Pokud výsledek potvrdí předpoklad, že jedním z hlavních požadavků na péči o pacienty s AINSO je centralizace této péče, získají Ministerstvo zdravotnictví a zdravotní pojišťovny vědecké důkazy o potřebě této organizační změny.

### 1.2 Kritéria hodnocení efektivity projektu

Ukazatel	Úspěšné splnění	Hodnocení kritéria*
<b>Počet neuromuskulárních center zapojených do projektu</b>	Minimálně 7 z celkem 8 neuromuskulárních center v ČR	Splněno
<b>Počet záznamů zanesených do databáze v rámci tohoto roku</b>	Minimálně 90	Splněno (152,2 %)
<b>Podíl případů léčených dle doporučení uvedených v KS AINSO</b>	Dodržení doporučené dávky a doporučeného postupu při neúspěchu první fáze léčby u minimálně 85 % pacientů	Splněno (98,39 %)
<b>Vyhodnocení sebraných dat z hlediska incidence případů jednotlivých diagnóz včetně demografické struktury postižených pacientů (pohlaví, věk)</b>	Bude provedeno uvedené vyhodnocení	Splněno (viz KAP. 2.4, STR. 3)
<b>Vyhodnocení sebraných dat z hlediska účinnosti léčby posouzením vývoje svalové síly (pomocí tzv. MRC skóre) a to v různých časových odstupech po léčbě</b>	Bude provedeno uvedené vyhodnocení	Splněno (viz KAP. 2.5, STR. 5)
<b>Vyhodnocení vlivu dodržování standardu KS AINSO na kvalitu a efektivitu péče a to především s ohledem na centralizaci péče do neuromuskulárních center</b>	Bude provedeno uvedené vyhodnocení	Splněno (viz KAP. 2.6, STR. 6)
<b>Vytvoření doporučení pro optimalizaci léčby v praxi na základě informací ze sebraných dat</b>	Bude vytvořeno toto doporučení	Splněno (viz KAP. 2.7, STR. 7)

\* Podrobněji v KAP. 2 PLNĚNÍ VYDANÝCH KRITÉRIÍ, STR. 3.

### 1.3 Harmonogram projektu

Číslo	Název fáze	Provedení	Realizace
1	Sběr dat	Průběžně*	Průběžně*
2	Návrh parametrů k vyhodnocení	Srpen 2013	Srpen 2013
3	Zpracování dat a statistické analýzy	Říjen a listopad 2013	Říjen a listopad 2013
4	Vyhodnocení výsledků	Prosinec 2013	Prosinec 2013
6	Zpracování závěrečné zprávy	Prosinec 2013	Prosinec 2013/leden 2014

\* Sběr dat probíhá kontinuálně, bude pokračovat i v následném období a budou použita i data nasbíraná v předchozím období.

## 2 Plnění vydaných kritérií

### 2.1 Počet neuromuskulárních center zapojených do projektu

Do projektu se zapojila všechna neuromuskulární centra uvedená v následujícím seznamu:

- NK FN Motol, Praha
- NK VFN Praha
- NK FTN Praha
- NK FN Plzeň
- Krajská nemocnice Pardubice
- NK FN Ostrava
- NK FN Brno
- NK FN Olomouc
- NK FN Hradec Králové

Celkový počet zapojených center je 9 a jedná se o všechna neuromuskulární centra definovaná podmínkami České neurologické společnosti. K projektu se připojila i některá další neurologická pracoviště bez statutu neuromuskulárního centra, jejich příspěvek ke sběru dat je však zatím nevýrazný a neovlivnil výsledky tohoto projektu.

**Hodnocení kritéria:** splněno

### 2.2 Počet záznamů zanesených do databáze v rámci roku 2013

Do databáze byly v roce 2013 zaznamenány průběhy léčby u 119 případů GBS a u 18 případů MMN, celkem tedy u 137 případů.

**Hodnocení kritéria:** splněno

### 2.3 Podíl případů léčených dle doporučení uvedených v KS AINSO

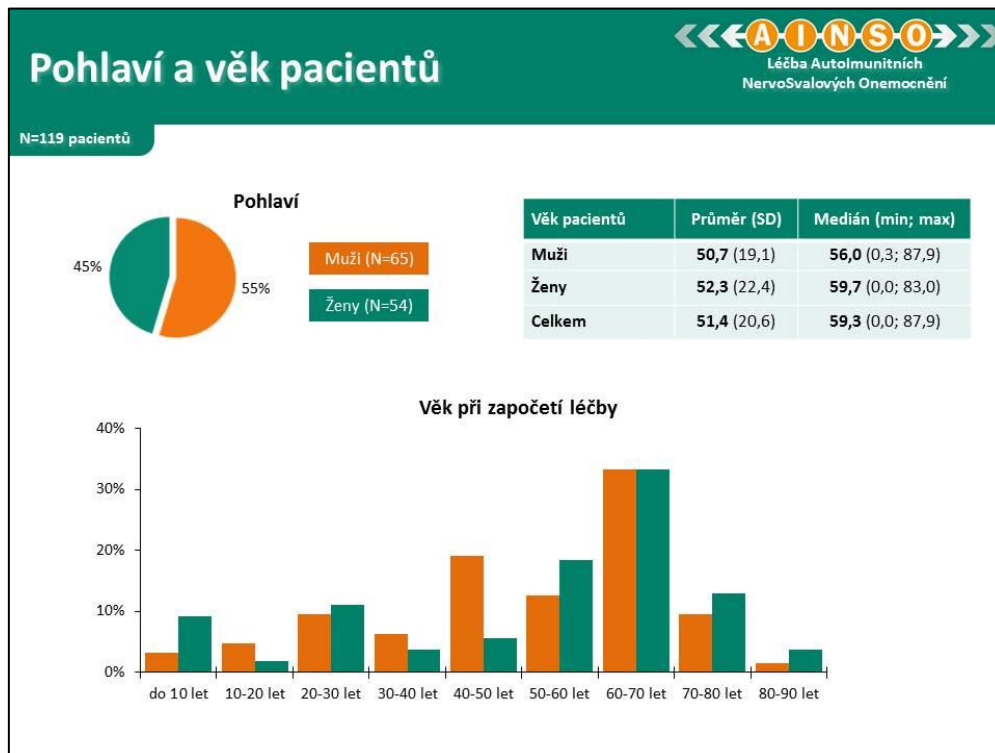
Jedná se o požadavek dodržení doporučené dávky a doporučeného postupu při neúspěchu první fáze léčby. Sledování míry splnění doporučené dávky je standardní funkcí Registru AINSO u diagnózy GBS a lékař je vždy upozorněn na nedodržení doporučené dávky. To vede k vysoké míře dodržování klíčových doporučení. Ze 124 podání IVIG pouze 2 podání vybočovala z mezí doporučení (se stanovenou 20% tolerancí). Tedy podíl podání dávky v rozsahu doporučení činí 98,39 %.

**Hodnocení kritéria:** splněno

### 2.4 Vyhodnocení sebraných dat z hlediska incidence případů jednotlivých diagnóz včetně demografické struktury postižených pacientů (pohlaví, věk)

Hodnoty počtu nových případů u diagnózy GBS byly zjištěny z databáze Registru AINSO včetně vyhodnocení struktury pohlaví a věku. Výsledek je publikován v základním dokumentu závěrečné zprávy a PŘÍLOZE 7 PŘEHLED STATISTICKÝCH VÝSLEDKŮ a je uveden také níže.

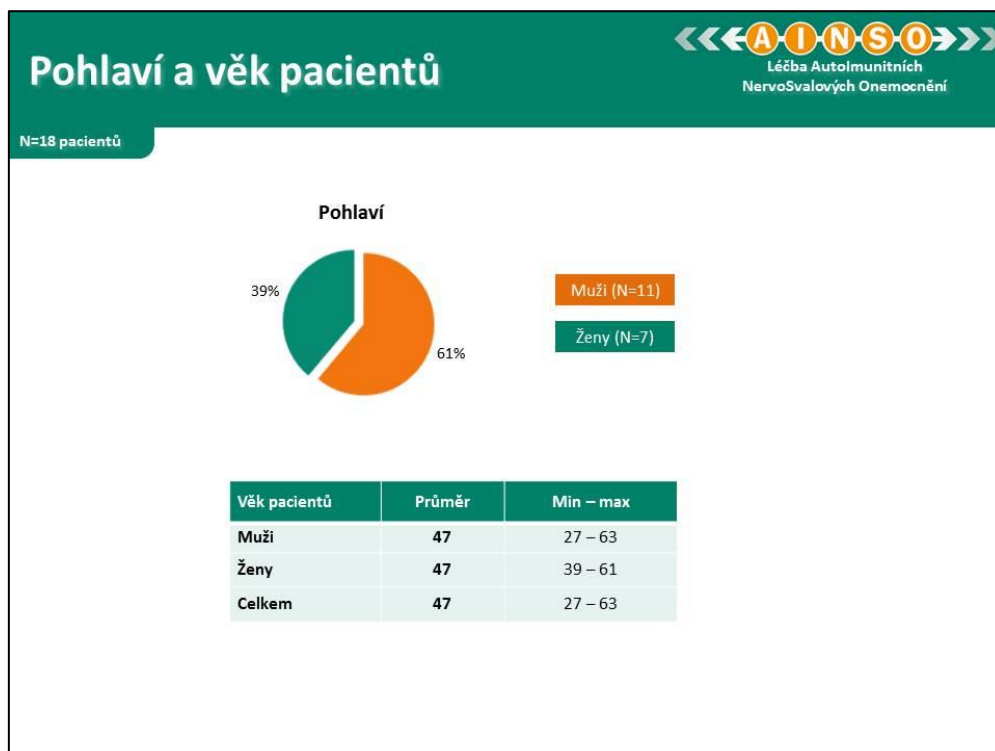
## 2.4.1 GBS



Z obrázku vyplývá, že toto onemocnění postihuje o nepatrně vyšší podíl mužů než žen, odchylky ve věkových pásmech nehodnotíme pro nízký počet případů.

## 2.4.2 MMN

U této diagnózy bylo v rámci časového úseku projektu možné získat pouze omezení množství záznamů (kvůli velmi nízké incidenci tohoto vzácného onemocnění).



Hodnocení kritéria: splněno

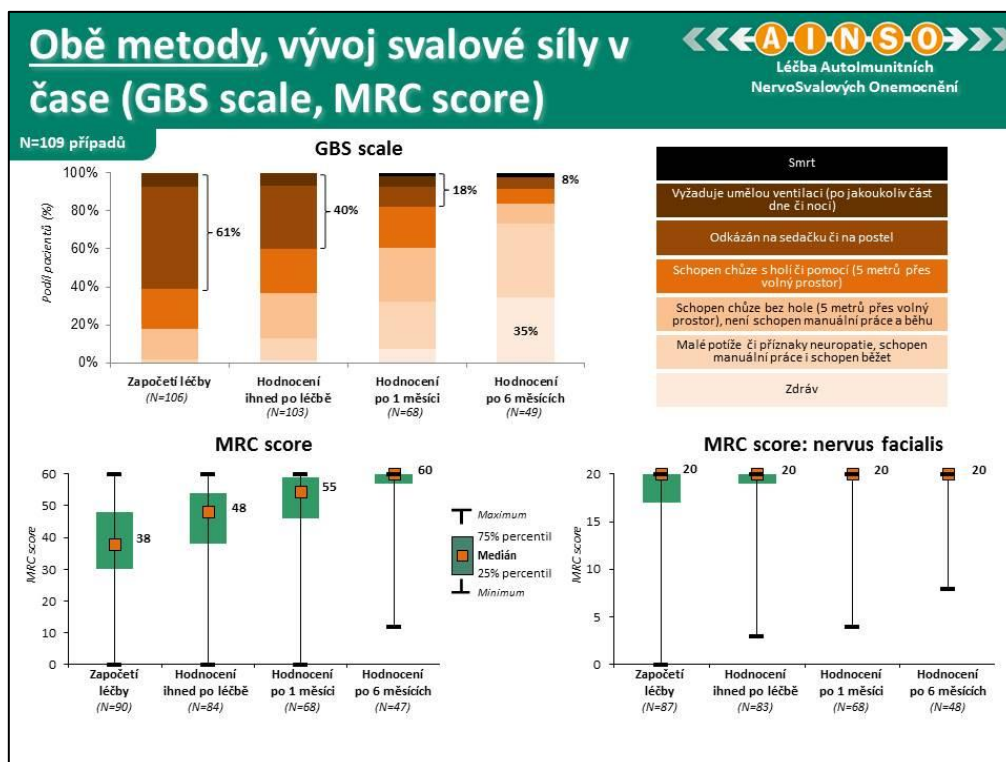
## 2.5 Vyhodnocení sebraných dat z hlediska účinnosti léčby posouzením vývoje svalové síly (pomocí tzv. MRC skóre) a to v různých časových odstupech po léčbě

Vyhodnocení bylo provedeno u obou hlavních skupin neuromuskulárních onemocnění a to zvlášť u GBS (akutní typ onemocnění) a u zánětlivých polyneuropatií (chronický typ onemocnění). S ohledem na velmi nízkou incidenci a potřebu víceletého sledování u chronických onemocnění bylo vyhodnocení u zánětlivých polyneuropatií omezené, nicméně byly splněny všechny předpoklady pro systematický sběr dat a kvalitní vyhodnocení v budoucnu:

1. Byla vytvořena specifická sběrná databáze a organizačně zajištěn sběr dat.
2. Byl navržen export dat a způsob vyhodnocení s využitím konkrétních ukazatelů a statistického zpracování.
3. Tyto metodické základy byly prakticky vyzkoušeny na sebraných datech.
4. I podle světového písemnictví<sup>1</sup> je pro statisticky validní vyhodnocení účinku léčby u zánětlivých polyneuropatií potřeba sběru dat v prospektivním časovém okně minimálně 4 roky.

Výsledky vyhodnocení účinnosti léčby jsou příznivé a jsou podrobně publikovány v PŘÍLOZE 7 PŘEHLED STATISTICKÝCH VÝSLEDKŮ. Zde prezentujeme pouze dvě klíčové statistiky.

### 2.5.1 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 ( $p < 0,001$ ).

<sup>1</sup> Van den Berg-Vos RM, Franssen H, Wokke JH, Van den Berg LH. Multifocal neuropathy: long term clinical and electrophysiological assessment of intravenous immunoglobulin maintenance treatment. Brain. 2002 Aug;125(Pt 8):1875-86.

## 2.5.2 MMN



Statistické vyhodnocení změny svalové síly bylo provedeno metodou výpočtu průměru, mediánu a směrodatné odchylky skóre testu svalové síly před a po zahájení léčby a pak po uplynutí 20 měsíců od zahájení léčby (viz obrázek dále). Výsledek je příznivý a dokládá zlepšení svalové síly po prvním podání a její následný stacionární průběh. Toto vyhodnocení však bylo možné provést pouze u 9 pacientů, u kterých jsme dosáhli alespoň oněch 20 měsíců sledování.

**Hodnocení kritéria:** splněno

## 2.6 Vyhodnocení vlivu dodržování standardu KS AINSO na kvalitu a efektivitu péče a to především s ohledem na centralizaci péče do neuromuskulárních center

Výsledky jsou rozdílné u obou hlavních diagnostických skupin. U akutního onemocnění GBS je dosavadní míra centralizace v případě první hospitalizace v ČR prozatím nižší (kolísá mezi 33 – 36 %). Značná část pacientů je ale překládána do neuromuskulárních center k intenzivní léčbě VPF nebo IVIG a tento jev má významně vzrůstající trend (viz ZÁVĚREČNÁ ZPRÁVA, PŘÍLOHA 2 STATISTICKÉ ZPRACOVÁNÍ VÝKAZŮ PRO ZDRAVOTNÍ POJIŠŤOVNY).

U chronických onemocnění (zánětlivých neuropatií) došlo v letech 2010–2012 k výraznému zvýšení centralizace ze 65 % na 75 %.

Ekonomické parametry u GBS vykazují v roce 2012 nárůst průměrného počtu bodů na případ a průměrné hodnoty ZUP<sup>2</sup> na případ oproti roku 2010, což si vykládáme jako zvýšení intenzity péče a zvýšení indikací léčby IVIG a VPF podle doporučení standardu.

Ekonomické parametry u zánětlivých neuropatií vykazují obdobný vývoj jako u GBS.

I když statistické výsledky zpracování výkazů pro zdravotní pojišťovny a ÚZIS ČR jsou klinicky málo přesné a je třeba je interpretovat velmi opatrně, naznačují výše uvedené trendy vyšší míry centralizace a zvýšení intenzity péče buď vyšší indikací VPF, nebo správnými (tedy vyššími než v minulosti) dávkami IVIG.

<sup>2</sup> Zvlášť účtovaný zdravotnický prostředek (ZUP) označuje souhrnný pojem pro zvlášť účtovaný zdravotnický materiál (ZUM) a zvlášť účtovaný léčivý přípravek (ZULP).



Kvalitu péče hodnocením vývoje svalové síly můžeme posuzovat pouze z dat Registru AINSO, jehož využívání je s ohledem na obvyklou dobu klinického vývoje a nízkou incidenci těchto vzácných onemocnění příliš krátkodobé. I tak jsou ale výsledky hodnocení vývoje svalové síly poměrně přesvědčivé.

**Hodnocení kritéria:** splněno

## **2.7 Vytvoření doporučení pro optimalizaci léčby v praxi na základě informací ze sebraných dat**

Projekt splnil zadání ve smyslu vytvoření metodik a ověření významu zavedeného sběru dat. Jsou vytvořeny všechny podmínky pro kontinuální sledování efektu léčby předmětných AINSO. I s odkazem na práci nizozemských autorů<sup>1, str. 5</sup> doporučujeme, aby se ve sběru dat pokračovalo, a aby byla vytvořena užší vazba mezi databází Registru AINSO a daty zdravotních pojišťoven. Možnosti takového sběru dat jsme již prakticky ověřili a je možné jej zavést alespoň u neuromuskulárních center.

Co se týče zvyšování kvality péče v neuromuskulárních centrech, je tato při využívání Registru AINSO pod poměrně dobrou kontrolou, nicméně by bylo vhodné navíc kvalitu zavedení KS AINSO auditovat zástupci neuromuskulární sekce.

Konečně doporučujeme zajistit speciální způsob financování těchto vzácných onemocnění v rámci neuromuskulárních center a posílit tak vyloučení neadekvátní péče v rámci ostatních neurologických pracovišť, která až dosud neaplikovala klíčová doporučení KS AINSO. Tato pracoviště nevykazují své případy do registru AINSO a není tak možné kvalitu jejich péče monitorovat.

Při splnění doporučení předchozího bodu by mělo dojít k optimalizaci úhrad, které nebudou směřovány na pracoviště, která nesplňují požadavky na tuto péči, a není možné ověřit kvalitu jejich péče. Celkové roční náklady na tuto péči se v současném stavu pohybují kolem 66 milionů Kč a v rámci konsolidace do neuromuskulárních center i při vyšší finanční podpoře adekvátní péče podle KS AINSO (léčba IVIG a VPF) by se neměly zásadně zvýšit. Došlo by ale k úsporám za péči neposkytovanou dle odborných požadavků založených na vědeckých důkazech.

**Hodnocení kritéria:** splněno