



QALY jako miara jakości życia

Tytuł:
QALY jako miara jakości życia.

Autorzy:
Kinga Stańczak-Mrozek¹, Ewa Biłant¹, Katarzyna Mućka¹

¹Dział Programów Lekowych, Wydział Oceny Technologii Medycznych, AOTMiT.

Warszawa, sierpień 2019

Projekt okładki:
Anna Widlarz-Duda



Fundusze
Europejskie



Rzeczpospolita
Polska

Unia Europejska
Europejskie Fundusze
Strukturalne i Inwestycyjne



Dzieło w całości chronione jest prawem autorskim. Żadna z części tej książki nie może być w jakiegokolwiek formie publikowana bez uprzedniej zgody Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. Dotyczy to również sporządzania fotokopii, mikrofilmów, tłumaczenia oraz przenoszenia danych do systemów komputerowych.

Niniejsza publikacja stanowi utwór w rozumieniu ustawy z dnia 4 lutego 1994 r. o prawie autorskim i prawach pokrewnych (Dz. U. z 2021 r. poz. 1062 z późn. zm.), do którego autorskie prawa majątkowe przysługują Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Cytowanie fragmentów tego utworu powinno być w związku z art. 29 ustawy z dnia 4 lutego 1994 r. o prawie autorskim i prawach pokrewnych (Dz. U. z 2021r. poz. 1062 z późn. zm.) opatrzone informacją na temat jego źródła w następującej postaci: [tytuł utworu, AOTMiT, Warszawa, data wydania] i nie powinno prowadzić do wypaczenia znaczenia treści informacji zawartych w utworze.

Korzystanie z utworu w inny sposób niż jego cytowanie, wymaga zgody Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. W przypadku naruszenia prawa autorskiego zastosowanie mają przepisy ustawy z dnia 4 lutego 1994 r. o prawie autorskim i prawach pokrewnych (Dz. U. z 2021 r. poz. 1062 z późn. zm.).

Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
ul. Przeskok 2, 00-032 Warszawa
www.aotm.gov.pl



Spis treści

1. Abstrakt	3
2. Wstęp	4
3. Jakość życia	5
3.1. Jakość życia w ujęciu historycznym.....	5
3.2. Jakość życia w medycynie	5
3.3. Kwestionariusz jako narzędzie badające jakość życia	6
3.4. Użyteczności stanów zdrowia	9
4. QALY jako miara jakości życia	11
4.1. Koncepcja QALY	11
4.2. Zastosowanie QALY w farmakoekonomice.....	12
4.3. Zastosowanie QALY w polityce refundacyjnej w Polsce	13
4.4. Wykorzystanie QALY w wybranych krajach	14
5. Ograniczenia QALY	15
6. Bibliografia	17

1. Abstrakt

Początek zainteresowania jakością życia sięga czasów starożytnych. Od zawsze bowiem najistotniejszym elementem ludzkiego życia było poczucie szczęścia, spełnienie i samozadowolenie. Wzrost znaczenia badań nad jakością życia w XX wieku spowodował konieczność tworzenia podstaw metodologicznych. Zainicjowało to proces tworzenia narzędzi pozwalających na ocenę jakości życia ludzi chorych takich jak np.: kwestionariusze pozwalające na uzyskanie ilościowego wyniku i dające możliwość porównania z badaniami wykonanymi na innych grupach pacjentów. Do najbardziej rozpowszechnionych kwestionariuszy zalicza się: Euro – Quality of Life Questionnaire (EQ-5D), The World Health Organization Quality of Life – BREFF (WHOQOL-BREFF) oraz The Medical Outcomes Study 36-Items Short –Form Health Surve (SF-36). Pomiar jakości życia stał się skutecznym narzędziem oceny wartości różnorodnych procedur medycznych. Do najczęściej stosowanych mierników jakości życia należy wskaźnik QALY (Quality-Adjusted Life Years), wyrażający długość życia skorygowaną o jego jakość. QALY stanowi jeden z istotnych elementów oceny wielu technologii lekowych podlegających ocenie przez Agencję Oceny Technologii Medycznej i Taryfikacji (AOTMiT). Celem pracy było omówienie problematyki związanej z zastosowaniem QALY i dostępnych narzędzi służących do jego pomiaru.

Słowa kluczowe: *jakość życia, QALY, metody kwestionariuszowe, użyteczność, farmakoekonomika*

The beginning of interest in the quality of life dates back to ancient times. The most important element of human life has always been the feeling of happiness, fulfillment and self-satisfaction. The increase in the importance of research on the quality of life in the twentieth century caused the necessity of creating methodological foundations. This initiated the process of creating tools which permit us to assess the quality of life of people who are ill, such as: questionnaires. The questionnaires allow to obtain a quantitative result and provide the opportunity to compare them with studies made in other patient groups. The most popular questionnaires include: Euro - Quality of Life Questionnaire (EQ-5D), The World Health Organization, Quality of Life - BREFF (WHOQOL-BREFF) and The Medical Outcomes Study 36-Items Short - Form Health Survey (SF-36). Measuring the quality of life is an effective tool for assessing the value of a variety of medical procedures. The most frequently used measures of quality of life is QALY (Quality-Adjusted Life Years), which measure length of life adjusted for quality of life. QALY is one of the essential elements of the evaluation of many drug technologies subject to assessment to The Agency for Health Technology Assessment and Tariff System (AOTMiT). The aim of this paper is to discuss the application and the role of QALY and available measurement toolsexamining it.

Keywords: *quality of life, quality-adjusted life year, questionnaire methods, utility, pharmacoeconomics*

2. Wstęp

Rozwój medycyny i związany z nim dostęp do nowoczesnych i skutecznych terapii spowodował, że celem leczenia przestało być wyłącznie wydłużenie życia, ale też poprawa jego jakości. Wzrost znaczenia badań nad jakością życia chorych zainicjował proces tworzenia narzędzi pozwalających na jego ocenę, wśród których preferowanym instrumentem jest kwestionariusz EQ-5D. Dzięki ocenie stanów zdrowia i określeniu ich użyteczności dla pacjentów, możliwe było opracowania narzędzia jakim jest QALY tj. lata życia skorygowane o jakość, umożliwiającego porównanie jakości życia związanej ze stosowaniem różnych technologii medycznych. QALY wykorzystywane jest w farmakoekonomice jako uniwersalny miernik efektów zdrowotnych zastosowanej interwencji i pozwala na określenie kosztu uzyskania dodatkowej jednostki efektu w wyniku zastąpienia technologii opcjonalnej nowym preparatem, dla którego wnioskuje się o refundację. Celem artykułu jest omówienie problematyki związanej z zastosowaniem QALY i dostępnych narzędzi służących do jego pomiaru.

3. Jakość życia

3.1. Jakość życia w ujęciu historycznym

Początek zainteresowania jakością życia sięga czasów starożytnych. Już od czasów tak wielkich myślicieli jak Hipokrates czy Arystoteles, badacze na gruncie filozofii oraz medycyny próbowali dociec co jest podwaliną, szczęśliwego, satysfakcjonującego życia człowieka. Od zawsze bowiem najistotniejszym elementem ludzkiego życia było poczucie szczęścia, spełnienie i samozadowolenie (1).

Rozważania nad istotą jakości życia mają długą historię. Jak wskazują źródła historyczne pojęcie jakości po raz pierwszy zostało użyte przez Platona – greckiego filozofa, który używał słowa „poiotēs”. Zdefiniował on pojęcie jakości jako „sąd wartościujący wyrażany przez osobę oraz pewien stopień doskonałości” (2). Platon uznawał, iż jakość może być rozumiana wyłącznie poprzez doświadczenie wynikające z podejmowanych decyzji i wyborów, stąd jakości nieodzownie towarzyszył rachunek kosztów i korzyści. Ucznia Platona Arystotelesa charakteryzowało nieco inne podejście do aspektu jakości życia. Według Arystotelesa najważniejszym celem miało być dążenie do możliwie najwyższego osiąganego dobra, co miało stanowić gwarancję szczęścia (3). Dla Hipokratesa – ojca medycyny, szczęśliwe życie wyrażać się miało poprzez stan wewnętrznej równowagi. Rozpatrywał on życie w kategorii „życie dobre lub złe; smutne, pełne cierpienia lub radosne; szczęśliwe lub nieszczęśliwe”, można więc stwierdzić, że jako pierwszy wprowadził dodatkowy aspekt wartościowania życia. W średniowieczu filozofowie chrześcijańscy uznawali, iż najważniejszym celem egzystencji człowieka jest poświęcenie, asceza i cierpienie. Nagrodą za trudy życia doczesnego będzie życie wieczne po śmierci. Zdecydowanie szerzej na kwestię jakości życia patrzyli filozofowie XVII wieku, tacy jak René Descartes (Kartezjusz) czy John Locke. Stworzyli oni tzw. dualistyczną koncepcję ujęcia jakości, wskazując na występowanie zarówno jakości pierwotnych tkwiących obiektywnie w przedmiocie oraz jakości wtórnych płynących ze zmysłów (2). Po II Wojnie Światowej pojęcie jakości życia po raz pierwszy pojawiło się w Stanach Zjednoczonych (US) i początkowo było kojarzone z środowiskowymi cechami jakości życia jednostki (4). Współcześnie postępujące zainteresowanie „jakością życia” przypada na lata pięćdziesiąte ubiegłego stulecia. Stało się ono obiektem zainteresowań przedstawicieli różnych dziedzin, zarówno psychologów, filozofów i lekarzy, ale także ekonomistów i socjologów. Początkowo miało ono wymiar ekonomiczny i znajdowało zastosowanie głównie w badaniach poziomu zaspokojenia jednostkowych oraz ponadjednostkowych potrzeb. Jednak z czasem pojawiły się inne aspekty np.: socjologiczne, psychologiczne i medyczne (3, 4).

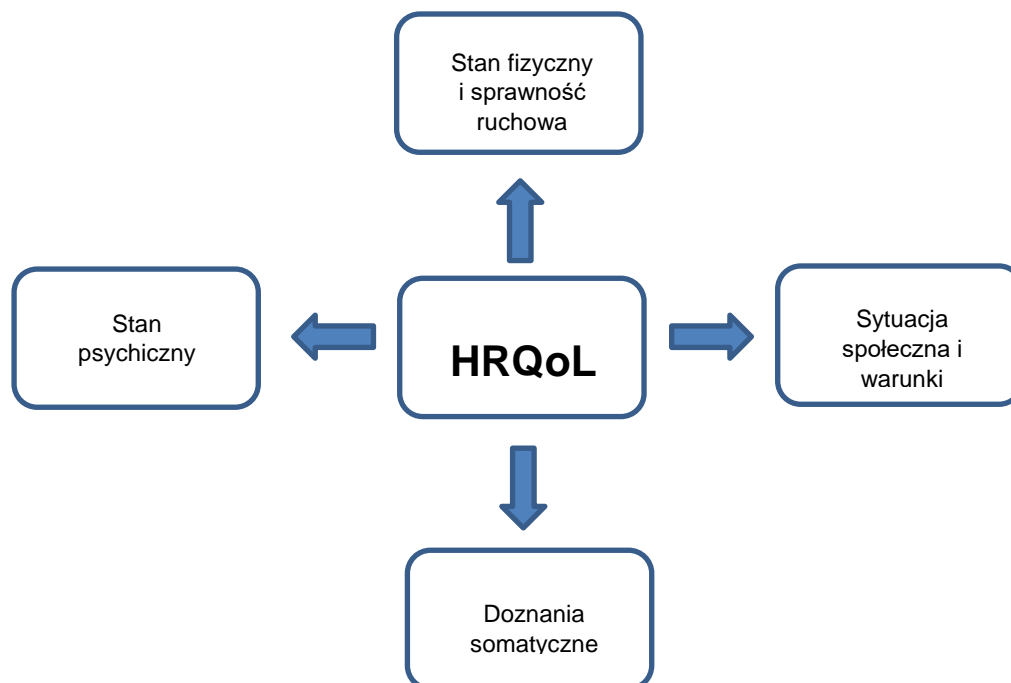
3.2. Jakość życia w medycynie

Jakość życia człowieka to niebywale istotny problem, który w ostatnim czasie znalazł się w kręgu zainteresowań wielu dziedzin, w tym medycyny. Już od zamierzchłych czasów rozwojowi medycyny towarzyszy swoisty paradoks. Postęp medycyny i wdrażanie nowoczesnych technologii spowodował wydłużenie długości życia, jednakże nie zawsze poprawę jego jakości, a w specyficznych przypadkach nawet jej spadek. Z jednej strony dostęp do nowoczesnych i skutecznych metod leczenia spowodował spadek śmiertelności i wydłużył życie osób chorujących, ale jednocześnie spowodował także wzrost liczby pacjentów z chorobami przewlekłymi. Pojawił się zatem dylemat czy głównym celem medycyny jest utrzymanie pacjenta jak najdłużej przy życiu przy zastosowaniu najskuteczniejszych technologii medycznych, czy oprócz ratowania życia ważna jest także jego jakość pozwalająca pacjentowi godnie przeżyć uzyskane lata (5).

Współczesne pojęcie jakości życia (*Quality of life*, QoL) zostało zdefiniowane w latach 70. XX wieku przez Campbella. Dowiódł on, przeprowadzając badania ankietowe w populacji dorosłych Amerykanów, iż istnieje związek pomiędzy obiektywnymi warunkami życia, a zadowoleniem z życia. Wykazał, że zadowolenie nie musi wzrastać wraz z poprawą warunków życia, bo na odczuwanie zadowolenia wpływają także doświadczenia życiowe. Jednakże podwaliny badań nad jakością życia w medycynie stworzył R.M. Rosser publikując pierwszą metodę pomiaru jakości życia chorych. Opracowana przez badacza metoda miała znaczący wpływ na ukształtowanie się dalszych prac badawczych nad jakością życia w medycynie, a jednocześnie wyraźnie wskazywała, iż sposób leczenia osób chorych ma wpływ na ich jakość życia (6). Na przestrzeni ostatnich dekad powstało wiele definicji jakości życia, które w głównej mierze koncentrują się na zjawiskach zdrowia i choroby.

Jedną z prób zdefiniowania jakości życia uwarunkowanej stanem zdrowia (*Health Related Quality of Life* – HRQoL) podjął się H. Schipper w 1990r. Zostało ono zdefiniowane jako „funkcjonalny efekt fizycznej, psychicznej i społecznej odpowiedzi na chorobę i leczenie, odbierany subiektywnie przez pacjenta, oraz ocenę własnego położenia życiowego chorego dokonaną w okresie leczenia”. Definicja HRQoL za najważniejsze aspekty funkcjonowania osoby chorej uznaje: stan fizyczny i sprawność ruchową, stan psychiczny, sytuację społeczną, warunki ekonomiczne oraz doznania somatyczne. Zastosowanie HRQoL pozwoliło spojrzeć szerzej na problemy osób chorych zarówno w aspekcie medycznym (efektywność stosowanych leków), jak i pozamedycznym (funkcjonowanie w rodzinie czy społeczeństwie). Poza tym dzięki implementacji jakości życia uwarunkowanej stanem zdrowia możliwe stało się pozyskanie danych pozwalających ocenić ogólny poziom subiektywnego

zadowolenia osoby chorej ze stanu zdrowia. Wysoka wartość wskaźnika HRQoL wskazuje, że badana osoba pomimo choroby postrzega siebie jako dobrze funkcjonującą, natomiast niska wartość HRQoL jest wykładnikiem odczuwanych ograniczeń (1).



Rysunek 1. HRQoL według Schipperera

Źródło: Radecka (1)

3.3. Kwestionariusz jako narzędzie badające jakość życia

W latach 70-tych XX wieku termin jakości życia został wprowadzony do medycyny i od tego czasu jego znaczenie nieprzerwanie rośnie. Wzrost znaczenia badań nad jakością życia spowodował konieczność tworzenia podstaw metodologicznych. Zainicjowało to proces tworzenia narzędzi pozwalających na ocenę jakości życia ludzi chorych. Obecnie jakość życia jest oceniana na podstawie:

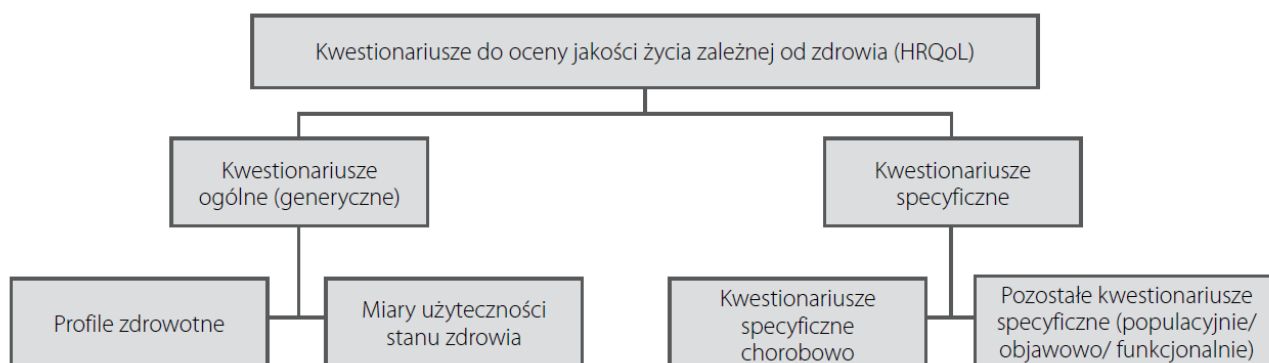
- bezpośredniego wywiadu z pacjentem (standaryzowanego lub nie),
- testów psychometrycznych (stosowanych głównie w psychologii),
- pośrednich miar np. liczba osób rezygnujących z terapii,
- wystandaryzowanych kwestionariuszy.

Ze względu na możliwość uzyskania ilościowego wyniku, który można porównać z wynikami badań przeprowadzonymi na innych kohortach pacjentów, kwestionariusze są najczęściej wykorzystywanymi narzędziami stosowanymi w celu pomiaru poziomu jakości życia (7).

Wśród kwestionariuszy można wyróżnić: ogólne (generyczne) i szczegółowe (specyficzne). Narzędzia generyczne opisują ogólną jakość życia i służą do oceny stanu zdrowia lub użyteczności stanu zdrowia. Miary użyteczności określają inklinację chorych wobec określonego stanu zdrowia (ta sama choroba w różnorodny sposób oddziałuje na życie człowieka). Wyniki miar użyteczności stanu zdrowia prezentowane są jako pojedyncze cyfry (czyli cyfry od 0 do 1, które wskazują, jak pacjent ceni dany stan zdrowia). Natomiast wyniki profili zdrowotnych przedstawiane są za pomocą opisu stanu zdrowia poprzez ocenę poszczególnych domen kwestionariusza (8, 9).

Kwestionariusze umożliwiają ocenę jakości życia u każdego pacjenta. Obejmują obszerny zakres zagadnień związanych z QoL, dlatego też są wykorzystywane do badań w dużych i heterogenicznych populacjach osób zdrowych i chorych.

Kwestionariusze ogólne cechują się niewielką czułością pomiarów, z tego względu mogą nie wykryć subtelnych elementów obniżenia poziomu jakości życia, mających znaczenie kliniczne oraz duże znaczenie z punktu widzenia pacjenta (10). W przeciwieństwie do kwestionariuszy ogólnych, szczegółowe kwestionariusze są stosowane tylko u wyselekcjonowanych, ściśle określonych grup chorych. Obejmują one jedynie niektóre aspekty QoL, jednakże są zarazem bardziej czułe na zmiany stanu zdrowia. Odnoszą się one do wąskich grup pacjentów i badają tylko wybrane aspekty mające szczególnie ważne znaczenie w populacji chorych na daną chorobę. Z tego względu stosowane są do oceny HRQoL pacjentów z określonym schorzeniem, np.: chorych na astmę. Wyników uzyskanych ze specyficznych kwestionariuszy nie da się porównywać między różnymi populacjami. Wybór odpowiedniego kwestionariusza powinien być uzależniony od celu badania (10, 11). W dalszej części pracy przedstawione zostaną najczęściej stosowane kwestionariusze ogólne, wykorzystywane w celu pomiaru poziomu jakości życia.



Rysunek 2. Systematyka instrumentów wykorzystywanych do pomiaru jakości życia zależnej od zdrowia

Źródło: Golicki (9)

Rok 1991 stał się przełomowym w metodologii badań nad jakością. W tym to roku Światowa Organizacja Zdrowia (WHO) opracowała dwa uniwersalne narzędzia oceny jakości życia: The World Health Organization Quality of Life (WHOQOL-100) i jego skróconą wersję The World Health Organization Quality of Life - BREFF (WHOQOL-BREF). Kwestionariusz WHOQOL-100 służy do analizy 6 dziedzin jakości życia (dziedziny fizycznej, psychologiczne aspekty funkcjonowania, poziom niezależności, funkcjonowanie i relacje społeczne, sprzyjające środowisko, aspekty duchowości/religijne). Składa się ze 100 pytań dotyczących pozytywnych, jak i negatywnych aspektów jakości życia umożliwiając ocenę sytuacji życiowej pacjenta, będącej konsekwencją choroby i stosowanej terapii. Często stosowana jest także skrócona skala WHOQOL, wersja BREF, zawierająca 26 pytań dotyczących 4 podstawowych domen życia (dziedzina fizyczna, psychologiczna, relacje społeczne, środowisko). Punktacja pytań zawiera się w przedziale od 1 do 5 i ma kierunek pozytywny. Im większa liczba punktów, tym lepsza jakość życia, w badanej domenie (11, 12, 13).

Kolejnym często stosowanym kwestionariuszem jest SF-36. Jest on narzędziem pomiaru jakości życia stosowanym u osób powyżej 18 roku życia, zdrowych oraz z różnymi schorzeniami. Obecnie częściej jest stosowana druga wersja (v2) kwestionariusza, która została utworzona w 1998 roku na podstawie SF-36v1. SF-36v2 składa się z 36 pytań w 11 kategoriach, które pozwalają wyróżnić 8 aspektów jakości życia, takich jak: funkcjonowanie fizyczne, odczuwanie bólu, witalność, funkcjonowanie społeczne, stan emocjonalny oraz psychiczny. Kategorie zgrupowane są w dwie skale: fizyczną (*Physical Component Summary*, PCS) i psychiczną (*Mental Component Summary*, MCS). Sposób odpowiedzi na poszczególne pytania jest różnorodny począwszy od odpowiedzi typu dychotomicznego czyli tak bądź nie, po 3-, 5- i 6- stopniową skalę Likerta. Uzyskany wynik po zsumowaniu punktów ze wszystkich 8 kategorii znajduje się w przedziale od 0 do 100 punktów, gdzie wyższa punktacja oznacza lepszą jakość życia (11). Kwestionariusz SF-36 jest jednym z najczęściej stosowanych metod do oceny ogólnej QoL pacjentów, a także do oceny QoL w specyficznych populacjach pacjentów. SF-36 przetłumaczono na wiele języków (między innymi na język polski udostępniany przez Medical Outcomes Trust and Quality Matric Incorporated). Ponadto kwestionariusz posiada normy dla populacji osób zdrowych oraz z określonymi chorobami przewlekłymi.

Zgodnie z wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT), preferowanym instrumentem pomiaru jakości życia u dorosłych jest Euro – Quality of Life Questionnaire (EQ-5D, wersja EQ-5D-3L lub EQ-5D-5L), gdyż jego powszechność wykorzystania zapewnia największą porównywalność wyników. EQ-5D jest kwestionariuszem ogólnym stosowanym u osób powyżej 12. roku życia. Składa się z dwóch części. Pierwsza część ocenia stan zdrowia uwzględniając 5 kategorii: sprawność fizyczną, samoopiekę, codzienną aktywność, ból i dyskomfort, przygnębienie i depresję. Na każde pytanie pacjent może udzielić jednej z 5 (w wersji EQ-5D-5L) możliwych odpowiedzi: brak problemów, niewielkie problemy umiarkowane problemy, poważne problemy niemożność wykonywania danych czynności. Druga część kwestionariusza EQ-5D - nazwana EQ-VAS, zawiera wizualną skalę analogową (*Visual Analogue Scale*, VAS), za pomocą której respondent może ocenić swój obecny stan zdrowia w skali od 0 (najgorszy wyobrażalny stan zdrowia)

QALY jako miara jakości życia

do 100 (najlepszy wyobrażalny stan zdrowia) (10, 14, 15). Dane uzyskane przy pomocy kwestionariusza EQ-5D umożliwiają porównanie stanów zdrowia pacjentów cierpiących na daną jednostkę chorobową z oceną jakości życia całej populacji. Pozwala to na obiektywne spojrzenie na stan zdrowia chorego pod względem klinicznym i ekonomicznym (16).

Pod każdym nagłówkiem proszę zaznaczyć JEDEN kwadrat, aby wybrać stwierdzenie najlepiej określające Pana/Pani zdrowie DZISIAJ.

PORUSZANIE SIĘ

- Nie mam żadnych problemów z chodzeniem
- Mam niewielkie problemy z chodzeniem
- Mam umiarkowane problemy z chodzeniem
- Mam poważne problemy z chodzeniem
- Nie jestem w stanie chodzić

SAMOOBSŁUGA

- Nie mam żadnych problemów z myciem i ubieraniem się
- Mam niewielkie problemy z myciem i ubieraniem się
- Mam umiarkowane problemy z myciem i ubieraniem się
- Mam poważne problemy z myciem i ubieraniem się
- Nie mogę sama się umyć ani ubrać

ZWYKŁE CZYNNOŚCI (np. praca, nauka, zajęcia domowe, aktywności rodzinne, zajęcia w czasie wolnym)

- Nie mam żadnych problemów z wykonywaniem moich zwykłych czynności
- Mam niewielkie problemy z wykonywaniem moich zwykłych czynności
- Mam umiarkowane problemy z wykonywaniem moich zwykłych czynności
- Mam poważne problemy z wykonywaniem moich zwykłych czynności
- Nie jestem w stanie wykonywać moich zwykłych czynności

BÓL / DYSKOMFORT

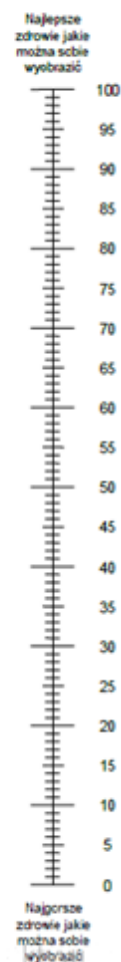
- Nie odczuwam żadnego bólu ani dyskomfortu
- Odczuwam niewielki ból lub dyskomfort
- Odczuwam umiarkowany ból lub dyskomfort
- Odczuwam silny ból lub dyskomfort
- Odczuwam krańcowy ból lub dyskomfort

NIEPOKÓJ / PRZYGNĘBIENIE

- Nie jestem niespokojny/a ani przygnębiony/a
- Jestem trochę niespokojny/a lub przygnębiony/a
- Jestem umiarkowanie niespokojny/a lub przygnębiony/a
- Jestem bardzo niespokojny/a lub przygnębiony/a
- Jestem krańcowo niespokojny/a lub przygnębiony/a

- Chcielibyśmy wiedzieć jak dobre lub jak złe jest Pana/Pani zdrowie DZISIAJ.
- Ta skala jest ponumerowana od 0 do 100.
- 100 oznacza najlepsze zdrowie jakie można sobie wyobrazić. 0 oznacza najgorsze zdrowie jakie można sobie wyobrazić.
- Proszę zaznaczyć krzyżykiem (X) miejsce na skali, które pokazuje jakie jest Pana/Pani zdrowie DZISIAJ.
- Teraz liczbę, którą zaznaczyła Pani na skali proszę wpisać w okienko poniżej.

PANA/PANI ZDROWIE DZISIAJ =



Rysunek 3. Polska wersja kwestionariusz EQ-5D-5L

Źródło: <https://euroqol.org/eq-5d-instruments/eq-5d-5l-about/>

Wyniki kwestionariusza EQ-5D należy przedstawić osobno dla każdego z 5 poziomów oceny poszczególnych domen. Przykładowy wynik będzie wyglądać następująco: 13143, co oznacza, że w pierwszym pytaniu pacjent zaznaczył odpowiedź 1 („nie mam żadnych problemów z chodzeniem”), w drugim – odpowiedź trzecią („mam umiarkowane problemy z myciem i ubieraniem”) itd. W ten sposób stan zdrowia opisywany jest przy pomocy 5-cyfrowej liczby: cyfra kolejno dla każdej z domen. Wynik wizualnej skali analogowej zawiera się w zakresie od 0 do 100 punktów (co stanowi subiektywną miarę zdrowia respondenta).

Tabela 1. Najczęściej stosowane ogólne kwestionariusze oceny jakości życia

Nazwa kwestionariusza	Skrót	Strona internetowa
The World Health Organization Quality of Life - BREFF	WHOQOL-BREFF	http://www.who.int/mental_health/publications/whoqol/en/ http://depts.washington.edu/seaqol/WHOQOL-BREF
Euro-Quality of Life Questionnaire	EQ-5D	https://euroqol.org/

		http://www.med.umich.edu/pdf/weight-management/EQ-5D-HealthQ.pdf
The Medical Outcomes Study 36-Items Short – Form Health Survey	SF-36	https://clinmedjournals.org/articles/jmdt/jmdt-2-023-figure-1.pdf http://campaign.optum.com/content/optum/en/optum-outcomes/what-we-do/health-surveys.html

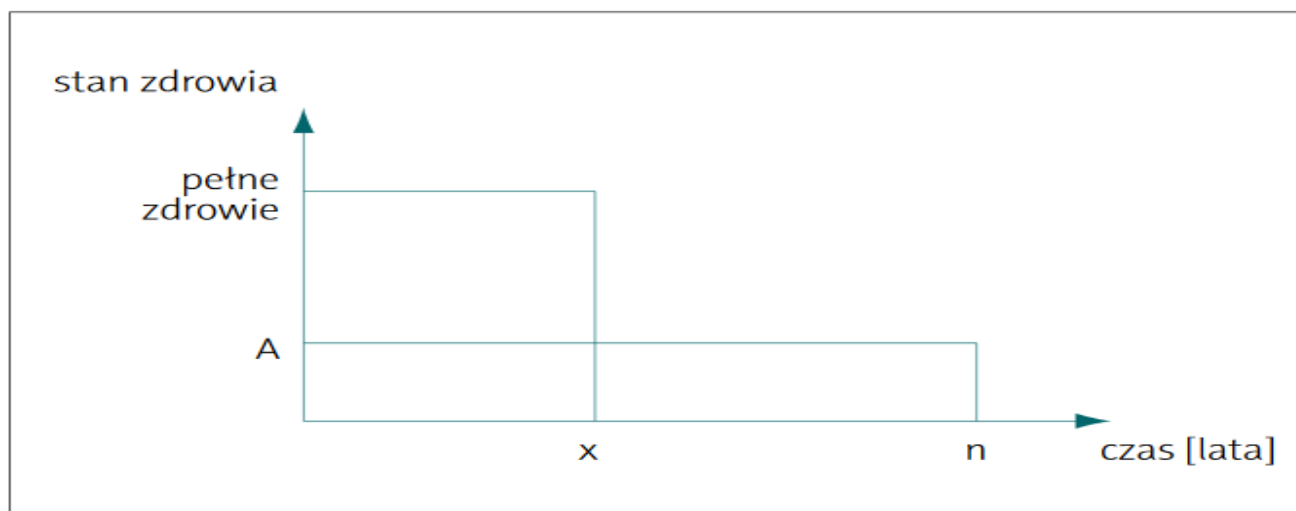
Źródło: Na podstawie Cieślik (14)

3.4. Użyteczności stanów zdrowia

Kluczowym parametrem w metodologii szacowania jakości życia jest oszacowanie użyteczności (*utility*) stanów zdrowia. Jest to liczbowe (w skali od 0 do 1) wyrażenie preferencji danej osoby, czyli skłonności do wyboru określonego stanu zdrowia w warunkach niepewności (co stanowi zobiektywizowaną miarę zdrowia respondenta). Wartości użyteczności stanów zdrowia wykorzystywane są jako wagi jakościowe w trakcie obliczania liczby lat życia skorygowanych o jakość, którego koncepcja zostanie szerzej opisana w kolejnym rozdziale (9, 17).

Zgodnie z wytycznymi AOTMiT, zmiana jakości życia powinna być raportowana bezpośrednio przez pacjentów wypełniających kwestionariusz (jak wspomniano wcześniej, preferowany jest kwestionariusz EQ-5D), natomiast użyteczność przypisana tej zmianie powinna pochodzić z zestawu wartości użyteczności (*value set, tariff*) uzyskanego poprzez pomiar preferencji różnych stanów zdrowia z wykorzystaniem jednej z metod opartych na wyborze (15). Wśród tych metod wymienić można m.in. takie jak: metoda handlowania czasem (*time trade-off, TTO*) i metoda loterii (*standard gamble, SG*). W obu metodach ankietowane osoby (chorzy, lekarze lub próba z populacji ogólnej) określają swoje preferencje względem rozpatrywanych i alternatywnych, referencyjnych stanów zdrowia (17).

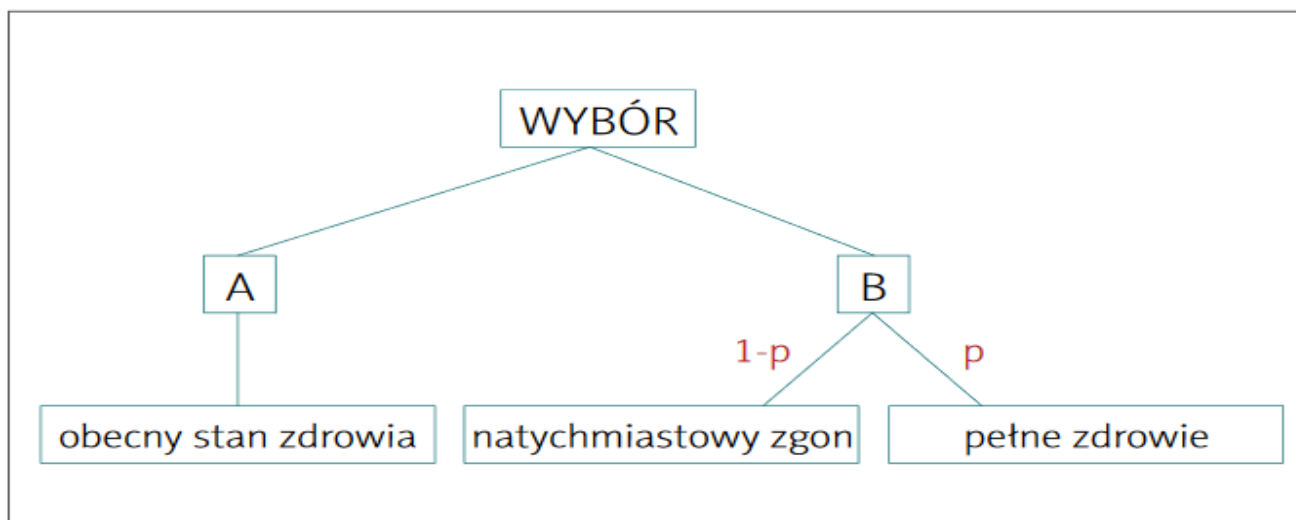
Metoda handlowania czasem polega na przedstawieniu respondentowi dwóch alternatyw. Jedną z nich jest pozostanie w obecnym stanie zdrowia do końca swojego życia, natomiast drugą alternatywą jest pozostanie przez x lat w stanie pełnego zdrowia, po których następuje natychmiastowy zgon. Respondent w kwestionariuszu zaznacza na osi o skali wiek, do którego jest gotów skrócić swoje życie w celu uzyskania pełni zdrowia (10, 17).



Rysunek 4. Schemat metody handlowania czasem

Źródło: Turska (7)

Metoda loterii również zakłada dwie alternatywy. Respondent ma do wyboru opcję uzyskanie stanu pełnego zdrowia z prawdopodobieństwem p i utrzymanie go do końca życia lub natychmiastowy zgon z prawdopodobieństwem $1-p$. Zadaniem respondenta jest ocena, jak duże powinno być prawdopodobieństwo sukcesu terapii, by zdecydował się on na jej wybór (10, 17).



Rysunek 5. Schemat metody loterii

Źródło: Turska (7).

Preferowanym przez AOTMiT podejściem w pozyskiwaniu zestawów użyteczności jest oparcie się na źródłach wtórnych i wartościach użyteczności stanów zdrowia uzyskanych metodami pośrednimi, do których należy omawiany kwestionariusz EQ-5D. Wybór strategii opartej na źródłach wtórnych związany jest z koniecznością przeprowadzenia systematycznego przeglądu literatury, obejmującego zdefiniowanie kryteriów włączenia i wyłączenia publikacji oraz przeszukanie przynajmniej jednej bazy informacji medycznej spośród MEDLINE i EMBASE.

Za źródła danych o wartościach użyteczności mogą służyć:

- publikacje dotyczące wyników pierwotnych badań użyteczności,
- niepublikowane dane, najczęściej pochodzące z badania klinicznego ocenianej technologii medycznej,
- przeglądy systematyczne wartości użyteczności stanów zdrowia.

W 2010 roku opublikowano polski zestaw wartości użyteczności dla różnych stanów zdrowia, ocenianych według kwestionariusza EQ -5D – 3L metodą TTO dla populacji ogólnej (18).

Podsumowując, badania nad jakością życia dostarczają niezbędnych danych na temat sytuacji chorego pozwalających na wdrożenie odpowiedniego procesu terapeutycznego, pozwalają rozpoznać istotne z punktu widzenia pacjenta problemy i pomagają podjąć działania ukierunkowane na ich rozwiązanie. Obecnie uważa się, że ocena jakości życia wprowadza nieodzowny element humanistyczny do opieki zdrowotnej, która w głównej mierze jest nakierowana na leczenie choroby bądź jej objawów.

4. QALY jako miara jakości życia

4.1. Koncepcja QALY

Rozwój medycyny i związany z tym rozwój wydatków na leczenie narodził potrzebę odpowiedzi na pytanie, czy zastosowane formy terapii i przeznaczone na to środki korelują z efektami, zadowoleniem pacjenta i poziomem jakości jego życia. Konieczne w tym celu okazało się opracowanie narzędzi, umożliwiających nie tylko pomiar jakości życia, ale także porównywanie różnych procedur medycznych.

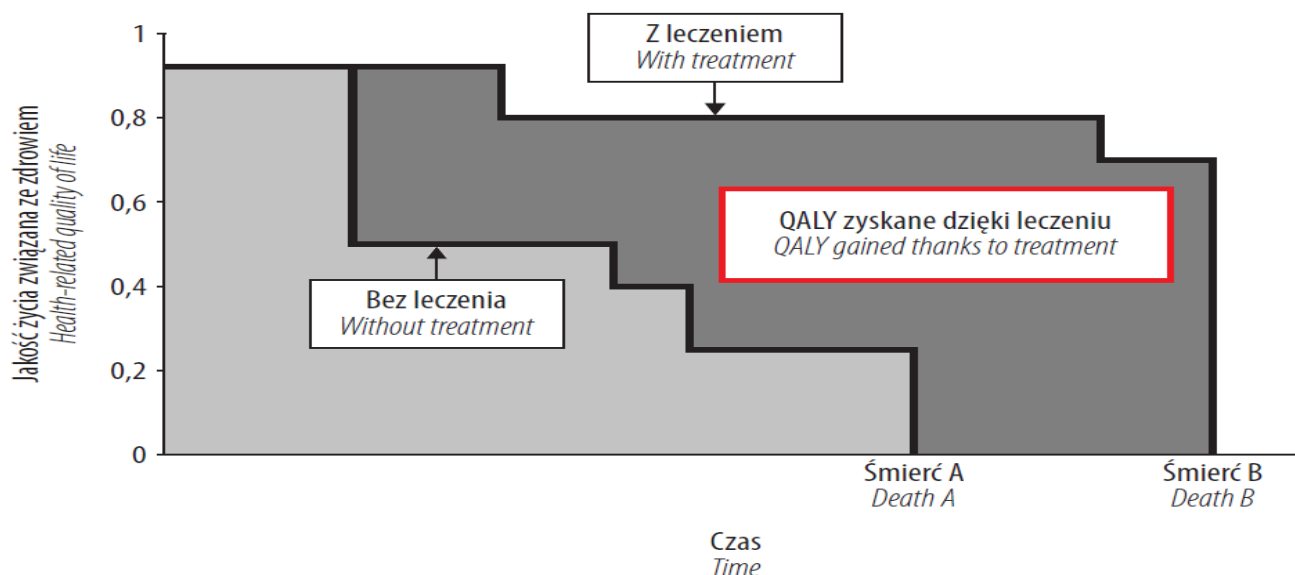
Porównanie różnych metod leczenia w różnych grupach chorych jest elementem oceny ekonomicznej wyrażającym korzyści z interwencji medycznej. Wykorzystuje się w tym celu narzędzie jakim jest QALY. Jest to wskaźnik opisujący lata życia uzyskane dzięki interwencji medycznej w odniesieniu do jakości tego życia (8).

Koncepcja QALY opiera się na założeniu, że liczba lat przeżytych w pełnym zdrowiu ma dla człowieka większą wartość niż taka sama liczba lat przeżytych w niepełnym zdrowiu, a 1 QALY oznacza 1 rok w pełnym zdrowiu. Wskaźnik QALY okazuje się szczególnie ważny w leczeniu chorób przewlekłych, opiece paliatywnej i przypadkach długotrwałych negatywnych konsekwencji choroby. Innymi słowy, QALY stanowi uniwersalną jednostkę pomiaru wyników interwencji zdrowotnych, którą można zastosować w odniesieniu do wszystkich osób i we wszystkich jednostkach chorobowych (19).

Idea QALY została opracowana w 1968 r. przez Herberta Klarmana w pracy badawczej dotyczącej przewlekłej choroby nerek. Autor pracy zwrócił uwagę na różnicę w jakości życia u pacjentów dializowanych i po przeszczepie nerki i obliczył koszt uzyskania jednego roku życia uwzględnieniem jego jakości po zastosowaniu różnych metod leczenia. Początkowo koncepcję QALY definiowano jako „lata funkcyjne”, natomiast wykorzystywany do dziś w farmakoekonomice termin *quality-adjusted life years* użyto po raz pierwszy w pracy opublikowanej w 1977 r. przez Weinstein i Stasona (20).

W celu obliczenia współczynnika QALYs potrzebne jest wyznaczenie 2 zmiennych: opisywanej w poprzednim rozdziale wartości użyteczności dla aktualnego stanu zdrowia pacjenta w przedziale od 0 (śmierć) do 1 (pełne zdrowie) oraz oczekiwanej długości życia pacjenta po zastosowaniu danej interwencji medycznej. Lata życia skorygowane o jakość oblicza się poprzez pomnożenie obu współczynników (17, 21). Przykładowo, jeśli oszacowana użyteczność obecnego stanu zdrowia pacjenta wynosi 0,3, to wydłużenie życia chorego o 6 lat daje zysk 1,8 QALY ($6 \times 0,3$).

Koncepcję QALY zaprezentowano graficznie na rysunku poniżej. Krzywa nad jaśniejszym polem odpowiada jakości życia chorego niestosującego ocenianej terapii, natomiast krzywa nad ciemniejszym polem odpowiada jakości życia u pacjentów, którzy ją stosują. Pole pomiędzy krzywymi obrazuje uzyskane dodatkowo lata życia skorygowane o jakość (21).



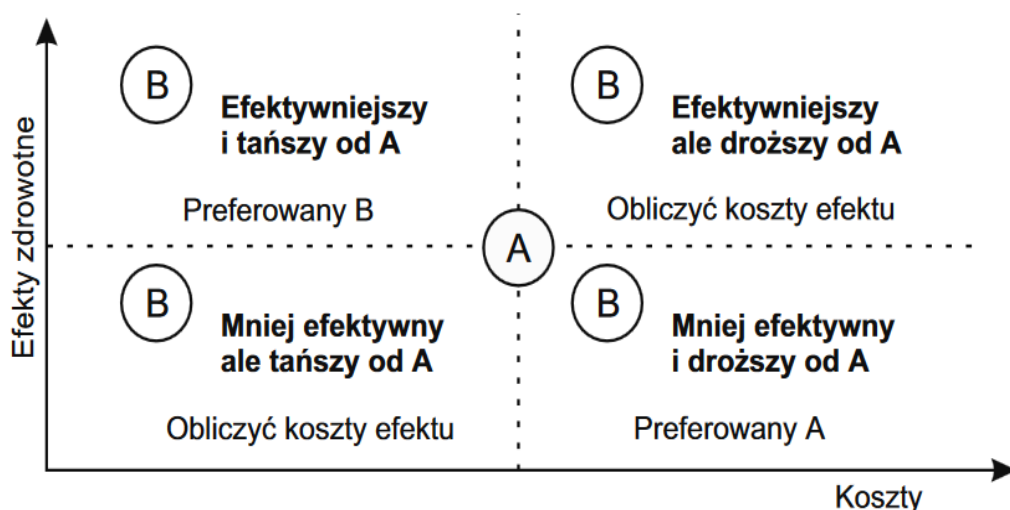
Rysunek. 6. Koncepcja QALY - uzyskane dodatkowo lata życia skorygowane o jakość

Źródło: Radecka (1)

4.2. Zastosowanie QALY w farmakoekonomice

Głównym celem oceny efektów zdrowotnych za pomocą QALY jest ułatwienie podejmowania decyzji refundacyjnych przez płatnika publicznego, który z powodu ograniczonych środków finansowych musi dokonywać wyboru pomiędzy alternatywnymi technologiami medycznymi (21). Każda lekowa technologia medyczna, której koszty mają być refundowane z funduszy publicznych, podlega ocenie farmakoekonomicznej. Wybór techniki analitycznej analizy ekonomicznej uzależniony jest od wyników skuteczności klinicznej porównywanych procedur medycznych. W przypadku wykazania istotnych statystycznie różnic w ocenianych punktach końcowych pomiędzy porównywanymi terapiami, jako preferowaną technikę analizy ekonomicznej należy wskazać analizę kosztów-użyteczności (*cost utility analysis*, CUA), w której wyniki wyrażone są w jednostkach QALY, które stanowią uniwersalny miernik efektów zdrowotnych zastosowanej interwencji, umożliwiając porównanie jakości życia związanej ze stosowaniem różnych technologii medycznych (22). Analiza CUA pozwala odpowiedzieć na pytanie: jaki wpływ ma zastosowanie danej interwencji na jakość życia pacjenta? Innymi słowy, analiza kosztów-użyteczności podkreśla, że leczenie powinno nie tylko przedłużać życie pacjenta, ale też poprawiać jego jakość.

Jednakże w centrum zainteresowania farmakoekonomiki jest nie tylko porównanie miary efektów zdrowotnych czyli wartości roku życia skorygowanego o jakość ale też kosztu jego uzyskania, a dokładniej kosztu uzyskania dodatkowej jednostki efektu w wyniku zastąpienia technologii opcjonalnej nowym preparatem, dla którego wnioskuje się o refundację. W celu zidentyfikowania efektywnych kosztowo technologii, czyli takich, których stosowanie będzie wiązać się z najlepszymi efektami zdrowotnymi i jednocześnie możliwie najniższymi kosztami, niezbędne jest przeanalizowanie relacji, które mogą wystąpić pomiędzy kosztami, a efektami klinicznymi porównywanych technologii (20). Rysunek poniżej przedstawia możliwe warianty takich relacji pomiędzy interwencją (B) w odniesieniu do technologii opcjonalnej (A).



Rysunek 7. Relacje pomiędzy kosztami a efektami zdrowotnymi w analizie ekonomicznej

Źródło: Niżankowski (21)

Jak widać na zaprezentowanej grafice, farmakoekonomika wyróżnia 4 rodzaje relacji pomiędzy kosztami, a efektami zdrowotnymi porównywanych programów:

1. Interwencja B jest tańsza i skuteczniejsza niż technologia opcjonalna A.
2. Interwencja B jest droższa ale skuteczniejsza niż technologia opcjonalna A.
3. Interwencja B jest droższa i mniej skuteczna niż technologia opcjonalna A.
4. Interwencja B jest tańsza i mniej skuteczna niż technologia opcjonalna A.

W przypadku, gdy analiza ekonomiczna wykazuje, że oceniana interwencja kosztuje mniej i daje lepszy efekt kliniczny (wariant 1), uznaje się ją za technologię dominującą. Stanowi to podstawę do wydania pozytywnej decyzji refundacyjnej. Sytuacja przedstawiona w wariacie 3, w którym to technologia alternatywna (komparator) okazuje się terapią tańszą i skuteczniejszą, aniżeli technologia oceniana, jest poważną przesłanką do odrzucenia refundacji wnioskowanej technologii. W pozostałych wariantach czyli sytuacjach, w których interwencja charakteryzuje się wyższym kosztem i większą skutecznością lub mniejszym kosztem i mniejszą skutecznością, do podjęcia decyzji refundacyjnych wymagane jest przeprowadzenia analizy inkrementalnej. W przypadku oceny technologii, która znajduje się 4 wariacie, należy dodatkowo rozważyć etyczny aspekt refundacji preparatu o mniejszej skuteczności.

QALY jako miara jakości życia

Finalnym wynikiem obliczeń modelu ekonomicznego jest **inkrementalny współczynnik kosztów-użyteczności** (*Incremental Cost-Utility Ratio*, ICUR), który wyraża koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość w sytuacji realizacji nowego programu zdrowotnego. ICUR oblicza się jako iloraz różnicy kosztów i efektów porównywanych programów zdrowotnych:

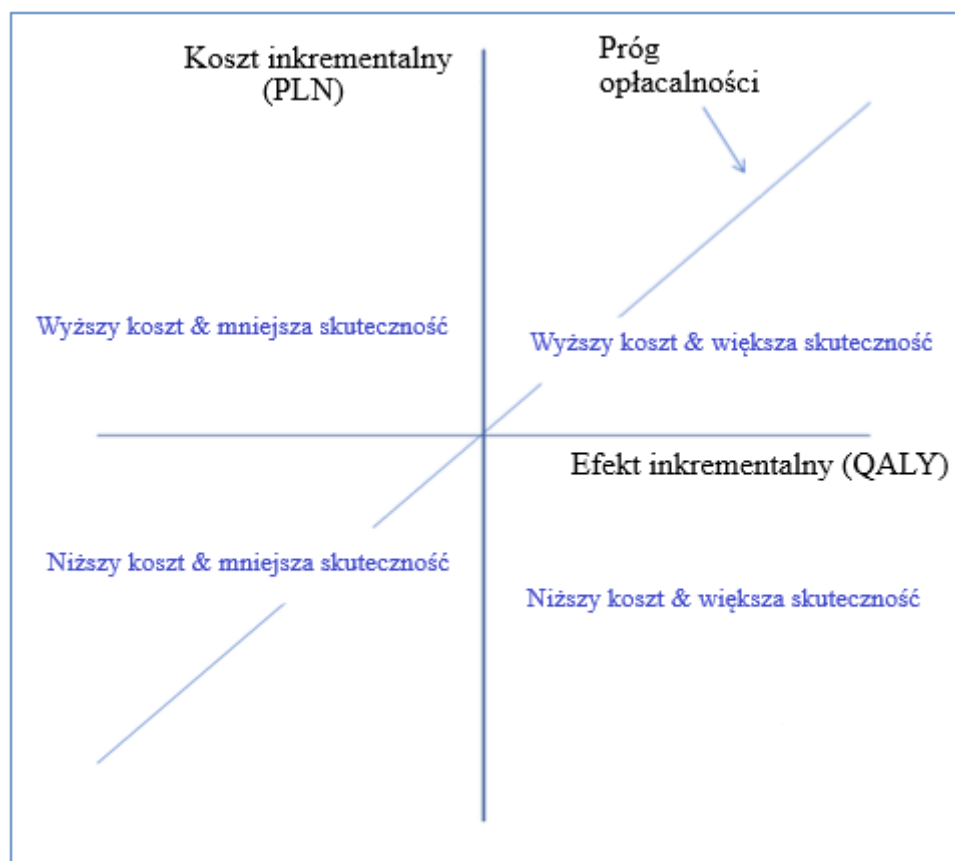
$$ICUR = \frac{Koszt'' B'' - Koszt'' A''}{Efekty'' B'' - Efekty'' A''}$$

Wynik analizy inkrementalnej informuje więc płatnika publicznego ile kosztować będzie dodatkowa jednostka efektu zdrowotnego w przypadku zastąpienia technologii alternatywnej przez interwencję.

4.3. Zastosowanie QALY w polityce refundacyjnej w Polsce

Przeprowadzenie analizy inkrementalnej pozwala uzyskać informację o kosztach uzyskania dodatkowych QALY w przypadku zastąpienia jednej technologii medycznej inną. Natomiast nie daje odpowiedzi na pytanie: czy nas na to stać?

Żaden system ochrony zdrowia nie dysponuje nieograniczonymi zasobami umożliwiającymi dostęp do dowolnej technologii medycznej każdemu choremu. Z tego powodu konieczny staje się wybór tych terapii, które są bardziej efektywne. To, czy dana technologia medyczna zostanie uznana za efektywną uzależnione jest od wysokości progu opłacalności wyznaczonego w danym kraju (17, 21). Próg opłacalności pozwala określić ile dany system ochrony zdrowia jest w stanie zapłacić (*willingness to pay*, WTP) za uzyskanie 1 dodatkowej jednostki zdrowotnej (w tym przypadku QALY) – jest to monetarna granica uzyskania dodatkowego QALY (23).



Rysunek. 8. Próg opłacalności

Źródło: opracowanie własne na podstawie Mattingly (23)

W Polsce, w ramach obowiązującej ustawy o refundacji, wyznaczono sztywny, jednakowy dla wszystkich chorób i procedur, próg opłacalności. Jego wysokość, zgodnie z WHO, ustalono w wysokości trzykrotności Produktu Krajowego Brutto (PKB) na jednego mieszkańca (23, 25, 26). Na podstawie tych przepisów oraz najnowszego obwieszczenia Prezesa Głównego Urzędu Statystycznego odnoszącego się do szacunków wartości PKB na jednego mieszkańca liczonej jako średnia z wartości

z 3 lat, sprzed 2 lat (aktualnie z lat 2014-2016), Prezes AOTMiT wydaje komunikat o wysokości progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość. Aktualna wysokość progu opłacalności w Polsce wynosi 139 953 zł/QALY (3 x 46 651 zł) (27).

Podsumowując, oceniana technologia medyczna może zostać uznana za efektywną kosztowo jedynie wówczas, gdy oszacowany dla niej inkrementalny współczynnik kosztów-użyteczności (ICUR) nie przekracza wysokości przewidzianego progu opłacalności. W przypadku, gdy ICUR dla danej technologii medycznej będzie przewyższał wysokość progu, bardziej opłacalne będzie finansowanie ze środków publicznych standardowego, dotychczas refundowanego leczenia, z jakim nowa terapia była porównywana (21).

4.4. Wykorzystanie QALY w wybranych krajach

W Polsce firmy ubiegające się o włączenie danego preparatu na listę leków refundowanych zobowiązane są do przedstawienia wniosku refundacyjnego, zawierającego m.in. analizę ekonomiczną. Zgodnie z polskimi wytycznymi, analiza ekonomiczna standardowo powinna się składać z analizy kosztów-użyteczności (CUA) lub analizy kosztów-efektywności, przy czym rekomendowane jest wykonanie obu analiz jednocześnie. A zatem, w przedkładanych w Polsce analizach standardowo szacuje się również QALY (17, 28).

W Wielkiej Brytanii wszystkie agencje oceny technologii medycznych (NICE, SMC i AWMSG) przygotowując rekomendacje dotyczące refundowania technologii medycznych uwzględniają ich efektywność kosztową wobec ustalonego progu opłacalności. Efektywność kosztową szacuje się w oparciu o wskaźnik ICUR wyrażający dodatkowy koszt poniesiony na uzyskanie 1 QALY. Ponadto, każda z brytyjskich agencji zdefiniowała sytuacje, w których jest możliwe i akceptowalne przekroczenie wskazanej wysokości progu opłacalności. Natomiast w Niemczech zaczęto odchodzić od restrykcyjnego stosowania estymacji kosztu uzyskania dodatkowego QALY z uwagi na metodologiczne i etyczne wątpliwości związane z oceną korzyści płynących z leczenia różnych chorób, determinujących wartość QALY (17). W tabeli poniżej przedstawiono wymagania dotyczące oceny ekonomicznej w wybranych krajach.

Tabela 2. Wymagania agend rządowych dotyczące danych ekonomicznych w podejmowaniu decyzji refundacyjnych w wybranych krajach (17, 28)

Kraj	Agencja	Dane ekonomiczne dot. zdrowia	QALY / koszt
Polska	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT)	obowiązkowe	obowiązkowe
Australia	Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC)	obowiązkowe	opcjonalne
Belgia	Medicine Reimbursement Committee	obowiązkowe	opcjonalne
Kanada	Common Drug Review	obowiązkowe	opcjonalne
Dania	Danish Medicines Agency	opcjonalne	opcjonalne
Wielka Brytania	National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE)	obowiązkowe	obowiązkowe*
Finlandia	Pharmaceutical Pricing Board	obowiązkowe	opcjonalne
Francja	High Health Authority	opcjonalne	nie jest oficjalnie wymagane
Niemcy	Institute for Quality and Efficiency in Health Care	obowiązkowe	opcjonalne
Irlandia	National Centre for Pharmacoeconomics	obowiązkowe	opcjonalne
Holandia	Health Care Insurance Board	obowiązkowe	opcjonalne, ale położony nacisk na wykonanie CUA
Nowa Zelandia	Pharmaceutical Management Agency	obowiązkowe	opcjonalne, ale położony nacisk na wykonanie CUA
Norwegia	Norwegian Medicines Agency	obowiązkowe	opcjonalne
Portugalia	Instituto Nacional da Farmácia e do Medicamento	obowiązkowe	opcjonalne
Szwecja	Dental and Pharmaceutical Benefits Agency	obowiązkowe	opcjonalne
USA	Center for Medicaid and Medicare Services	nie jest oficjalnie wymagane	nie jest oficjalnie wymagane

* Wielka Brytania w ostatnim czasie odchodzi od restrykcyjnego stosowania wskaźnika koszt / QALY w rekomendacjach dotyczących decyzji refundacyjnych.
SMC - Scottish Medicines Consortium, AWMSG- All Wales Medicines Strategy Group

5. Ograniczenia QALY

QALY jest najbardziej rygorystycznym pod względem metodologicznym dostępnym narzędziem wykorzystywanym do oceny nowych technologii medycznych, jednakże istnieje szereg ograniczeń w jego stosowaniu. W przyszłości mogą one stawać się coraz bardziej widoczne, ze względu na coraz częstsze wykorzystywanie leków regeneracyjnych (regenerative medicines), a także możliwą konieczność udoskonalenia sposobu obliczania QALY w celu urzeczywistnienia potencjalnych korzyści finansowych i alternatywnych kosztów, jakie mogą się wiązać z daną interwencją. Co więcej, takie ograniczenia mogą ulec zaostrzeniu, gdy przechodzimy w erę medycyny „spersonalizowanej”, wykorzystując nowe technologie medycyny regeneracyjnej, takie jak terapie komórkowe i terapie genowe (30).

Prawdopodobnie największym ograniczeniem dla QALY jest wybór odpowiednich wartości użyteczności. Mogą one nie w pełni odzwierciedlać preferencji pacjentów w odniesieniu do ich stanu zdrowia, a zatem mogą zniekształcać wynikający z tego koszt w przeliczeniu na QALY. Ponadto, siła preferencji dotyczących stanów zdrowia może zależeć od czynników takich jak wiek i styl życia, a zatem może być różna dla różnych osób w podobnych stanach zdrowia. Również źródła danych, takie jak badania przeprowadzone w różnych krajach, warunkach i przy wykorzystaniu różnych metod szacowania wartości użyteczności wpływają na niepewność QALY (31). Należy też zwrócić uwagę, że przypisanie odpowiednich wartości użyteczności stanom zdrowia jest zależne od wieku, stylu życia i obowiązków życiowych, np. bardzo trudno jest porównać stan zdrowia potencjalnego mistrza olimpijskiego, który doznał urazu ścięgna podczas sesji rozgrzewkowej z osobą w podeszłym wieku, której została przywrócona pewna mobilność (32).

Wskaźnik QALY stanowi dobry parametr służący do oceny stanu zdrowia populacji ogólnej, natomiast jest on mniej odpowiedni w odniesieniu do grup pacjentów ze szczególnymi schorzeniami (33). W przypadku chorób, które są obarczone wysokim ryzykiem zgonu, przede wszystkim choroby onkologiczne czy hematologiczne, najistotniejszym parametrem jest całkowite przeżycie. Zastosowanie wskaźnika uwzględniającego jakość życia (QALY) w tym przypadku pomija ten najważniejszy w tym przypadku parametr, a ocena ekonomiczna terapii onkologicznych powinna uwzględniać ocenę przeżycia całkowitego (23). Ponadto QALY nie oddaje dokładnie rzeczywistych preferencji pacjentów onkologicznych dotyczących ich leczenia. W odniesieniu do chorób onkologicznych wymienia się 3 kluczowe problemy związane z stosowaniem QALY:

- kwestionariusz EQ-5D, najczęściej wykorzystywany do pomiaru HR-QOL jest relatywnie nieczuły na zmiany w stanach zdrowia pacjentów z zaawansowaną chorobą nowotworową;
- stosowana często metoda handlowania czasem służąca do pomiaru wartości stanów zdrowia bazuje na odpowiedziach uzyskanych w populacji ogólnej i wymaga przyjęcia założeń nieadekwatnych do końcowego etapu życia, istnieje ryzyko przeszacowania ciężkości danego stanu zdrowia związanego z chorobą nowotworową w odniesieniu do innych aspektów życia;
- wykorzystywanie próby z populacji ogólnej do oceny stanów zdrowia w przebiegu różnych chorób nie odzwierciedla rzeczywistych potrzeb osób z zaawansowaną chorobą nowotworową (17).

Ocena terapii oparta o QALY może być istotnym kryterium tylko w przypadku oceny terapii skierowanych dla chorych będących w bardzo zaawansowanych stadiach choroby i z przewidywanym krótkim czasem przeżycia oraz w przypadku chorób bez wysokiego ryzyka zgonu, w których poprawa jakości życia pacjentów jest głównym celem leczenia (23).

W odniesieniu do chorób onkologicznych i zastosowania wskaźnika QALY należy również zauważyć metodologiczną niespójność wynikającą z braku ujednoliconych kwestionariuszy oceniających jakość życia, a także wątpliwości dotyczące sposobu wypełniania ankiet przez chorych. Pacjenci onkologiczni często będący pod wpływem narkotycznych środków przeciwbólowych mogą być nieświadomi swojego rzeczywistego stanu zdrowia (23).

W Polsce nie dopuszcza się wyjątków odnośnie kosztu uzyskania QALY. Natomiast przyjęcie sztywnej wartości progu opłacalności, ponadto ustalonego o dane PKB sprzed kilku lat, wydaje się być nieakceptowalnym i dyskryminującym w odniesieniu do chorób rzadkich i ultraradkich. Koszt leków sierocych przeznaczonych do leczenia tych chorób, ze względu na niewielką liczbę pacjentów, dla których są skierowane, jest zazwyczaj niewspółmiernie wysoki w stosunku do ich skuteczności. Ponadto, niektóre terapie stosowane w chorobach rzadkich i ultraradkich powodują występowanie poważnych działań niepożądanych, które istotnie wpływają na jakość życia chorych. Brak lub niska efektywność kosztowa leków sierocych stanowi poważne ograniczenie w przypadku decyzji refundacyjnych ich dotyczących (23). Być może należy rozważyć wprowadzenie dodatkowego, wyższego progu opłacalności dla terapii stosowanych w chorobach rzadkich (32).

QALY jako miara jakości życia

QALY może również nie być odpowiednio wrażliwym parametrem dla porównań dwóch podobnych technologii w tym samym obszarze leczenia lub w przypadku terapii mniej ciężkich, łagodnych postaci choroby. Innymi słowy, różnice, które mogą być istotne klinicznie lub istotne dla pacjenta, mogą nie zostać wykazane w oparciu o szacunki QALY (31, 32).

Innym ograniczeniem dla wskaźnika QALY jest niewystarczające uwzględnianie problemów emocjonalnych i psychicznych, a także całkowity brak uwzględnienia wpływu stanów zdrowia na jakość życia opiekunów i członków rodziny osób chorych (32).

Warto również zauważyć, że dzięki hipotetycznemu zwiększeniu użyteczności danego stanu zdrowia przy jednoczesnym skróceniu długości życia, można otrzymać wyższy wskaźnik QALY. Koncepcja przedkładania jakości życia nad jego długość jest kontrowersyjna w świecie medycznym i wśród wielu osób budzi wątpliwości natury etycznej. Z drugiej strony ocena programów zdrowotnych nie uwzględniających subiektywnych preferencji pacjenta spotykała się z oskarżeniami o dehumanizację medycyny, gdyż istotą leczenia nie jest tylko podtrzymywanie życia. Wydaje się więc, że zważywszy na obecny stan wiedzy medycznej i farmakoekonomicznej, ocena efektów zdrowotnych za pomocą QALY najbliższa jest definicji zdrowia wg WHO.

Należy mieć na uwadze, iż pomimo różnych ograniczeń wynikających ze stosowania QALY, nadal jest to jedno z niewielu narzędzi, które umożliwia dokonanie porównania interwencji medycznych we wspólnej jednostce. W obliczu ograniczonych środków na refundację i konieczności dokonania wyboru jedynie części dostępnych nowych technologii medycznych, QALY wraz z analizą kosztów i użyteczności dostarczają decydom informacji gdzie należy przydzielić dostępne zasoby, aby wygenerować maksymalne korzyści zdrowotne dla społeczeństwa (31, 32).

6. Bibliografia

1. Radecka B. Jakość życia uwarunkowana zdrowiem – znaczenie i sposoby oceny u chorych na nowotwory. *Curr Gynecol Oncol* 2015; 13 (3): 172–79.
2. Sompolska-Rzechuła A. Jakość życia jako kategoria ekonomiczna. *Folia Pomer Univ Technol Stetin* 2013;301 (71): 127-40.
3. Meyza J. Truth-telling, information, and communication with cancer patients in Poland. *Ann N Y Acad Sci* 1997; 809:468–479.
4. Szyguła-Jurkiewicz B, Kowalska M, Mościński M. Jakość życia jako element oceny stanu zdrowia i efektywności leczenia chorych ze schorzeniami układu sercowo-naczyniowego. *Folia Cardiologica Excerpta*, 2011;1 (60):62-71.
5. Kowalewska B, Jankowiak B, Rolka H. Jakość życia w naukach medycznych i społecznych tom I, Uniwersytet Medyczny w Białymstoku 2017.
6. Papuć E. Jakość życia- definicje i sposoby jej ujmowania. *Current Problems of Psychiatry* 2011;12(2):141-45.
7. Turska W, Skowron A. Metodyka oceny jakości życia. *Farmakoekonomia* 2009;8:572-80.
8. Sokolnicka H, Mikuła W. Metody oceny jakości życia mające zastosowanie w medycynie, *Borgis - Medycyna Rodzinna* 3-4/2003, 129-131.
9. Golicki D, Jaki instrument powinienem wybrać do pomiaru jakości życia u pacjenta ze stwardnieniem rozsianym? *Przewodnik praktyczny*, Vol. 2/Nr 2(5)/2013, 21-30.
10. Kłak A, Mińko M, Siwczyńska D. Metody kwestionariuszowe badania jakości życia. *Problemy Higieny i Epidemiologii* 2012;93:632-38.
11. Wołowicka L. Jakość życia w naukach medycznych. Poznań: Wydawnictwo Uczelniane Akademii Medycznej im. Karola Marcinkowskiego w Poznaniu, 2001;117–27.
12. Jaracz K, Kalfoss M, Górna K, i in.. Quality of life in Polish respondents: psychometric properties of the Polish WHOQOL-Bref. *Scand J Caring Sci* 2006; 20(3): 251–60.
13. Sierakowska M. Jakość życia w przewlekłych chorobach reumatycznych — uwarunkowania społeczne, psychologiczne i medyczne oraz metody pomiaru. *Forum Reumatologiczne* 2017;3(1):5-12.
14. Cieślak B, Podbielska H. Przegląd wybranych kwestionariuszy oceny jakości życia. *Acta Bio-Optica et Informatica Medica Inżynieria Biomedyczna*, 2015;21(2):102-35.
15. Wytyczne oceny technologii medycznych, AOTMiT, 2016, 33-34.
16. Petryszyn P, Kempa K. Użyteczności stanów zdrowia eq-5d oceniane z zastosowaniem metod bezpośrednich przez studentów v roku farmacji UM we Wrocławiu, *Polski Przegląd Nauk o Zdrowiu* 3 (44); 2015.
17. Zyśk R, Niewada M, Ocena ekonomiczna efektywności leczenia przeciwnowotworowego - specyfika i wyzwania pomiaru korzyści zdrowotnych w onkologii, *Onkologia w Praktyce Klinicznej* 2013, tom 9, nr 2, 41–52.
18. Golicki D. EQ-5D-5L Polish population norms, *Arch Med Sci.* 2017 Feb 1; 13(1): 191–200.
19. Radecka B, Jakość życia uwarunkowana zdrowiem – znaczenie i sposoby oceny u chorych na nowotwory, *Curr Gynecol Oncol* 2015, 13 (3), 172–179.
20. Orlewska E, *Podstawy Farmakoekonomiki, Analiza koszty-użyteczność*, Warszawa 1999, s. 70-71, 122-123.
21. Kolasa K, *Analizy ekonomiczne w procesie oceny technologii medycznych*, „MBA” 2009, nr 3, 67-68.
22. Niżankowski R, Bała M. Priorytety zdrowotne – narzędzia oceny i analizy. *Analiza opłacalności*, Uniwersyteckie Wydawnictwo Medyczne „VESALIUS”, Kraków 2002, 11-20.

23. Karpa W. Alternatywna metoda kalkulacji prognozy efektywności kosztowej w analizie farmakoekonomicznej na przykładzie grupy chorób niedokrwiennej serca. *Metody Ilościowe W Badaniach Ekonomicznych Tom XV/4*, 2014, str. 17 – 25.
24. Mattingly J. Pharmacoeconomics Refresher: The CVS S 100K/QALY Announcement (Part 2) <https://www.ajmc.com/contributor/joey-mattingly/2018/10/pharmacoeconomics-refresher-the-cvs-100kqaly-announcement-part-2> (dostęp dnia: 12.08.2019 r.).
25. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.).
26. World Health Organization: WHOQOL Measuring Quality of Life. WHO/MSA/MNH/PSF/97.4.
27. Komunikat Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie obowiązującej od dnia 31 października 2018 r. wysokości prognozy kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość.
28. Wytyczne przeprowadzania Oceny Technologii Medycznych (HTA). Załącznik do Zarządzenia nr 40/2016 Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji z dnia 13 września 2016 r. w sprawie wytycznych oceny świadczeń opieki zdrowotnej.
29. Woodward R.M., et al. Quality-adjusted life years in cancer: pros, cons, and alternatives. *Eur J Cancer Care* 2013; Jan; 22(1): 12-9.
30. Pettitt D.A., et al. The Limitations of QALY: A Literature Review. *J Stem Cell Res Ther* 2016; 6: 4.
31. Malek M. Implementing QALYs. Hayward Medical Communications 2001 www.evidence-based-medicine.co.uk.
32. Phillips C. What is a QALY? Health economics. What is...? Series. Second edition, April 2009 www.whatisseries.co.uk.
33. Markiewicz O. Analizy ekonomiczne w procesie oceny technologii medycznych. Autoreferat pracy doktorskiej. Wydział Nauk Ekonomicznych; Uniwersytet Warszawski; Warszawa 2009.



**BIBLIOTEKA
AOTMiT**

