



Uniwersytet Medyczny im. Karola Marcinkowskiego
w Poznaniu

**Katedra i Klinika
Neurologii Wieku Rozwojowego**
60-355 Poznań, ul. Przybyszewskiego 49
☎ (061) 8691255 fax: (061)8691553

Kierownik: Prof. dr hab. n. med. Barbara Steinborn

bstein@ump.edu.pl

Poznań, dn. 19.02.2024r.

Recenzja pracy doktorskiej mgr Ewy Grędowskiej

pt.: "Ocena kosztów związanych z opieką nad pacjentem z rdzeniowym zanikiem mięśni 5q przed i po włączeniu terapii nusinersenem"

Autorka podjęła się opracowania dotyczącego analizy kosztów opieki i leczenia w przewlekłej chorobie jaką jest rdzeniowy zanik mięśni (spinal muscular atrophy -SMA).

Wybór takiej tematyki w opinii recenzenta jest istotny nie tylko dlatego, że oceniano leczenie drogim preparatem w przypadkach do tej pory nieleczonych i chorych w zaawansowanym stopniu choroby ale wydatkowano środki publiczne także na opiekę nad pacjentami. Leczenie chorego w przypadku SMA to nie tylko stosowanie leków, to także potrzeba hospitalizacji, licznych konsultacji lekarskich, opieki rehabilitantów oraz w wielu przypadkach stała opieka w warunkach domowych.

Praca, którą przedstawiono mi do recenzji ma tradycyjny charakter pracy doktorskiej. Została przygotowana starannie. Składa się z dobrze przygotowanych poszczególnych części. Praca liczy 113 stron, umieszczono także spis rycin, tabel, wykaz skrótów oraz piśmiennictwo i załącznik w postaci treści ankiety wypełnianej przez opiekunów.

Celem pracy, jaki postawiła sobie Doktorantka była ocena kosztów leczenia pacjentów z SMA przed i po rozpoczęciu leczenia nusinersenem. Do tej analizy

wykorzystała dane wyceny procedur przyjętych przez jeden z ośrodków zajmujących się leczeniem tzn. Uniwersyteckiego Centrum Klinicznego (UCK) w Gdańsku. Wybór jednego ośrodka do takiej analizy jest trafny. Koszty opieki i poszczególne procedury są jednakowo wycenione przez NFZ w całym kraju. Analizie poddała także dane z ankiet opiekunów.

We wprowadzeniu do pracy Autorkach przedstawia dane epidemiologiczne SMA, dane dotyczące etiologii i patogenezы oraz genetyki SMA. W podpisach niektórych tabel podaje informacje, że przygotowała je na podstawie różnych publikacji. Umieszczając ryc. 5 z publikacji Majchrzak-Celińskiej i wsp., 2020, nie zawarła takiego wyjaśnienia. Czy otrzymała zgodę od Autorów? Omawia także zagadnienia kliniczne i klasyfikację SMA. Nie zapomina także o omówieniu skal służących do oceny sprawności motorycznej chorych na SMA. Przed erą leczenia SMA można było obserwować tzw. naturalny przebieg tej choroby. Doktorantka opisuje progresję tej choroby w różnych postaciach. Ta część rozprawy jest przygotowana starannie i poprawnie.

W kolejnych częściach pracy omawia możliwości diagnostyczne SMA a także aktualnie stosowane formy leczenia farmakologicznego. Doktorantka opiera się na dobrze dobranym piśmiennictwie. Nie zapomina o konieczności wprowadzenia do głównego zagadnienia jakim jest porównanie i analiza kosztów w czasie przed włączeniem leczenia nusinersenem i stosowania leczenia SMA w ramach tzw. programu lekowego a także opinii opiekunów.

Cele pracy zostały sformułowane poprawnie. Nie uwzględniono jednak danych pojawiających się w omówieniu wyników i wnioskach pracy tj. wzrostu świadomości i wiedzy na temat SMA.

W części IV zatytułowanej „Metody” przedstawiano informacje na temat sposobów pozyskiwania danych źródłowych. Autorka nie tylko korzystała z informacji Działu Rozliczeń Usług Medycznych UCK w Gdańsku ale także wykorzystała tzw. dane ankietowe przeprowadzone wśród opiekunów chorych z SMA. Ankieta zawierała dobrze dobrane pytania, które okazały się podstawą do przygotowania wniosków o poprawie wiedzy i świadomości tej choroby.

Wszystkie cele, w oparciu o dobrze przygotowany materiał danych źródłowych i metody badawcze, konsekwentnie zrealizowała i bardzo skrupulatnie przedstawiła wyniki tych badań.

Wyniki swoich badań Autorka przedstawiła szczegółowo, wykorzystując liczne tabele i wykresy, które zostały przygotowane starannie i poprawnie. Taki sposób prezentacji wyników znacznie ułatwia ich analizę i ocenę. Ta ocena dotyczy zarówno prezentacji badanych grup jak i analizy wyników.

Analizując koszty świadczeń, na podstawie wyceny procedur UCK w Gdańsku, uwzględnia typy SMA co okazuje się ważne dla porównania średnich kosztów przeznaczanych na leczenie jednego chorego przed i po włączeniu leczenia nusinersenem. Ważną informacją dla czytelnika, nie tylko lekarza, jest informacja o znacznych kosztach tzw. obsługi programu lekowego, najwyższego ze wszystkich kosztów dla każdej postaci SMA. Doktorantka w swojej analizie opiera się na podziale SMA na typ I, II i III ale uwzględnia też tzw. stany funkcjonalne podczas oceny skuteczności leczenia nusinersenem.

Wprowadzenie programu lekowego na przykładzie obserwacji badanej grupy chorych pozwoliło także na ocenę kosztów opieki nad nimi. Autorka porównała częstość i koszty konsultacji specjalistycznych przed wejściem programu lekowego i po jego zastosowaniu. Koszty wprowadzenia programu lekowego znacznie podwyższyły wydatki na opiekę ale jednoczesna ich analiza pozwoliła na zwrócenie uwagi opiekunów na konieczność korzystania z opieki nie tylko neurologa i ortopedy. Ważną informacją, którą Doktorantka podkreśla jest potrzeba zmian w sposobie finansowania sprzętu rehabilitacyjnego, Dzięki dokładnej analizie danych na temat leczenia chorych na SMA, po wykorzystaniu ankiet opiekunów, przedstawiono informacje o zmianie jaka się dokonała i ale też potrzebie zmian w opiece nad tymi chorymi.

Dyskusja jest mocą stroną tej dysertacji mimo jej zwięzłego charakteru. Doktorantka analizuje aktualne, dobrze dobrane piśmiennictwo i porównuje je ze swoimi wynikami.

Wnioski są podsumowaniem wyników, nie odpowiadają w pełni celom pracy. Część ta jest raczej formą propozycji na temat konieczności zmian finansowania rehabilitacji i dostępu do sprzętu rehabilitacyjnego.

Piśmiennictwo, obszerne, ale aktualne, zostało przygotowane w sposób konsekwentny.

Rozprawę doktorską mgr Ewy Grędowskiej oceniam bardzo dobrze. Jest oryginalnym rozwiązaniem problemu ekonomicznego i naukowego o nowotarskim

charakterze i jednocześnie może być wykorzystana jako wskazówki praktyczne, zwłaszcza podczas planowania finansowania terapii w chorobach rzadkich. Praca ta została bardzo dobrze przygotowana i zrealizowana. Ma wiele walorów poznawczych. Doktorantka wykazała się dobrą wiedzą teoretyczną oraz umiejętnością prowadzenia analizy naukowej.

Wnioskuje do Rady Nauk Medycznych Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego o dopuszczenie mgr Ewy Grędowskiej do dalszych etapów przewodu doktorskiego.

Barbara Steinborn



Prof. dr hab. n. med.

Barbara Steinborn