

Oponentský posudok dizertačnej práce

Dizertačná práca:	Model nákladové efektivity plošného screeningu poruchy funkcie štítnej žľazy v tehotenstve pro Českou republiku
Autor práce:	Mgr. Jan Tužil
Študijný program:	Biomedicínska informatika (P0988D350007)
Študijný odbor:	Biomedicínska informatika (YBIOM20, 0988VD350007)
Školiteľ:	Ing. Jana Bartáková, Ph.D.
Oponent:	prof. PhDr. Róbert Babel'a, PhD., MBA, MSc. (iHTA), FISAC

Práca má celkom 80 strán. Autor rozdeľuje prácu na 10 kapitol. V práci je uvedených 19 grafov a 24 tabuliek. Autor cituje literatúru, ktorá sa nachádza celkovo na 14 stranách a je vo väčšine zahraničná. Predkladaná práca je napísaná v českom jazyku.

Hodnotenie dizertačnej práce:

1. *Aktuálnosť témy.*

Téma predloženej práce je vysoko aktuálna. Plošný skrining porúch funkcie štítnej žľazy v tehotenstve je kľúčový z niekoľkých dôvodov. Prvý sa týka významu pre vývoj plodu, kde adekvátna funkcia štítnej žľazy a dostatočná hladina hormónov sú kritické pre normálny neurologický vývoj plodu, najmä počas prvých mesiacov tehotenstva, keď sa formuje centrálny nervový systém. Poruchy funkcie štítnej žľazy (najmä hypotyreóza) sú spojené s vyšším rizikom predčasných pôrodov a nízkou pôrodnou hmotnosťou novorodenca. Niektoré štúdie naznačujú, že matky s poruchou funkcie štítnej žľazy majú vyššie riziko vzniku pre-eklampsie. Je to dôležité aj z pohľadu psychického zdravia matky, kde postpartumová depresia môže súvisieť s poruchami štítnej žľazy, a preto kontrola štítnej žľazy môže pomôcť identifikovať ženy s vyšším rizikom. Identifikácia a manažment porúch štítnej žľazy počas tehotenstva umožňuje lepšiu prípravu a optimalizáciu priebehu tehotenstva a pôrodu. So sociálno-ekonomického pohľadu môže aj optimalizácia neurologického vývoja plodu mať pozitívne dlhodobé účinky nielen na jednotlivca, ale aj na spoločnosť ako celok, z hľadiska vzdelania, zamestnanosti a kvality života. Vzhľadom na tieto aspekty je plošný skrining porúch štítnej žľazy v tehotenstve často považovaný za kľúčovú súčasť prenatálnej starostlivosti, s cieľom minimalizovať riziká pre matku a plod a optimalizovať výsledky tehotenstva.

2. *Splnenie cieľa.*

Hlavným cieľom práce bolo namodelovať nákladovú efektívnosť zavedenia univerzálneho skriningu z hľadiska pomeru rozdielov v rozdieloch nákladov z pohľadu platcu a prínosov na QALY matky, jeden odvrátený potrat, jeden odvrátený predčasný pôrod a jedno stanovenie nesprávnej diagnózy PPT. Druhým cieľom bolo stanovenie vplyvu na rozpočet. Cieľom bolo modelovať ročný vplyv na rozpočet platiteľa (zdravotných poisťovní) pri zavedení plošného skriningu s penetráciou 95%. Vzhľadom na 12 mesačný časový horizont modelu nákladovej efektívnosti, model nebral do úvahy diskontáciu. Posledným cieľom bol pohľad na čerpanie zdravotnej starostlivosti a dopad na bežnú prax, hlavne z pohľadu kapacitných limitov endokrinologických ambulancií.

3. *Zvolené metódy spracovania.*

Zvolené metódy sú adekvátne. Autor podrobne popisuje použitú metodológiu na 16 stranách. Osobitne je dôležité vyzdvihnúť náročnosť získania adekvátnych vstupov do modelu tak, aby výsledok dával zmysel pre populáciu Českej republiky. Tu obzvlášť oceňujem postup a prístup autora práca a jeho orientáciu na kvalitu podkladov a schopnosť vhodným spôsobom sumarizovať adekvátny zoznam parametrov modelu (Tabuľka 5 a ďalej) spolu s grafickým znázornením decision_tree modelu, ktorý je vytvorený logicky a evidentne konzultovaný so špecialistami na uvedenú oblasť.

4. *Výsledky práce.*

Výsledky práce a ich hodnotenie na základe vlastných analýz zo spracovania zdrojov je cenné aj vzhľadom k chýbaniu komplexnejších štúdií venovaných danej problematike v kontexte slovenskej reality, ale aj vedeckého smerovania podporeného hypotézami, ktoré boli vhodne a korektne overené. V rámci výsledkovej časti sú zaujímavé aj hodnotenia detí, pedagógov a iných na margo účinku hodnoteného programu, ktorý prináša zaujímavú spätnú väzbu, miestami veľmi veľmi silné odkazy a inšpiráciu do budúcnosti. K primárnemu výstupu analýzy je potrebné súhlasiť s názorom autora, že síce meriame výstup na základe QALY matky no ten nezachytáva dostatočne všetky prínosy zavedenia univerzálneho skríningu, vrátane kvality života dieťaťa, ktorá môže mať relatívne veľký dosah na náklady zdravotnej starostlivosti a iných typov nákladov mimo zdravotného sektora. Výsledky sú vhodne doplnené o počet potratov a predčasných pôrodov, ktorým sa zabráni. Výsledky ukazujú, že zavedenie univerzálneho skríningu môže v ČR zabrániť 66 zbytočným potratom a 53 predčasným pôrodom na 100.000 tehotenstiev ročne. Náklady na prevenciu jedného potratu boli vyčíslené na úrovni 211'892 Kč a náklady na prevenciu jedného predčasného pôrodu na úrovni 273'333 Kč. Zavedenie univerzálneho skríningu umožní v zmysle výsledkov autora správne diagnostikovať ďalších 2 288 pacientov, ktorí budú odoslaní na špecializované endokrinologické pracovisko.

5. *Prínos.*

Prácu možno hodnotiť ako vysoko prínosnú vzhľadom na jej špecifické zameranie na závažné otázky spojené (aj) s významnými celospoločenskými dosahmi. Práca – ak som tomu správne pochopil – je prvá svojho druhu a mohla by pomôcť posunúť oblasť plošného skríningu poruchy funkcie štítnej žľazy v tehotenstve výrazne dopredu. A nielen v Českej republike. Myslím, že aj pre oblasť skríninových aktivít na Slovensko bude tento prístup a model vysoko atraktívny, pokiaľ sa tu nájde na to vhodný partner. Výsledky modelov ako aj prínos považujem za inovatívne a vysoko inšpiratívne pre ďalší výskum v tejto oblasti – ako som naznačil, nielen v Českej republike.

Diskusia je na vysokej úrovni a som veľmi rád, že sa uviedli slabé stránky a limitácie modelu. Autor len potvrdzuje desiatky rokov známy výrok, ktorý nás v oblasti HTA drží tak trochu „pri zemi“ a v pokore, že všetky modely sú v princípe „nesprávne“. O to dôležitejšie je však ďalej pracovať napr. aj na patientskych registroch, zlepšovať úroveň digitalizácie a elektronického zdravotníctva, zbierať čo najviac kvalitných a validovaných dát na základe ktorých budú výsledky podobných modelov stále presnejšie. Príkladom pre nás môžu byť napríklad patientske registre v tzv. Nordic countries. Dovtedy máme to, čo bolo modelované a vyrátané aj v tejto zaujímavej práci. A dovtedy, pokiaľ nebudeme mať kvalitnejšie vstupy, považujem tieto výsledky za najlepšie možné a najbližšie pravde.

Diskusia ako aj záverečné kapitoly sumarizujúce výsledky a odporúčania pre bežnú prax a implementáciu skriningových programov svedčia o adekvátnej vedecko-výskumnej úrovni autora. e

Otázky:

1. Ktoré parametre modelu by chcel mať autor v „ideálnom“ prípade ak by bol požiadaný o rovnakú analýzu v budúcnosti a ako by sa tieto parametre mali zbierať tak aby boli skutočne validne pre potreby modelu? Uveďte aspoň 3 príklady.

2. Na záver práce autor uvádza: „*Ideální formou výzkumu by byla randomizovaná studie, která by umožnila odhadnout incidenci onemocnění, relativní účinnost plošného testu anti-TPO a kvalitu života v jednotlivých stavech.*“ Skúste aspoň v hrubých kontúrach navrhnúť základné parametre takejto štúdie a do ktorej fázy diskusie či realizácie štúdie by ste zapojil seba – ako budúceho experta na HTA?

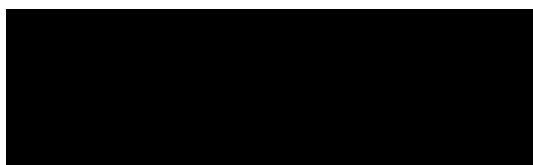
6. Záver

Predložená písomná dizertačná práca tak po formálnej, ako aj po obsahovej stránke spĺňa požiadavky kladené na dizertačnú prácu. Dizertačnú prácu odporúčam k obhajobe.

Zastávam názor, že dizertačná práca autora Mgr. Jana Tužila preukázala predpoklady autora pre samostatnú tvorivú vedecko-výskumnú prácu a k udeleniu titulu *philosophiae doctor – Ph.D. (PhD., za menom)*.

Navyše, vzhľadom k originalite a aktuálnosti výsledkov a praktickej potrebe pretraktovania problematiky, navrhujem prácu a jej výstupy (ktoré ešte neboli publikované) publikovať vo vedecko-odborných časopisoch.

V Bratislave, 13. október 2023



prof. PhDr. Róbert Babel'a, PhD., MBA, MSc. (HTA), FISAC

Oponent dizertačnej práce

Prorektor pre vedu a výskum a medzinárodné vzťahy
Slovenská zdravotnícka univerzita
Bratislava