

**dr hab. n. med. i n. o zdr. Filip Raciborski**

**Zakład Profilaktyki Zagrożeń Środowiskowych, Alergologii i Immunologii**

**Warszawski Uniwersytet Medyczny**

Warszawa, 18.08.2023

### **RECENZJA**

Rozprawy doktorskiej mgr Marzeny Domańskiej-Sadynica pt. *Kompleksowa opieka nad chorym z wczesnym zapaleniem stawów jako nośnik wartości zdrowotnej.*

Choroby reumatyczne mają charakter przewlekły. Dzielimy je na choroby zapalenie i niezapalne. Wczesne zapalenie stawów to grupa schorzeń określanych jako niesklasyfikowane zapalenie stawów charakteryzujące się zapaleniem jednego, kilku lub wielu stawów trwającym nie dłużej niż 6–12 tygodni. Wraz z postępowaniem choroby może rozwinąć się w reumatoidalne zapalenie stawów lub inną artropatię. Możliwa jest również samoistna remisja. U części pacjentów choroba pozostanie dalej niesklasyfikowanym zapaleniem stawów. W praktyce klinicznej w przypadku pacjenta z wczesnym zapaleniem stawów konieczne jest przeprowadzenie kompleksowej diagnostyki różnicowej.

Zgodnie z rekomendacjami Europejskiego Związku Stowarzyszeń Reumatologicznych EULAR (European Alliance of Associations for Rheumatology) dotyczące standardu postępowania dla wczesnego zapalenia stawów, konieczne jest zastosowania

intensywnego leczenia u chorych z wczesnym zapaleniem stawów z obecnymi czynnikami ryzyka rozwoju przewlekłej, postępującej choroby. Wynika to z faktu, iż zbyt późno podjęta właściwa interwencja medyczna przekłada się długi czas rozwoju procesu zapalnego, nadmiernej aktywności układu immunologicznego. To z kolei wpływa na mniejszą skuteczność podjętego później leczenia. Ma to bezpośredni wpływ na pogorszenie jakości życia chorego i wyższe koszty po stronie płatnika, co wynika ze stosowanie droższych terapii. Obniża również szansę na uzyskanie remisji. Rekomendacje EULAR odzwierciedlono w zaleceniach dotyczące diagnostyki i leczenia wczesnego zapalenia stawów opracowanych w 2021 roku przez Polskie Towarzystwo Zapalnych Chorób Autoimmunologicznych. Należy dodać, że z badań wynika, iż w Polsce opóźnienia diagnostyczne w reumatoidalnym zapaleniu stawów są najdłuższe w Europie.

Przedstawiona do oceny rozprawa doktorska ma charakter monografii złożonej z 7 rozdziałów merytorycznych oraz 3 dodatkowych (streszczenie, streszczenie w j. ang. oraz bibliografia). Całość pracy (z wyjątkiem streszczenia w j. ang.) napisana jest w języku polskim i liczy łącznie 180 stron wraz z załącznikami. Głównym celem pracy była ocena wpływu kompleksowej opieki nad pacjentem z wczesnym zapaleniem stawów. Temat rozprawy doktorskiej został sformułowany prawidłowo i odpowiada treści pracy doktorskiej oraz wpisuje się w aktualne trendy w badaniach w dyscyplinie nauki o zdrowiu.

We wstępie Doktorantka ogólnie scharakteryzowała wczesne zapalenie stawów oraz odniosła się do rekomendacji European Alliance of Associations for Rheumatology (EULAR) w zakresie leczenia pacjentów z wczesnym zapaleniem stawów. Odniosła się również do programu pilotażowego kompleksowej opieki nad pacjentem z wczesnym zapaleniem stawów.

W rozdziale I Doktorantka szczegółowo omówiła założenia opieki zdrowotnej opartej na wartości (Value Based Health Care - VBHC) zarówno z perspektywy teoretycznej, jak i praktycznej. Przedstawiła definicje analizowanego zagadnienia różnych autorów porównując je między sobą w przejrzysty sposób. Wyjaśniła również szczegółowo

strategię transformacji opieki zdrowotnej w kierunku modelu Value Based Health Care bazując na Agendzie Wartości Portera i Lee z 2013 r., na której opiera się większość modeli opieki VBHC na świecie.

W rozdziale II Doktorantka omówiła kwestię wczesnego zapalenia stawów z perspektywy systemów opieki zdrowotnej. Przedstawiła dane epidemiologiczne zaczerpnięte z literatury oraz dane Narodowego Funduszu Zdrowia dotyczące liczby pacjentów, którym realizowano świadczeni z powodu choroby zapalnej stawów w latach 2015-2021. Doktorantka omówiła również standard postępowania z pacjentami z wczesnym zapaleniem stawów bazując na rekomendacjach EULAR oraz Polskiego Towarzystwa Zapalnych Chorób Autoimmunologicznych. Przeprowadziła również analizę dostępności do świadczeń zdrowotnych z zakresu reumatologii, bazując między innymi na Mapach Potrzeb Zdrowotnych z 2022 roku.

Rozdział III dotyczy metodyki badań własnych. Doktorantka szczegółowo przedstawiła cel pracy, zakres analiz, pytania badawcze oraz hipotezy (w tym 1 hipotezę główną i 11 szczegółowych). Doktorantka jako główną hipotezę badawczą przyjęła: *Czy wdrożenie modelu kompleksowej opieki nad pacjentami z wczesnym zapaleniem stawów (WZS) zwiększy wartość zdrowotną poprzez podniesienie jakości opieki nad chorym?* Omówione zostały szczegóły dotyczące struktury badanej grupy: 120 osób podzielonych na 2 główne podgrupy: 1. z potwierdzoną chorobą zapalną; 2. z niepotwierdzoną chorobą zapalną. Badania zrealizowano w Klinice Wczesnego Zapalenia Stawów i Klinice i Poliklinice Chorób Tkanki Łącznej Narodowego Instytutu Geriatrii, Reumatologii i Rehabilitacji im. prof. dr hab. med. Eleonory Reicher w Warszawie (NIGRiR). W rozdziale III przedstawiono również szczegóły dotyczące narzędzi badawczych w tym kwestionariusza The World Health Organisation Quality of Life Bref – WHOQOL-Bref oraz autorskiej ankiety złożonej z 37 pytań. W pracy wykorzystano również analizę kosztów związanych z potwierdzeniem u pacjenta zapalnej choroby reumatycznej bądź jej wykluczeniem w trybie hospitalizacji w oparciu o dane udostępnione przez dział Analiz i Rozliczeń NIGRiR. Analizy statystyczne zostały przeprowadzone zostały przy użyciu programu STATISTICA. Wykorzystano statystyki opisowe do analizy zmiennych parametrów jakości życia i

doświadczenia pacjenta z uwzględnieniem podziału na płeć, miejsce zamieszkania, wykształcenie oraz choroby współistniejące. Z uwagi na brak rozkładu normalnego zmiennych ilościowych wykorzystano test nieparametryczny Kruskala – Wallisa (dla czterech zmiennych) i test U Manna -Whitneya (dla dwóch zmiennych). Wartość graniczną p-value przyjęto na poziomie  $\alpha = 0,05$ . Weryfikację hipotez przeprowadzono w oparciu o ocenę poziomu istotności statystycznej wyników. W pracy wszystkie analizy statystyczne zostały wykonane poprawnie zgodnie z przyjętymi zasadami. Dobór testów uwzględniał charakter analizowanych zmiennych. Przyjęty poziom istotności jest właściwy dla tego rodzaju analiz.

Badanie zostało zaakceptowane przez Komisję Bioetyczną przy Narodowym Instytucie Geriatrii, Reumatologii i Rehabilitacji im. prof. dr hab. med. Eleonory Reicher w Warszawie.

W rozdziale IV Doktorantka przedstawiła wyniki badania własnego odnosząc się kolejno do postawionych hipotez szczegółowych. Weryfikacja hipotez oparta była na analizie danych pochodzących od 120 pacjentów oraz wykonanych testach statystycznych. Wyniki badań zostały zwizualizowane za pomocą tabel oraz rycin. Wykorzystano w tym celu wykresy słupkowe/kolumnowe oraz wykresy skrzynkowe.

Doktorantka przeprowadziła również ocenę kompleksowej opieki nad pacjentem z WZS określoną projektem rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 2 marca 2023 roku. Przeprowadzona analiza wykazała, że jest w większości zgodna z kluczowymi założeniami sześćoelementowej strategii transformacji opieki zdrowotnej do modelu opieki opartego na wartości Value Based Health Care według Portera i Lee. Można zatem przyjąć, że wdrożenie modelu kompleksowej opieki nad pacjentem z WZS zwiększy wartość zdrowotną poprzez podniesienie jakości opieki, gdyż wszystkie nośniki wartości: bezpieczeństwo, dostępność, równość, skuteczność i efektywność oraz doświadczenie pacjenta będą wzrastać.

Przedstawione do oceny wyniki badań własnych Doktorantki wskazują na istnienie istotnego problemu związanego z jakością opieki zdrowotnej nad pacjentem z wczesnym zapaleniem stawów. Jest to kluczowa bariera utrudniająca maksymalizację

wartości zdrowotnej dla tej grupy pacjentów. Przedstawiona ocena została podparta wynikami badań własnych, które wykazały niską jakość opieki związaną z: dostępnością do reumatologa, bezpieczeństwem w zapobieganiu działaniom niepożądanym leczenia i bezpieczeństwem związanym z uzyskiwaniem zrozumiałych informacji od reumatologa (w zakresie choroby i oddziaływania terapii na zdrowie).

Rozdział V poświęcony był ocenie programu kompleksowej opieki nad pacjentem z wczesnym zapaleniem stawów (KOWZS) w odniesieniu do założeń opieki zdrowotnej opartej na wartości (VBHC). Doktorantka przedstawiła kluczowe założenia KOWZS w oparciu o projekt rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 2 marca 2023 roku. Zgodnie z założeniami program ma umożliwić szybkie postępowanie diagnostyczne w celu weryfikacji rozpoznania zapalnej choroby reumatycznej oraz jak najszybsze wyodrębnienie wczesnego reumatoidalnego zapalenia stawów lub wczesnej, nieradiologicznej spondyloartropatii. Doktorantka przeprowadziła również ocenę organizacji i sposobu funkcjonowania Ośrodka Wczesnego Zapalenia Stawów w porównaniu do założeń opisanych w koncepcji Portera i Lee.

Rozdział VI stanowi dyskusję nad uzyskanymi wynikami. Istotne utrudnienie stanowił fakt, iż w trakcie analizy piśmiennictwa Doktorantka nie natrafiła na żadne źródła dotyczące weryfikacji wpływu kompleksowej opieki nad pacjentem z wczesnym zapaleniem stawów na zwiększenie wartości zdrowotnej w odniesieniu do jakości opieki. Jednakże, świadczy to o nowatorskim charakterze przedstawionej do oceny pracy. Doktorantka odniosła się natomiast do wprowadzonych na świecie kompleksowych ścieżek diagnostyki dla pacjentów z chorobami reumatologicznymi lub chorobami mięśniowo-szkieletowymi.

W rozdziale VII Doktorantka przedstawiła wnioski z całej pracy. W oparciu o uzyskane wyniki badań można stwierdzić, iż wdrożenie modelu kompleksowej opieki nad pacjentem zwiększy wartość zdrowotną, poprzez podniesienie jakości opieki nad pacjentem. Dodatkowo, udowodniła, że kompleksowa opieka nad pacjentem z wczesnym zapaleniem stawów (KOWZS) jest przykładem modelu opieki opartym na wartości (VBHC).

Z obowiązku recenzenta muszę wskazać drobne uwagi merytoryczne. W mojej opinii hipotezy badawcze, które poddawane są weryfikacji statystycznej, winny być sformułowane w formie twierdzeń, a nie pytań. Zapewne, przyjęta formuła wynika, z próby bezpośredniego przeniesienia pytań badawczych na hipotezy. W pracy dane dotyczące liczby udzielanych świadczeń porównywane są między rokiem 2016 i 2021 (s. 49). Z uwagi na pandemię COVID-19 wykorzystywanie danych z lat 2020-2022 winno być uzupełnione stosowanym komentarzem i interpretowane z dużą ostrożnością. Rozważyłbym również zmianę kierunku procentowania w Tabeli 6, Tabeli 8 oraz Tabeli 10 lub zmianę samego tytułu tabeli.

Praca prezentuje bardzo wysokie poziom pod względem edytorski, ale chciałem zasygnalizować kwestie, które w przypadku chęci opublikowania treści monografii, warto skorygować. Numeracja przypisów winna zaczynać się od numeru [1] i konsekwentnie rosnać. Obecnie, pierwsze odniesienie do źródeł znajduje się we wstępie pracy i ma numer [35]. Problem prawdopodobnie jest konsekwencją przyjęcia alfabetycznej kolejności pozycji piśmiennictwa w bibliografii. Wyniki testów istotności statystycznej winno się prezentować z dokładnością maksymalnie do 1/1000, chyba że z innych względów wskazane jest podanie bardziej precyzyjnych wyników. Dodatkowo, mimo iż zgodnie z zasadą zaokrąglania zapis  $p=0.0000$  wydaje się uzasadniony, to sugerowałbym posługiwanie się zapisem  $p<0.001$  (ewentualnie  $p<0.0001$ ), który lepiej odzwierciedla koncepcję testowania hipotez statystycznych. Podrozdział 2.4. jest błędnie oznaczony jako 4.2 w głównym tekście monografii (w spisie treści jest poprawny numer).

Przedstawione powyżej kwestie nie wpływają na ogólną bardzo dobrą ocenę przedstawionej pracy. Wyciągnięte wnioski odpowiadają w pełni celowi pracy. Również tytuł jej jest adekwatny do przedmiotu rozprawy. Na szczególną uwagę zasługuje przyjęta metodyka badania. Wykorzystane zostały zwalidowane międzynarodowe kwestionariusze, co wydaje się optymalnym rozwiązaniem. Nawet pytania autorskie bazowały na kwestionariuszach stosowanych w innych badaniach. Mimo relatywnie niewielkiej liczby zbadanych osób (120 pacjentów) posłużono się modelem opartym na równolicznych grupach, co jest najlepszym rozwiązaniem pod

względem prowadzenia porównań przy wykorzystaniu narzędzi statystycznych. Na uwagę zasługuje również praktyczny aspekt recenzowanej monografii. Opracowane przez Doktorantkę wnioski odnoszą się do wdrażanego obecnie rozwiązania i mogą zostać wykorzystane do jego dalszego rozwoju.

W podsumowaniu należy podkreślić, że uzyskane przez Doktorantkę wyniki stanowią ważny głos w dyskusji na temat optymalnego modelu opieki na pacjentem z wczesną chorobą stawów i znajdują praktyczne zastosowanie. Stwierdzam, że przedstawiona przez mgr Marzenę Domańską-Sadynica rozprawa doktorska pt.: „Kompleksowa opieka nad chorym z wczesnym zapaleniem stawów jako nośnik wartości zdrowotnej” stanowi oryginalne rozwiązanie problemu naukowego. **Rozprawa doktorska spełnia warunki określone w Art. 187 ust. 1 i 2 Ustawy z dnia 2 lipca 2018 r. Prawo o szkolnictwie wyższym i nauce (Dz. U. 2022 poz. 574). W związku z powyższym, zwracam się do Wysokiej Rady Nauk o Zdrowiu Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego z wnioskiem o dopuszczenie mgr Marzeny Domańskiej-Sadynica do dalszych etapów przewodu doktorskiego.**

Z uwagi na podjęcie przez Doktorantkę niezwykle ważnego z perspektywy zdrowia publicznego tematu pracy badawczej oraz istotne implikacje praktyczne wynikające z rozprawy doktorskiej wnioskuję do Wysokiej Rady o wyróżnienie rozprawy.

