

mgr Dominika Krupa

## **Wykorzystanie danych z praktyki klinicznej (ang. Real-World Evidence, RWE) w optymalizacji farmakoterapii w wybranych jednostkach chorobowych**

### **Streszczenie w języku polskim**

Dowody oparte o dane z praktyki klinicznej (RWE) to prężnie rozwijająca się dziedzina nauk o zdrowiu publicznym, ponieważ oferują niespotykane dotąd bogactwo opisu stanu zdrowia populacji i ich walki z różnymi chorobami. Na całym świecie popularność RWE wzrasta, choć ich całkowity potencjał zdecydowanie przewyższa ich aktualne wykorzystanie. W dalszym ciągu dowody z praktyki klinicznej są stosowane relatywnie wąsko, a ich największa popularność często ogranicza się do rejestracji produktów farmaceutycznych lub decyzji refundacyjnych. Jednocześnie kluczowy obszar ich faktycznego wpływu na wyniki zdrowotne i zachowania pacjentów jest zbyt rzadko mierzony, analizowany i wykorzystywany w procesach decyzyjnych. Szersze użycie RWE, m.in. w optymalizacji farmakoterapii w warunkach praktyki klinicznej zapewnia bardziej całościowe i praktyczne zrozumienie wyników leczenia, kosztów i implikacji w świecie rzeczywistym, dostarczając cennych spostrzeżeń do podejmowania decyzji w oparciu o dowody i opracowywania polityki w warunkach systemu opieki zdrowotnej.

Niniejsza rozprawa doktorska przedstawia wybrane aspekty wykorzystania danych RWE w kontekście społecznych implikacji farmakoterapii w Polsce, podkreślając równocześnie jej potencjał jako kluczowego narzędzia dla planistów polityki zdrowotnej. W rozprawie zwrócono uwagę na wieloaspektowy wpływ farmakoterapii, wykraczający poza opiekę zdrowotną, a rozciągający się na takie obszary jak dobro pacjenta, produktywność pracowników i zrównoważony rozwój gospodarczy. Kluczową kwestią poruszoną w rozprawie jest znaczenie wykorzystania dostępnych źródeł danych do skutecznego planowania, monitorowania i oceny wyników interwencji farmakologicznych w celu optymalizacji alokacji zasobów i uzyskania maksymalnych korzyści z jej stosowania.

Rozprawa składa się z czterech powiązanych tematycznie artykułów naukowych opublikowanych w recenzowanych czasopismach. W artykule 1 przedstawiono kwestię choroby rzadkiej, badając jej wpływ na pacjentów, opiekunów, placówki opieki zdrowotnej i system finansowania publicznego. Na podstawie studium przypadku rdzeniowego zaniku mięśni (ang. *spinal muscular atrophy*, SMA) w artykule opisano efekty wdrożenia programu opieki nad pacjentami, który wpłynął na uzyskanie poprawy wyników klinicznych pacjentów przy jednoczesnym utrzymaniu

całkowitych kosztów na przewidywalnym poziomie. Zostało to osiągnięte również poprzez inicjatywy takie jak program badań przesiewowych noworodków, czyli położenie nacisku na proaktywne podejście do opieki zdrowotnej. W artykule 2 zbadano związek między konsumpcją środków farmaceutycznych a produktywnością pracowników, szczególnie w kontekście pandemii Covid-19. Podkreśla on rozbieżność, w przypadku której pomimo znaczących zmian w zachowaniach pracowników spowodowanych pandemią, wykorzystanie leków nie zmieniło się w znaczący sposób. Ekspozuje to problem polityki zdrowia psychicznego i sugeruje potrzebę dalszych badań i działań politycznych w celu zaadresowania potrzeb pacjentów w tym aspekcie. W artykule 3 omówiono potencjalne korzyści z substytucji leków generycznych jako narzędzia polityki wywierającego pozytywny wpływ na pacjentów i płatnika. Podobnie Artykuł 4 ukazuje wyższość terapii skojarzonej pod względem kosztów i przestrzegania zaleceń przez pacjenta w porównaniu z podejściami alternatywnymi.

Praca jest zwieńczona praktycznymi implikacjami, opowiadając się za wykorzystaniem danych do optymalizacji farmakoterapii w celu osiągnięcia korzyści społecznych, takich jak zmniejszenie kosztów dla pacjentów i płatnika publicznego, poprawa wyników zdrowotnych, lepsze stosowanie się do zaleceń lekarskich i zwiększona produktywność pracowników. Kluczowe rekomendacje obejmują większe wykorzystanie RWE w kształtowaniu polityki zdrowotnej i optymalizacji farmakoterapii, zwiększanie dostępu do opieki i diagnostyki, promowanie optymalnego wyboru terapii i jej przestrzegania, zwiększanie świadomości na temat korzyści płynących z farmakoterapii oraz inwestowanie w inicjatywy takie jak badania przesiewowe noworodków pod kątem chorób rzadkich. Podsumowując, praca ta podkreśla znaczenie optymalnej farmakoterapii w kształtowaniu polityki zdrowotnej i oferuje wgląd w to, w jaki sposób można wykorzystać dane, aby stawić czoła wyzwaniom społecznym i poprawić efektywność opieki zdrowotnej w Polsce.