

# Zeszyty Naukowe Ochrony Zdrowia

# Zdrowie Publiczne

# i Zarządzanie

2016  
tom 14, nr 4

## USING KNOWLEDGE ON THE ECONOMIC BURDEN OF DISEASES TOWARDS EVIDENCE-BASED HEALTH POLICY

Katarzyna Kissimova-Skarbek, Paweł Kawalec

<b>wprowadzenie</b> .....	227
<b>introduction</b> .....	228

### burden of disease and economic evaluation of interventions

Sandra Paola Pedroza Velandia, Katarzyna Kissimova-Skarbek

<b>The Heavy Burden of Protein and Energy Malnutrition on the Society of Ghana: Urging the Implementation of an Easily Enacted Backyard Poultry Intervention</b> .....	229
--	-----

Marta Banaszczyk-Ruś, Marcin Czech

<b>Aspekty ekonomiczne i epidemiologiczne programu szczepień ochronnych przeciw krztuścowi w Polsce</b> .....	244
---	-----

Beata Tyszko, Anna Staniszevska

<b>The Effects of Brand-Generic Substitution in Antiepileptic Treatment</b> .....	254
---	-----

### guidelines for economic evaluation of interventions

Katarzyna Dubas-Jakóbczyk, Ewa Kocot, Katarzyna Kissimova-Skarbek, Kai Huter, Heinz Rothgang

<b>Ekonomiczna ewaluacja programów z zakresu zdrowia publicznego – przegląd wytycznych międzynarodowych</b> .....	259
---	-----

### national health accounts – reporting health expenditure by disease

Dorota Kawiorska

<b>System of Health Accounts (SHA) as an Anchor for Accountability of Health Systems in the EU Member States. Potential for Linking Health Spending to the Treatment of Diseases</b> .....	266
--	-----

**Przewodnicząca****Prof. dr hab. Stanisława Golinowska**

Kierownik Zakładu Ekonomiki Zdrowia i Zabezpieczenia Społecznego,  
Instytut Zdrowia Publicznego, Wydział Nauk o Zdrowiu,  
Uniwersytet Jagielloński Collegium Medicum, Kraków

**Prof. dr hab. Antoni Czupryna**

Klinika Chirurgii Ogólnej, Onkologicznej i Gastroenterologicznej,  
Wydział Lekarski, Uniwersytet Jagielloński Collegium Medicum, Kraków

**Prof. dr hab. Józef K. Gierowski**

Zakład Psychologii Lekarskiej, Katedra Psychiatrii,  
Wydział Lekarski, Uniwersytet Jagielloński Collegium Medicum, Kraków

**Prof. dr hab. Tomasz Grodzicki**

Kierownik Kliniki Chorób Wewnętrznych i Geriatrii,  
Wydział Lekarski, Uniwersytet Jagielloński Collegium Medicum, Kraków

**Wim Groot, PhD**

Professor of health economics, Department of Health Services Research,  
Maastricht University, Netherlands

**Prof. dr. med. Ulrich Laaser**

Head of the Section of International Public Health at the Faculty  
of Health Sciences, School of Public Health, University of Bielefeld, Germany

**Doc. MUDr., PhD Vladimír Pohanka**

Director of Srobar's Institute for Respiratory Diseases and TB  
in Dolný Smokovec, Slovakia

**Prof. dr hab. n. med. Bolesław Samoliński**

Kierownik Zakładu Profilaktyki Zagrożeń Środowiskowych, Warszawski  
Uniwersytet Medyczny

**Prof. dr hab. Stanisław Tarkowski**

Zakład Środowiskowych Zagrożeń Zdrowia, Instytut Medycyny Pracy  
im. Prof. J. Nofera, Łódź

**Prof. dr hab. Beata Tobiasz-Adamczyk**

Kierownik Katedry Epidemiologii i Medycyny Zapobiegawczej,  
Uniwersytet Jagielloński Collegium Medicum, Kraków

**Prof. dr hab. Mirosław J. Wysocki**

Dyrektor Narodowego Instytutu Zdrowia Publicznego  
– Państwowy Zakład Higieny, Warszawa

**Prof. dr hab. Tomasz Zdrojewski**

Zakład Prewencji i Dydaktyki, Gdański Uniwersytet Medyczny

■ **komitet redakcyjny****Redaktor Naczelny****Prof. dr hab. Cezary W. Włodarczyk**

Instytut Zdrowia Publicznego, Wydział Nauk o Zdrowiu,  
Uniwersytet Jagielloński Collegium Medicum, Kraków

**Prof. dr hab. Stanisława Golinowska**

Kierownik Zakładu Ekonomiki Zdrowia i Zabezpieczenia Społecznego,  
Instytut Zdrowia Publicznego, Wydział Nauk o Zdrowiu,  
Uniwersytet Jagielloński Collegium Medicum, Kraków

**Prof. dr hab. Jolanta Jaworek**

Kierownik Zakładu Fizjologii Medycznej, Instytut Fizjoterapii, Wydział  
Nauk o Zdrowiu, Uniwersytet Jagielloński Collegium Medicum, Kraków



UNIWERSYTET JAGIELLOŃSKI  
Collegium Medicum  
Wydział Nauk o Zdrowiu



Instytut Zdrowia Publicznego  
ul. Grzegorzeczka 20, 31-531 Kraków  
tel. 12-433-28-06, e-mail: mxerys@cyf-kr.edu.pl

*Zeszyty Naukowe Ochrony Zdrowia.  
Zdrowie Publiczne i Zarządzanie.  
Pismo Instytutu Zdrowia Publicznego  
Wydziału Nauk o Zdrowiu UJ CM*

*Scientific Issues of Health Protection. Public Health and Governance*

■ **redaktorzy naukowci**

Dr Katarzyna Kissimova-Skarbek  
Dr Paweł Kawalec

■ **redaktor statystyczny**

Ewa Kocot

■ **sekretarz redakcji**

Elżbieta Ryś

■ **wydawca**

Instytut Zdrowia Publicznego WNZ UJ CM

■ **współwydawca**

Wydawnictwo UJ

■ **redaktor językowy**

Dorota Węgierska

■ **korektor**

Anna Noga-Grochola

**ADRES REDAKCJI**

Instytut Zdrowia Publicznego WNZ UJ CM  
ul. Grzegorzeczka 20  
31-531 Kraków  
tel. 12-433-28-06  
e-mail: mxerys@cyf-kr.edu.pl

© Copyright by Instytut Zdrowia Publicznego & Wydawnictwo  
Uniwersytetu Jagiellońskiego  
Wydanie I, Kraków 2016  
All rights reserved

Przedruk i powielanie tekstów zamieszczonych na łamach pisma wyłącznie  
za zgodą redakcji.

Pierwotną wersją czasopisma „Zeszyty Naukowe Ochrony Zdrowia. Zdrowie  
Publiczne i Zarządzanie” (ISSN 2084-2627) jest wersja online publikowana  
kwartalnie w Internecie na stronie www.ejournals.eu.

ISSN 1731-7398 (wersja papierowa)  
ISSN 2084-2627 (wersja elektroniczna)

# Wprowadzenie

Szanowne Czytelniczki, Szanowni Czytelnicy!

Przekazujemy Państwu kolejny numer „Zeszytów Naukowych Ochrony Zdrowia. Zdrowie Publiczne i Zarządzanie” poświęcony wykorzystaniu wyników analiz obciążenia społeczeństw chorobami w kierunku tworzenia polityki zdrowotnej opartej na dowodach (*evidence-based health policy*). Jest to kontynuacja zagadnień zaprezentowanych w numerze trzecim z 2016 roku – tym razem koncentrujących się na wykorzystaniu wyników analiz obciążenia chorobami do zaproponowania i oceny ekonomicznej interwencji medycznych skierowanych na rozwiązanie zidentyfikowanych ważnych problemów zdrowotnych. W poprzednim numerze przedstawiono przykłady oceny obciążenia chorobami społeczeństw w jednostkach utraconego czasu oraz w jednostkach monetarnych. Istnieje jeszcze trzecia grupa miar, które odzwierciedlają wpływ chorób na indywidualne osoby i gospodarstwa domowe. Zdrowe dzieci są w stanie uczyć się lepiej, otrzymać lepsze wykształcenie, a co za tym idzie, osiągać wyższe zarobki w dorosłym życiu. W zdrowej rodzinie edukacja dzieci będzie prawdopodobnie rzadziej przerwana z powodu ich złego stanu zdrowia lub choroby w rodzinie. Zdrowsi pracownicy są fizycznie i psychicznie bardziej wytrzymali, wydajniejsi, rzadziej nieobecni w pracy z powodu choroby (lub choroby w rodzinie), zarabiają więcej od osób z problemami zdrowotnymi. Ich wydajność sprawia, że firmy mają większe zyski. Dobry stan zdrowia populacji tworzącej zasoby rynku pracy jest argumentem w przyciąganiu inwestycji zagranicznych.

W jednej z prezentowanych prac omawiane jest zagadnienie pojawienia się deficytów protein i kalorii (*protein and energy malnutrition*) w wyniku złego odżywiania niemowląt i dzieci w Ghanie i w innych krajach rozwijających się. Autorzy pokazują rozmiar obciążenia wywołanego brakiem protein w żywieniu dzieci w Ghanie. Powoduje to poważne następstwa natychmiastowe i w przyszłości – w formie zgonów, utraconych zarobków i konsumpcji, a tym samym niższego dochodu narodowe-

go. Proponowany jest łatwy do zrealizowania program dostarczenia alternatywnego źródła białka w żywieniu niemowląt oraz przeprowadza się ekonomiczną ewaluację programu.

Państwa uwadze polecamy artykuł prezentujący ekonomiczną ocenę programu szczepień ochronnych przeciw chorobie zakaźnej w Polsce. Przytacza on cenne informacje odnośnie do korzyści medycznych i ekonomicznych związanych ze szczepieniami, wskazując, że szczepienie pozostaje najbardziej dostępną i najtańszą metodą zapobiegania chorobie zakaźnej, jaką jest krztusiec. Zaniechanie szczepień ochronnych może doprowadzić do nawrotu epidemii, przynoszącej straty zdrowotne dla społeczeństwa oraz konsekwencje ekonomiczne znacznie przewyższające koszty uodpornienia populacji. W innym artykule pokazano, na przykładzie leków przeciwpadaczkowych w Polsce, efekty (wpływ na wyniki i koszty farmakoterapii) zastępowania leków innowacyjnych generycznymi.

W proponowanym Państwu numerze publikujemy również przegląd wytycznych międzynarodowych przeprowadzania ewaluacji ekonomicznej programów z zakresu promocji zdrowia.

Przedstawiamy również artykuł o systemie rachunków zdrowia (*System of Health Accounts – SHA*), który jest rozbudowanym systemem gromadzenia danych i informacji służących opisowi przepływów finansowych w sektorze ochrony zdrowia na poziomie państw członkowskich Unii Europejskiej. Autorka opisuje potencjał metodologiczny SHA, wskazując na możliwości prowadzenia wielowymiarowych analiz dotyczących wydatków na ochronę zdrowia, w tym wydatków w podziale na grupy schorzeń.

Mamy nadzieję, że zaproponowane artykuły stanowią wsparcie przy tworzeniu polityki zdrowotnej opartej na dowodach.

Katarzyna Kissimova-Skarbek  
Paweł Kawalec

# Introduction

Dear Readers,

We are pleased to present you with the latest volume of “Public Health and Governance,” which, this time, is devoted to the implication of the knowledge on the economic burden of diseases towards evidence-based health policy making. This is a continuation of the issues discussed in the third volume of the year 2016 – this time focusing on the usage of the burden of disease analyses’ results to propose and economically evaluate health interventions aimed at solving identified major health problems of population.

We have already presented an examples of assessing disease burden to the societies in units of time lost and in monetary units. There is also a third group of measures, which reflects the effect of diseases on individuals, households, employers and societies. Healthy children are able to learn in a more effective way, obtain better education and, therefore, gain larger income in adulthood. In a healthy family, the education of children will be less likely to be discontinued due to their poor health condition or an illness in the family. Healthier employees are more physically and mentally resilient and more efficient at work. Furthermore, their absences on account of illness (or illness in the family) at work happen less often so they earn more than people with health problems. The effectiveness of healthy employees allows their companies to generate larger incomes. The good health condition of the population making up the human resources on the employment market attracts foreign investment.

One of the presented studies discusses the issue of protein and energy malnutrition as a result of the poor nutrition of infants and children in Ghana and other developing countries. The authors also show the extent of the burden caused by protein deficiency in the nutrition of the children in Ghana. This results in serious immedi-

ate and remote outcomes – deaths, lost incomes and consumption, and thus – the decrease of the national income. The proposed programme of supplying an additional source of protein in feeding infants is easy to conduct – the paper also presents its economic evaluation.

We would like to draw your attention to the text discussing the economic evaluation of preventive vaccination programme against infectious disease in Poland. The article presents valuable data concerning the medical and economic benefits of vaccinations, indicating vaccination as the most available and the cheapest way to prevent infectious diseases such as pertussis. Abandonment of vaccination could result in a recurrence of an epidemic, generating losses in population health as well as economic consequences to the society, far exceeding the cost of immunisation. Another article shows the effects (the influence of the pharmacotherapy on results and costs) of replacing branded medicine with generic.

This volume also presents an overview of the international guidelines for economic evaluation of health promotion programmes.

We also introduce an article about the System of Health Accounts (SHA), a powerful tool of data collection and information for the description of financial flow in the health sector at the level of EU Member States. The author describes the methodological potential of the SHA, pointing out the possibility of providing multidimensional analysis of health spending, including doing so by groups of diseases.

We hope, that the proposed papers will contribute to the debate on evidence-based health policy creation.

*Katarzyna Kissimova-Skarbek  
Paweł Kawalec*

# The Heavy Burden of Protein and Energy Malnutrition on the Society of Ghana: Urging the Implementation of an Easily Enacted Backyard Poultry Intervention

Sandra Paola Pedroza Velandia<sup>1,2</sup>, Katarzyna Kissimova-Skarbek<sup>1</sup>

<sup>1</sup> Department of Health Economics and Social Security, Institute of Public Health, Faculty of Health Sciences, Jagiellonian University Medical College, Cracow, Poland

<sup>2</sup> PATH, Seattle, WA, USA

*Address for correspondence:* Sandra Paola Pedroza Velandia: pedroza.sp@gmail.com

*Katarzyna Kissimova-Skarbek:* Instytut Zdrowia Publicznego, Grzegórzecka 20, 31-531 Kraków, kskarbek@uj.edu.pl

## Abstract

**Background.** Stunting hinders the development of children around the world.

**Objectives.** We have calculated the burden of disease attributable to protein and energy malnutrition (PEM) in Ghana and evaluated the impact of the modelled intervention to prevent stunting in Ghana.

**Methods.** A literature review was conducted to better understand the economic implications of stunting. The burden of PEM was measured in Disability-Adjusted Life Years (DALYs) and income lost. A culturally sensitive nutritional intervention was designed to prevent stunting in the target population. The comparator was no intervention. We performed cost-effectiveness, cost-utility, and cost-benefit analyses.

**Results.** The estimated income lost due to PEM in Ghana was over 70 bln 2014 international dollars (I\$). In 2014 the Ghana GDP per capita was I\$4,548.00. The incremental cost-effectiveness ratio (ICER) per stunting case averted was I\$2,573.72. The ICER per DALY averted was I\$896.18. The cost-benefit ratio was 0.03.

**Conclusion.** Stunting causes a high burden to society in Ghana. The modelled backyard poultry intervention is very cost-effective in reducing stunting and its effects.

**Key words:** stunting, burden of disease, DALY, Ghana, cost-effectiveness analysis, cost-utility analysis, cost-benefit analysis, backyard poultry

**Słowa kluczowe:** karłowatość, obciążenie chorobą, DALY, Ghana, analiza kosztów i efektów, analiza kosztów i użyteczności, analiza kosztów i korzyści, drób przydomowy



Ministerstwo Nauki  
i Szkolnictwa Wyższego

Przygotowanie i edycja anglojęzycznych wersji publikacji finansowane w ramach umowy 914/P-DUN/2016 ze środków Ministra Nauki i Szkolnictwa Wyższego przeznaczonych na działalność upowszechniającą naukę.

## Introduction

Malnutrition refers to both overnutrition and undernutrition [1]. Overnutrition, mistakenly thought as a health problem of high-income countries, also affects low and middle-income countries. There is robust evidence supporting the ever growing prevalence of overnutrition in both developed and developing countries. The increased prevalence of overnutrition contributes

to an increase of non-communicable diseases such as diabetes and ischemic heart disease [2]. However, undernutrition is still highly prevalent in many middle and low-income countries. The United Kingdom Department of Development went as far as to call undernutrition ‘a scourge in our world’ [3]. The focus of this study is on undernutrition because, despite all the efforts made by the international community to alleviate it and its effects, there is still much work to be done to eradi-

cate it. Undernutrition hinders the ability of individuals as well as of entire societies and countries to reach their full potential.

Undernutrition, as defined by UNICEF, is the outcome of insufficient food intake and repeated infectious diseases [4]. The three forms of undernutrition are micronutrient deficiencies, wasting, and stunting [4]. Micronutrient deficiencies refer to deficiencies in vitamins and minerals such as vitamin A, B<sub>12</sub>, and Iron [4]. Wasting is defined as being dangerously underweight for one's height [4]. Stunting is defined as being too short for one's age [4].

Ghana is a country located in the western part of sub-Saharan Africa. In 2013 it had a population of 26,164,432 according to the UN Population Division [5]. In the year 2014 348 infants per thousand, between twenty four and thirty six months old, were stunted in the country [6]. This indicates that more than one third of the children in Ghana are not currently developing to their full potential. This prompted the authors to conduct a study focused on the economic burden of PEM and its consequence – stunting. More specifically, we consider stunting the result of chronic deficiencies in the complex interactions between household food security, appropriate care, health conditions and appropriate health systems [7]. We also assessed nutrition specific prevention intervention which was modelled and evaluated following the economic evaluation principles.

Recent studies have identified stunting as an underlying factor of low productivity in both individuals and societies [3]. Stunted children will grow up to be stunted adults. Stunting growth prevents individuals from reaching their full potential and therefore they do not contribute to their communities as much as they could have if they had not been stunted. It is important to clarify the difference between short stature and stunting [8]. Short stature is attributed to genetic factors. Having short stature is by no means related to lower cognitive skills. On the contrary, stunting is atrophied physical and cognitive development as a result of the complex interactions between humans and their environment.

The consequences of stunting can be easily overlooked because stunted children do not suffer from any obvious or painful symptoms. Stunted children often appear to be healthy but in reality they are too short for their age, hindering their ability to fully develop to their full potential [8]. Children are considered stunted when they have a height-for-age z-score (HAZ) that is more than two standard deviations below the age-sex median for well-nourished reference populations [3]. Children are usually classified as stunted at the age of 2 – when it is already too late. Studies show that it is virtually impossible for children diagnosed as stunted by age 2 to develop to their full physical and cognitive potential later in life. Stunting cannot be cured; it can only be prevented during the first 1,000 days of life – beginning at gestation and until two years of age. This time frame is called *the window of opportunity*. Evidence shows that preventing stunting will have a positive impact on individual and societal development.

## Methodology

A systematic review was performed to understand the burden of stunting from an economic point of view also using Global Burden of Disease (GBD) study methodology. The modelled, easily enacted, backyard poultry malnutrition prevention intervention was evaluated using an economic evaluation of the program's principles. Three main types of economic analyses were performed for this project: (i) Cost-Effectiveness Analysis (CEA) was performed using change in mortality and stunting rates pre- and post- intervention as effects of the intervention. (ii) In the Cost-Utility Analysis (CUA) the outcome was a number of reduced DALY's due to premature death caused by stunting. (iii) A Cost-Benefit Analysis (CBA) was performed using the human capital approach. The benefits from the intervention took into consideration a change in future earnings, consumption and GDP. The comparator of the CEA, CUA and CBA was NO intervention (the present standard of care).

## Systematic search strategy

The literature review search was initially conducted on PubMed. Subsequently specialized databases like POPLINE (Population Information Online), Wiley Online Library, and the Lancet Database website were also used. The initial search terms were defined as *economic evaluations AND children AND stunting*. After the identification of the first articles, a snowball technique was used to identify other articles and authors working within the same area of knowledge. The search was conducted on September 9, 2016. The inclusion criterion was defined as reviews and economic evaluations looking specifically at the economic consequences of stunting. Only articles published from 2007 until 2016 in English were considered for this review.

After the inclusion and exclusion criterion were applied, seven papers were identified. The papers were divided in two groups. The first group is composed of four papers that highlight the lack of cost-effectiveness evidence regarding nutritional interventions [10]. This group also underlines the developmental potential during the first five years of life, especially in developing countries [11] and finally it explains the rationale for investing in reducing stunting [3]. The second group is composed of three papers that illustrate economic evaluations performed in nutrition interventions around the world. Two economic evaluation studies have been performed regarding nutrition specific intervention in Pakistan [12, 13]. The last paper evaluates the economic consequences of a nutritional complementary intervention in Guatemala [14].

## Burden of disease

Burden of disease may be measured with various indicators like: the number of deaths caused by the disease, the number of cases of the disease, years of life lost due to disease, both: (i) without counting reduction in health-

related quality of life or (ii) with consideration of disability caused by the disease like the Disability-Adjusted Life Years (DALY) measurement. The disease also has consequences on patients' and their families' ability to work and earn an income, the opportunities for education and career development, and on the society as a whole – production lost and reduced economic growth. In this study we focus on DALYs and income lost due to premature deaths and disabilities caused by PEM.

Within the GBD study, since the beginning of 1990s the burden of disease has been calculated to determine which diseases are contributing the most to morbidity and mortality rates in a particular country, region or globally [9]. The latest Global Burden of Disease (GBD) methodology came out in 2015. It excludes age weighting in DALYs. It uses equal standard life expectancy at birth for both males and females and does not discount the time lived with disability. Burden of disease studies are used to inform evidence-based policymaking processes and to support allocation of resources targeting those diseases causing the most DALYs.

The burden of disease attributable to stunting was calculated using protein and energy malnutrition (PEM), morbidity and mortality rates as proxy variables to calculate DALYs. The economic value of a year of healthy life lost due to PEM was measured using a method employed by the WHO Commission on Macroeconomics and Health (CMH), which makes an assumption that each DALY can be valued at between one and three annual GDP per capita for the country being studied.

## Modelled intervention

### *Intervention design*

Eight hypothetical communities representative of the Ghanaian population were modelled to evaluate the community based backyard poultry intervention in rural Ghana, based on the work of Heifer International. Heifer International is an international non-governmental organization (NGO) that has a “teach a man to fish” philosophy [15]. One of their main activities is providing farmers with livestock, as well as training, to improve food and nutrition security [16].

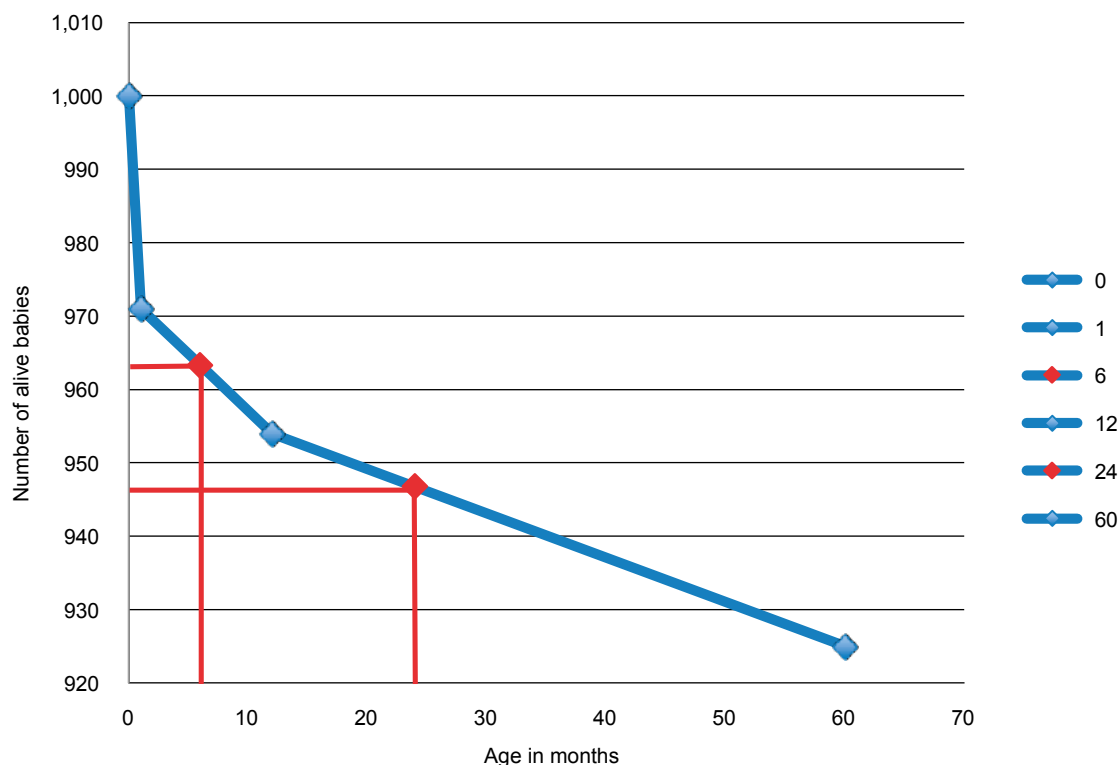
For this hypothetical intervention, an NGO similar to Heifer International considers providing four communities with the necessary livestock to provide sustainable animal source protein to children between six and twenty four months of age. The organization is interested in providing this group of children with supplementary animal source protein because scientific literature indicates that adequate nutrition during this critical development period – *the window of opportunity* – has remarkable developmental consequences that stay with children and their communities for the rest of their lives [17]. On the contrary, the lack of adequate nutrition during this period can lead to serious developmental consequences that will affect children and their communities in the short and long

run. The NGO decides to test the hypothesis that protein supplementation during the *window of opportunity* leads to healthier, more productive individuals and societies. For this reason eight communities of 10,000 inhabitants each were modelled. The communities are representative of the population in Ghana. Staying on track with the sustainability trend, the NGO decides to provide layer hens to four out of eight-modelled communities. Layer hens provide a constant supply of eggs, an excellent animal source protein, at low cost to the environment and the investors. Layer hens also require very little care, allowing communities to pursue other activities while enjoying the benefits of having layer hens in the community. We decided to test our hypothesis by performing an economic evaluation of the intervention from the perspective of the payer for the cost and from a broad societal perspective for the outcomes.

The duration of the intervention will only be 18 months. The start-up period of the intervention is only 2 weeks long. It begins with the hiring of a regional coordinator. The regional coordinator is responsible for recruiting three field workers per community who will be responsible for recruiting five volunteers each, preferably women. Once the recruitment is finalized the regional coordination will be responsible for providing the field workers with the materials and feed needed to successfully run a community based backyard poultry intervention. Once the field workers have identified the volunteers who will help them run the chicken coops they will train them on basic fowl rearing practices. Part of the training is building and preparing the chicken coop for the arrival of the layer hens. During training volunteers agree to protect the layer hens and not eat them until they have completed their egg-laying phase. Once the hens have arrived in each community they are distributed to their corresponding chicken coop by the regional coordinator. The start-up period is over when the layer hens are delivered to their assigned chicken coops.

The post-start up period is 96 weeks long. Layer hens will grow and develop during the first twenty weeks of the post-start up period. During this time the field workers will coordinate and schedule the volunteers to feed, clean, and maintain the chicken coops. They will also ensure that households with children in the 6 to 24 month age range are aware of the intervention and are encouraged to participate in it. Making sure the fowl and the communities are protected from zoonotic diseases is very important to the NGO. Therefore, the regional coordinator is required to provide the field workers with the necessary vaccines to keep the chickens safe. The necessary vaccines are *new castle, the fowl pox, and infectious bursal disease*. They will be administered to the fowl according to the Food and Agriculture Organization of the United Nations (FAO) recommendations. Once the hens start laying eggs the volunteers will distribute the produced eggs to families members in the community with children between six and twenty four months of age. This phase will last 76 weeks. This is the usual egg-laying period of hens.

Figure 1. Linear Interpolation. Number of babies still alive at age  $x$



Source: Authors' elaboration.

### Sample size

The sample size was calculated by applying the crude birth rate in Ghana to a population of 10,000 people. The number of newborns, in four communities of 10,000 people each, was calculated using linear interpolation as well as the number of infants that would be between six and twenty four months of age in the community.

### Linear interpolation to calculate mortality rates at age 6 and 24 months

Linear interpolation was used to calculate the unknown mortality rates at 6 and 24 months. Knowing the infant mortality rates at 6 and 24 months allowed the authors to estimate with more precision the number of infants in the modelled intervention that are within the age group of interest. It would be wrong to say that all the 1,000 newborns make it to 6 months because in real life not all newborns do so. Drawing similar triangles under the curve and interpolating the missing values served to calculate the unknown infant mortality rates. In linear interpolation a function is created from observational data points by drawing straight lines from each known point to the next. This function can then be evaluated at any point of interest to determine an approximate value. In other words, having this function allows the authors to insert any value in it (e.g. months) and determine how many babies are still thriving. Thanks to these techniques we were able to estimate that the population of infants

between six and twenty four months in these four communities was 1,756 children. Assuming a conservative approach, 90% of the target population would participate in the intervention, meaning a total of 1,581 children. The graphical explanation of linear interpolation and the drawn triangles can be observed in **Figure 1**.

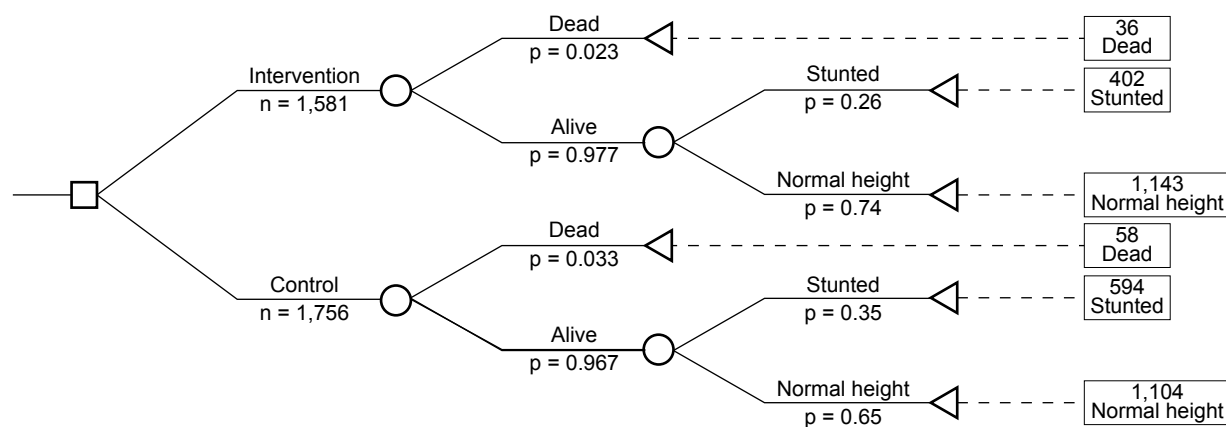
Although eight identical communities were modelled, only infants from four of the communities would participate in the intervention in order to have both control and intervention groups. All the infants in this age interval are eligible to participate.

### Cost of the intervention

As mentioned above, the goal of this study is to evaluate the economic impact of a community based backyard poultry intervention that increases access to protein for infants (between 6 to 24 months) in the four intervention communities. The protein is available in the form of a daily egg per child. The first part of the intervention will last a total of eighteen months. During the intervention period 2,219 hens produce a total of 865,454 eggs. The hens chosen for the intervention produce between 250 to 270 eggs a year. For this model the average egg production per hen is 260 eggs per year, a total of 390 eggs per hen during the intervention period.

The costs of the intervention were only approached from the perspective of the payer while the impact of the intervention took a broader societal perspective. Unit costs were obtained from experts in the field and from



**Figure 2.** Decision Tree (From 6 to 24 months of age)

Source: Authors' elaboration based on the data from INCAP study.

Food and Agriculture Organization of the United Nations publications about backyard poultry in Ghana. Most of the values were from 2014. However, when cost and benefit data were available for earlier years than 2014 – the values were converted to 2014 international dollars (I\$) using Ghana CPI and the National Currency (Cedi) per the US dollar conversion factor (Purchasing Power Parities for GDP).

## Outcomes of the intervention

The impact of the intervention was extrapolated from a study performed by the Institute of Nutrition of Central America and Panama (INCAP) in Guatemala from 1969 to 1977. The variables considered for the cost-effectiveness analysis were mortality and stunting rates. DALYs reduced were considered for the cost-utility analysis (with 0% and 3% discount rates applied). The human capital approach was taken for the cost-benefit analysis. A sensitivity analysis was also performed as part of the cost-benefit analysis using 3%, 5%, and 7% discount rates.

## Economic evaluation of the intervention

Economic evaluations are rarely conducted on nutrition interventions. Aware of the lack of similar studies, the authors have taken an organic approach to this project, embracing the flexibility to economically evaluate as much or as little as possible with the available data.

### Cost-Effectiveness Analysis

For this part of the analysis a decision tree was built to illustrate the different outcomes (the number of deaths and persons still alive and the number of stunted and non-stunted) from the intervention and the control group. Due to the complexity of this evaluation the tree only includes short-term outcomes of the intervention such as the probability of dying or of being stunted by the 24<sup>th</sup> month. The decision tree was a way to illustrate the different size of

the intervention and control groups. The difference is due to the intervention coverage. In order to be conservative, the authors modelled an intervention with only 90% coverage to reflect the coverage rate of similar interventions. The decision tree also illustrates the transitional probabilities of mortality and stunting. The path probability of being stunted at the age of 24 months for children still alive in the intervention is 0.254 ( $0.977 \times 0.26$ ), while the path probability of having normal height for children in the intervention group is 0.723 ( $0.977 \times 0.74$ ). On the other hand the path probability of being stunted by 24 months in the control group is 0.338 ( $0.967 \times 0.35$ ). The path probability of having normal height at the age of 24 months in the control group is 0.629 ( $0.967 \times 0.65$ ). The decision tree created for this intervention can be seen in **Figure 2**.

### Using reduction in mortality rate as an effect of intervention

In order to calculate the cost-effectiveness of the intervention on the total number of deaths averted by the modelled community based backyard poultry intervention the total cost of the intervention was calculated in 2014 international dollars. The total cost of standard of care from the perspective of the payer is negligible because the payer does not currently have an intervention in place. The incremental cost therefore is equal to the total cost of the intervention. The incremental effectiveness of the intervention was calculated by subtracting the deaths that were averted with the standard of care from the deaths prevented due to the intervention. The incremental cost-effectiveness ratio was calculated by dividing the incremental cost by the incremental effectiveness. The results from the incremental cost-effectiveness ratio were compared to the Ghana's GDP per capita for the year 2014.

### Using reduction in stunting rates as an effect of intervention

In order to calculate the cost-effectiveness of the intervention on the total number of stunting cases averted by the community based backyard poultry intervention,

the total cost of the intervention was calculated in 2014 international dollars. The incremental effectiveness of the intervention was calculated by subtracting the number of stunting cases averted with the standard care from the stunting cases prevented due to the intervention. The incremental cost-effectiveness ratio was calculated by dividing the incremental cost by the incremental effectiveness.

### Cost-Utility Analysis

To identify the cost-utility of the community based backyard poultry intervention the DALYs averted were calculated. Estimating DALYs due to stunting is not a straightforward task. In fact it was nearly impossible to find disability weights for stunting in the literature that truly reflect the magnitude of the devastating consequences of stunting in the futures of children around the world. With this in mind only DALYs due to premature death were considered for this work. Unfortunately, death is only the tip of the iceberg [11] when evaluating the consequences of poor nutrition in the lives and futures of children around the world. Therefore the DALYs calculated in this work are highly underestimated. The total DALYs attributed to premature mortality due to inadequate food intake averted with the intervention was calculated using the Global Burden of Disease Study 2010 methodology [18]. The DALYs averted were not age-weighted, were only discounted and a new standard life expectancy at average age of death for both sexes (1.25 year) was used. The version of DALYs averted using national life expectancy at age of death in Ghana was also assessed with data from the WHO [19]. The incremental utility of the intervention was calculated by subtracting the number of DALYs averted with the standard care from the DALYs averted with the intervention. The incremental cost utility ratio was calculated by dividing the incremental cost by the incremental utility of the intervention. The results from the incremental cost utility ratio were compared to the Ghana's GDP per capita for the year 2014 in international dollars in order to decide if the intervention is cost-effective.

### Cost-Benefit Analysis

To perform the cost-benefit analysis the human capital approach was taken to evaluate the long-term impact of the intervention. The impact of the intervention in mortality and stunting rates was considered to calculate the population that would be able to join the work force. The GDP per capita in PPP terms was used as a proxy variable to measure the per capita consumption between the years 2039 and 2059 by the children in the eight communities modelled for this study. By the year 2039 infants in the intervention group would be 25 years old and most of them would be in the work force according to Ghana's statistics [6]. The model assumes that people in Ghana are only part of the work force between the ages of 25 and 50. The number of surviving adults was calculated using Ghana's adult mortality rate [6]. GDP per capita in PPP terms was projected for the next forty-five years assuming participants in the intervention would be in the work force for twenty-five years. The per capita consumption of stunted adults compared to normal height adults was calculated using Hoddinott et al.'s results [20]. Hoddinott et al. found strong evidence supporting the theory that the multiple damaging effects of growth failure in early childhood persist into adulthood [20]. Some of the effects of stunting in adulthood are lower cognitive scores, a lower level of per capita consumption and a higher probability of encountering poverty among others. The Hoddinott et al. model predicts that stunting reduces per capita consumption by an immense 66% [20]. Stunting has such a high costs because it has a large impact on cognitive skills [20]. Cognitive skills usually determine the number of years of schooling and in turn they have high returns in the labor market [20]. A summary of the methodology used to calculate the human capital approach of this intervention in the intervention group can be seen in **Table I**. The exact same methodology was used to calculate the human capital losses attributable to stunting in the control group.

The total benefit for the standard of care was calculated considering the number of stunted and normal

**Table I.** Sample of the methodology used to calculate the human capital losses attributable to stunting

Intervention (6–24 months of age) n = 1,756								
Year	Age	Work force participation rate (%)	Adult mortality rate (%)	People in the work force		Total GDP if there was no difference in consumption (IS)	Total GDP of stunted and normal adults (IS)	Loss in GDP from stunted adults (66% less) (IS)
				Stunted adults	Normal adults			
2039	25–29	86.95	25.1	300	821	16,578,694.20	13,646,368.11	2,932,326.16
2044	30–34	92.30	25.1	319	871	22,760,549.85	18,734,819.32	4,025,730.53
2049	35–39	94.40	25.1	326	891	30,106,020.62	24,781,073.41	5,324,947.21
2054	40–44	95.50	25.1	331	904	39,493,030.00	32,507,772.72	6,985,257.28
2059	45–49	95.00	25.1	328	897	50,676,380.66	41,713,088.73	8,963,291.93
					<b>Total</b>	<b>159,614,675.40</b>	<b>131,383,122.29</b>	<b>28,231,553.10</b>

Source: Authors' elaboration.

**Box 1.** Formulas for indicators used in cost-benefit analysis

$$\text{Incremental Benefit} = \text{TB}_{\text{intervention}} - \text{TB}_{\text{control}}$$

$$\text{Net Benefit} = \text{Incremental Benefit} - \text{Costs of Intervention}$$

$$\text{Incremental Cost Benefit Ratio} = \frac{\text{Costs of Intervention}}{\text{Incremental Benefit}}$$

Where:  $\text{TB}_{\text{intervention}}$  – Total benefit achieved within the intervention group  
 $\text{TB}_{\text{control}}$  – Total benefit achieved within the control group

Source: Authors' elaboration.

height adults from the original number of children in the control group. The total benefit for the intervention group was calculated considering the number of adults from the number of children in the intervention group (90%) plus the children who were not covered by the intervention (10%). The incremental benefit was calculated by subtracting the total benefit achieved within the control group from the total benefit gained by the intervention group. The net benefit was calculated by subtracting the total cost of the intervention from the incremental benefit of the intervention. The incremental cost benefit ratio was calculated by dividing the cost of the intervention by the incremental benefit of the intervention (See **Box 1**). In order to present the value of a future stream of benefits in terms of their present day value, a discounting procedure was applied and a sensitivity analysis was performed using 3%, 5%, and 7% discount rates.

## Results

### Literature review findings

Batura et al. [10] looked at 15 articles to assess the cost-effectiveness of early childhood nutrition and development (ECND) in a target population of children under five years of age. Unfortunately, Batura et al. [10] discovered that despite the vast evidence in the literature of the impact of ECND interventions in improving children's developmental outcomes, very few economic evaluations are performed on interventions of this nature [10]. The variability of the elements considered when performing the cost-effectiveness analysis makes it very hard to compare the results of the different cost-effectiveness studies. Some of the studies looked at stunting cases averted, others looked at number of deaths averted, while some others looked at DALYs reduced by the intervention [10]. Out of the 15 cost-effectiveness studies evaluated by Batura et al. only three pairs used the same outcome measurement variable [10]. The three common denominators used were DALYs, cases of stunting averted, and Eyberg Intensity Scores, forcing Batura et al. to only compare the pairs of articles that used the same common denominator [10]. Authors emphasized the need to enable comparisons between cost-effectiveness articles evaluating ECND

to generate strong evidence in favor of allocating monetary resources to interventions that impact ECND [10].

Grantham-McGregor et al. emphasized the importance of helping children under the age of five in low and middle-income countries to thrive [11]. They examined all the factors that can potentially lead to stunting and connected them with their economic consequences. The authors drew data from cross-sectional studies in Tanzania, Nepal, and Ghana [11]. They found out that stunted children were more likely to enroll late in school. Stunted children in Tanzania were less likely to be enrolled in school than non-stunted children. In the same paper, Grantham-McGregor et al. found that stunted students in countries like Nepal [21], China [22], Jamaica [6, 23], India [24], the Philippines [25–27], Malaysia [28], Vietnam [29], Brazil [30], Turkey [31], Guatemala [32] (only boys) attain lower achievement levels or grades for their age [33]. Grantham-McGregor et al. also found four published longitudinal studies linking early stunting with lower cognition and school grades later in life [11]. They present a study in Jamaica in which stunting before 24 months was linked to school dropout rates at 1 to 18 years of age [23]. Using data from previous studies in Guatemala [34] the authors discovered that being stunted at 36 months was related to cognition, literacy, numeracy, and general knowledge in late adolescence. Children who do not reach their developmental potential are less likely to be productive adults because either their educational attainments are low or they learn less per year of schooling [11]. The lack of optimal education attainment during childhood has repercussions on the labor market. In the same review Grantham-McGregor et al. used data from Indonesia [35] to show that on average, each year of schooling increases wages by 7–11%. They concluded that the loss of human potential is associated with more than a 20% deficit in adult income and that it has implications for the development of societies and entire nations [11].

In a review performed by Hoddinott et al. clear examples are given of the many ways stunting is limiting the development of children and societies around the world [3]. The findings from Hoddinott et al. align with the previously described statistics. Stunted children attain less education than non-stunted children, which leads to them earning less money later in life in the labor market [3]. In a different paper, Hoddinott et al. found that children stunted at 36 months grow up into stunted adults who have 66% lower per capita consumption than non-stunted adults [20]. In the review Hoddinott et al. calculated the benefit-cost ratios for investments in nutrition specific intervention to eliminate stunting in seventeen selected high-burden countries [3]. For instance, they calculated that for every dollar invested in reducing stunting in Bangladesh, the economic return is estimated to be \$1.9 – \$18.4 [3]. The Bangladesh benefit-cost ratio was the median value of all of the seventeen benefit-cost ratios calculated by Hoddinott et al [3].

In 2008 Victora et al. also looked at the adult and human capital consequences of maternal and child undernutrition [36]. The authors found that height not attained during the first two years of life is impossible to regain

**Table II.** Papers on the economic consequences of nutritional interventions

Paper	Author	Year	Target population	Paper type	Baseline indicators	Economic indicators
Highlighting the evidence gap: how cost-effective are interventions to improve early childhood nutrition and development?	Batura Neha et al. [10]	2014	Under 5	Review	N/A	<ul style="list-style-type: none"> <li>• DALY</li> <li>• Cost per death averted</li> </ul>
Developmental potential in the first 5 years for children in developing countries	Grantham-McGregor Sally et al. [11]	2007	Under 5	Review	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Prevalence of stunting</li> <li>• Number of people living in absolute poverty</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• National development</li> <li>• Educational attainment</li> </ul>
Maternal and child undernutrition: consequences for adult health and human capital	Victora Cesat et al. [36]	2008	Mothers and children	Review	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Prevalence of stunting</li> <li>• Undernutrition</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Human Capital</li> <li>• Salary</li> </ul>
Adult consequences of growth failure in early childhood	Hoddinott John et al. [37]	2013	Under 5	Economic evaluation	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Prevalence of stunting</li> <li>• Undernutrition</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Educational achievement</li> <li>• Age at first birth</li> <li>• Household wealth index score</li> <li>• Household expenditure and poverty</li> </ul>

Source: Authors' elaboration.

later in life [36]. In agreement with the findings from previous articles Victora et al. found that child growth is related to educational attainment in Zimbabwe [36]. Although around the world females salaries are lower than males salaries, the authors found a decrease of 8% salary in Brazilian stunted women and a 25% decrease in salary in Guatemalan women [36]. An additional review by Hoddinott et al. estimated that stunted adults have a higher probability of living in poverty by 42 percentage points than non-stunted adults [37]. The results from the first part of the systematic review are illustrated in **Table II**.

### Guatemala Intervention

This retrospective economic evaluation looks at the economic productivity of stunted adults versus the economic productivity of non-stunted adults. Hoddinott et al. assessed the average income of adults who 25 years earlier had participated in a supplementary nutrition intervention [14]. Half of the cohort had access to a gruel high in protein – *atole* and the other half had access to fruit flavored water – *fresco* [38]. Hoddinott et al. focused on children who participated in the intervention from birth until they turned three years old [14] because they found that exposure to *atole* before 3 years of age significantly raised wage rates by US\$0.62–\$0.67 per hour [14]. The wage rate increase represented a 46% rise above average wages in the sample [14]. It's important to mention that this was only significant for this age group. There was no relationship between children who were exposed to *atole* after 36 months and their adult wages [14]. The income increase was only significant for men; contrary to previously mentioned

findings, exposure to *atole* was not related to higher salaries in women. This statistic can be explained by cultural factors. Women represent a smaller portion of the work force in Latin American countries. Hoddinott et al. argued that in several countries women mostly engage in non-remunerated activities such as caring for future and older generations [14]. In addition to the economic gains, Hoddinott et al. found that high protein gruel supplementation for 24 months increased schooling by 1.2 grades in both genders [14]. In fact, it increased reading comprehension and performance in the Raven's test of progressive matrices by about 1% in males and 8% in females [14].

### Pakistan Interventions

Two economic evaluations were found of interventions performed in this context. One of them was a cost-effectiveness analysis of responsive stimulation and nutrition interventions on childhood development by Gowani et al. [12]. This cost-effectiveness analysis contrasted a nutrition specific intervention to an intervention incorporating children responsive stimulation [12]. Gowani et al. also commented on the lack of economic evaluations on nutrition interventions [12]. Gowani et al. mentioned the challenges of conducting cost-effectiveness analyses on interventions that have several outcomes [12] as is often the case with interventions of this type [12]. The authors argued that cost-effectiveness analysis needs to be performed more frequently on nutrition specific interventions to increase the existing literature on cost and economic consequences of nutrition interventions [12]. They found that children who receive responsive stimulation in addition to a nutritional intervention had sig-

nificantly better outcomes at 24 months than those who only received the nutritional intervention [12]. Although the results from this study are not favorable to nutrition specific intervention, this study contributed towards the development of evidence based policy.

The second economic evaluation performed in the Pakistani context was done on a hypothetical intervention of micronutrient sprinkles. For the purpose of this economic evaluation Sharieff et al. modelled two communities representative of the Pakistani population [13]. They had high infant mortality rates, a high prevalence of anaemia, and a high longitudinal prevalence of diarrhoea [13]. The modelled intervention consisted of providing children from 6 to 24 months of age with 60 sprinkle sachets for a period of 4 months [13]. The sachets contain micronutrients like zinc and iron that are very important for children in this age group especially as they are fighting bacteria caused diarrhoea. Sharieff et al. calculated DALYs due to premature mortality and cost per death averted, as well as the cost per DALY reduced [13]. Their results were very positive. They determined that a short-term intervention with micronutrient sprinkles was cost-effective [13].

The literature search highlighted the lack of evidence when it comes to evaluating the economic consequences of nutrition interventions in the short and long term. The few economic evaluations in the literature have encouraged the authors to pursue an economic evaluation of a community based backyard poultry intervention. Governments and non-governmental organizations (NGOs) overlook nutrition specific interventions because their immediate consequences are not obvious to the payer. More studies of this type are needed to increase the evidence of the true impact of nutrition interventions on individuals and societies. We believe that pursuing an unconventional economic evaluation of a community based backyard poultry intervention will contribute to the literature of economic evaluations performed in nutrition specific interventions. The findings from these are summarized in **Table III**.

## Burden of disease

In 2013 505,339.84 DALYs were due to PEM in Ghana. The income lost due to PEM in 2014 was \$7,006,701,819.59. The results from the burden of disease calculations are summarized in **Table IV**. The income lost due to PEM in Ghana is calculated by multiplying the number of DALYs due to PEM in 2013 by 3 times GDP per capita in 2013. Next the 2013 value was inflated to the year 2014 using United States Bureau of Labor Statistics on CPI for Ghana.

## Cost of the intervention

The total cost of the intervention (including the production and overhead costs) from the payer's point of view, only considering financial costs, is \$355,173.34 in 2014 international dollars. The cost per egg produced was \$0.41. The cost per child in the intervention was \$224.65.

## Reduction in infant mortality rates

The incremental effectiveness is 13 deaths averted attributable only to the intervention. The incremental cost of intervention compared to NO intervention (\$0) was \$355,173.34. The incremental cost-effectiveness ratio (ICER) is \$27,573.25. The net effect of the intervention and the incremental cost, effectiveness, and cost-effectiveness of the intervention can be seen in **Table V**.

## Reduction in stunting rates

The incremental effectiveness is 138 stunting cases averted attributable solely to the intervention. The ICER is \$2,573.72 per stunted child prevented. The net effect of the intervention and the incremental cost, effectiveness, and cost-effectiveness of the intervention can be seen in **Table VI**.

## DALYs averted

Within the CUA the number of averted DALYs due to premature death caused by stunting is 30.73 years per death prevented. The total number of DALYs averted in the intervention group is 1,484.28 (vs. 1,087.96 in control group). The incremental utility is 396.32 DALYs averted. The incremental cost-utility ratio (ICUR) is \$896.18 when discounted DALYs averted are used and \$117.76 – when DALYs averted are not discounted (**Table VII**). The intervention is very cost-effective even when DALYs are discounted because the ICUR is less than  $1 \times$  Ghana GDP per capita in the year 2014.

## Increase in Ghana future GDP

The incremental non-discounted benefit of the intervention is \$12,549,170. The incremental cost-benefit ratio of the intervention is 0.03. The results of the cost-benefit analysis, including sensitivity analysis are summarized in **Table VIII**.

## Discussion

### Burden of disease

The burden of disease was calculated first in order to understand the impact that stunting has on low and middle income countries. The DALYs attributable to stunting were not found in the literature. Therefore, only the DALYs attributable to PEM were presented. These calculations indicate that in the year 2014 Ghana lost over \$7 bln of national income due to PEM. This result is highly underestimated because it only considers the DALYs due to deaths and attributed to PEM instead of all the DALYs attributed to stunting and also due to disability. The DALYs due to stunting would be more comprehensive because they include a wider definition of disease. However, based on the DALYs due to PEM it is possible to see the burden that stunting currently places on Ghana's economy.

Table III. Economic evaluations on nutrition specific interventions

Paper	Author	Country	Perspective of the observation	Year	Intervention	Comparator	Target population	Economic indicators	Base line indicators	Outcome
Effect of a nutritional intervention during early childhood on economic productivity in Guatemalan adults	Hoddinott John et al. [14]	Guatemala	Societal	2008	1. <i>Atole</i> : vegetable source protein & micronutrients 2. Fresco: micronutrients only	Fresco: flavoured water with micronutrients	0-2 years old	1. Wages 2. Work hours 3. Scholastic achievements	1. Stunting 2. Socioeconomic level 3. Anaemia	Exposure to <i>atole</i> from 0 to 2 years leads to a 46% increase in a future average wages in intervention children
Cost effectiveness of responsive stimulation and nutrition interventions on early child development outcomes in Pakistan	Gowani Saima et al. [12]	Pakistan	Societal	2014	1. Nutrition stimulation 2. Responsive stimulation 3. Both	• Responsive estimation • Both	6-24 months old	1. Cost of the intervention 2. Cost per unit of effectiveness 3. Cost-benefit ratio	1. Budget 2. Qualitative data 3. Anaemia	Bayley Scales of Infant and Toddler Development scores with and without stimulation
Economic gains of a Home Fortification Programs	Sharieff Waseem et al. [13]	Pakistan	Societal	2006	1. Sprinkles: supplementary micronutrients	Standard of care	0-5 years old	1. Deaths averted 2. DALYs due to deaths averted 3. Cost-benefit ratio 4. Estimation of gains in earnings	1. Deaths 2. Anaemia rates	112 deaths were averted with the use of Sprinkles. Sprinkle supplementation is cost-effective from the point of view of the provider

Source: Authors' elaboration.

**Table IV.** Burden caused by protein and energy malnutrition in Ghana in 2014

Burden of Disease in Ghana					
Population in Ghana in 2013	DALYs attributable to PEM per 100,000 population rate in 2013	DALYs attributable to PEM in Ghana in 2013	GDP per capita in Ghana in 2013 International \$ (PPP)	Cost of PEM in 2013 International \$ (PPP)	Cost of PEM in 2014 International \$ (PPP)
26,164,432	1,931	505,339.84	4,548.00	6,894,854,334.73	7,006,701,819.59

Source: Authors' elaboration based on data from IHME, UN Department of Economics and Social Affairs, Population Division, World Bank.

**Table V.** Cost-effectiveness on mortality rate

Cost-effectiveness results on mortality					
Intervention	Total cost, year 2014, International \$ (PPP)	Total effectiveness (Deaths averted)	Incremental costs year 2014, International \$ (PPP)	Incremental effectiveness (Deaths averted)	Incremental cost-effectiveness ratio (Cost per death averted) year 2014, International \$ (PPP)
Standard of care	0.00	35	–	–	–
Intervention	355,173.34	48	355,173.34	13	27,537.25

Source: Authors' elaboration.

**Table VI.** Cost-effectiveness on stunting rates

Cost-effectiveness results on stunting					
Intervention	Total cost, year 2014, International \$ (PPP)	Total effectiveness (Stunting cases averted)	Incremental costs, year 2014, International \$ (PPP)	Incremental effectiveness (Stunting cases averted)	Incremental cost-effectiveness ratio (Cost per stunting case averted) year 2014, International \$ (PPP)
Standard of care	0.00	550	–	–	–
Intervention	355,173.34	413	355,173.34	138*	2,573.72

\* The result rounded.

Source: Authors' elaboration.

**Table VII.** Cost-utility analysis on DALYs due to premature death

Cost-utility using DALYs					
Intervention	Total cost, year 2014, International \$ (PPP)	Total utility (DALYs averted in intervention group and control group)	Incremental costs year 2014, International \$ (PPP)	Incremental utility (DALYs averted)	Incremental cost-utility ratio (Cost per DALY averted), year 2014, International \$ (PPP)
Standard of care	0.00	1,087.96	–	–	–
Intervention (with discounted DALYs averted, 3% discount rate)	355,173.34	1,484.28	355,173.34	396.32	896.18
Intervention (with non-discounted DALYs averted, 0% discount rate)	355,173.34	4,103.97	355,173.34	3,016.01	117.76

Source: Authors' elaboration.

**Table VIII.** Cost-benefit analysis, 2014 international \$ (PPP)

Cost-benefit						
Discount rate for discounting future earnings	Intervention	Total cost (I\$)	Total benefit (gains in total GDP) (I\$)	Net benefit (I\$)	Incremental benefit (I\$)	Incremental cost-benefit ratio
0%	Standard of care	0.00	118,833,953	–	–	–
	Intervention (future earnings not discounted)	355,173.34	131,383,122	12,193,996	12,549,169.58	0.03
3%	Standard of care	0.00	39,832,480.92	–	–	–
	Intervention (with 0% discounting future earnings)	355,173.34	44,038,892.87	3,851,238.60	4,206,411.94	0.08
5%	Standard of care	0.00	20,004,750.00	–	–	–
	Intervention (with 5% discounting future earnings)	355,173.34	22,117,302.80	1,757,379.46	2,112,552.80	0.17
7%	Standard of care	0.00	10,359,533.36	–	–	–
	Intervention (with 7% discounting future earnings)	355,173.34	11,453,526.60	738,819.90	1,093,993.24	0.32

Source: Authors' elaboration.

### Reduction of mortality

When looking solely at the impact of the intervention on mortality rates the incremental cost-effectiveness ratio of the intervention was calculated to I\$27,537.25 in 2014. The GDP per capita in Ghana in 2014 was I\$4,086.50. Comparing the ICER to the GDP per capita we conclude that the intervention is not cost-effective when approaching it from the perspective of a decrease in the number of deaths because the ICER per death averted is higher than three times GDP per capita.

### Reduction of stunting

Following the previous analysis, when looking solely at the impact of the intervention on stunting rates, the ICER of the intervention was calculated at \$2,573.72 in 2014 international dollars. When comparing the ICER to the GDP per capita the intervention is very cost effective because the ICER is less than the GDP per capita in 2014 in Ghana.

It is very important to consider that although the intervention is not considered cost-effective when solely evaluating the impact on mortality, on the contrary, the intervention is considered very cost-effective when looking at the impact on stunting. This is a great indication of the need to evaluate interventions from a multidisciplinary approach. If the present intervention was only evaluated on the basis of the reduction in mortality it would quickly be disregarded as non-cost effective. However, after estimating the cost-effectiveness of the intervention on stunting it was decided to perform additional economic analysis to be able to truly understand the impact of supplementary protein in the development of infants and nations.

economic analysis to be able to truly understand the impact of supplementary protein in the development of infants and nations.

### DALYs averted

Cost utility is thought to be a more appropriate approach to evaluate the impact of a community based backyard poultry intervention because an intervention of this type impacts both the mortality and the morbidity of individuals. In order to perform a cost-utility analysis, calculating Disability Adjusted Life Years (DALYs) or Quality Adjusted Life Years (QALYs) is the first step. This first step proved to be a complicated task because in the literature there were no appropriate disability weights to calculate either DALYs or QALYs due to disability caused by stunting as a result of malnutrition. The disability weights that were found largely overlooked the lifelong consequences of stunting. Consequentially, the DALYs attributed to premature mortality due to PEM were calculated for this analysis, omitting the years lived with disability calculation.

The ICUR of the intervention was calculated at I\$896.18. This result was obtained when discounted DALYs averted were applied. When non-discounted DALYs were used, the ICUR was more favorable (every unit of additional DALYs averted by intervention, over the DALYs averted with “NO intervention,” costs I\$117.76). Comparing the ICUR to the GDP per capita we conclude that the intervention is very cost-effective even when only considering the years of life lost (YLL) part of the DALY.



## Increase in Ghana's future GDP

The human capital approach was chosen for the cost-benefit analysis to understand the monetary cost of stunting to individuals and societies. It was chosen because in the evaluated modelled intervention the NGO is deciding whether to implement the intervention or not. The net benefit of the intervention is \$12,193,996.24 in 2014 international dollars. The incremental cost benefit ratio of 0.03 indicates that for every 3 cents the NGO invests in the backyard poultry intervention the return on the investment will be \$1 dollar in GDP gains. It is important to mention that the savings from Ghana's health expenditure due to stunting cases prevented was not considered in this work. Only market participation was taken into account. Even when only looking at the human capital approach to evaluate the benefit of the intervention, the results are very positive. In fact they encourage investment in the community based backyard intervention. The results of the cost-benefit analysis are a much better indication of the magnitude of the benefits of preventing stunting for individuals and entire societies. The net benefit and the incremental cost-benefit ratio presented in Table VIII are calculated both without discounting future gains in benefits and also when the sensitivity analysis is performed (with 3%, 5% and 7% discount rates on the future benefits if the stunting is reduced with the proposed intervention). We can see that in the sensitivity analysis the incremental cost-benefit ratios are 0.08, 0.17, and 0.32 respectively. This means the intervention will still be very cost-beneficial.

## Limitations

### *Limitations from extrapolating the impact of the intervention*

Several limitations were encountered when the economic evaluation was performed. The main limitation is the fact that economic evaluations are not traditionally performed in nutrition specific interventions. This fact made searching the literature for similar evaluations or even for evidence much harder than it should have been. While the INCAP study was a great source of information on the impact of supplementary protein interventions in infant mortality and stunting rates, the cause of the impact of the intervention is ambiguous. It is unknown whether it was solely due to the nutrition intervention or to possibly confounding factors. Both *atole* and *fresco* were distributed in community health centers, this could be a significant confounding factor for the reduction in mortality rates because the reduction might also be due to the fact that pregnant women and lactating mothers were more familiar with their healthcare facilities and services than they were before the intervention [39]. Another important limitation was the unit of randomization. Although the intervention was randomized, the unit of randomization was the village ( $n = 4$ ) as opposed to individual participants ( $n = 1,992$ ). Diminishing the statistical power of the intervention [40] forces researchers to look at the

impact of the intervention at the village level instead of at the individual level. It was decided to proceed with the data extrapolation from the INCAP study due to the multiple follow up studies that have been performed on the original cohort. The data obtained from more recent follow up studies has in fact been used by prestigious economists to model the impact of stunted intellectual and physical growth on individuals and their communities [20]. It was thought that using the study which all the data comes from, would result in values consistent with those found in the literature [20]. One of the models found an increase in average salary of 46% in males who participated in the intervention. This finding, however, was not observed in females, forcing the authors to go with a different model that used data from the same study. We decided to look instead at the per capita consumption of participants of both intervention and control groups. It is also imperative to mention that the INCAP study was performed over 45 years ago, which grants it the ability to have very rich longitudinal data that has been collected for over 40 year. This has made the data collected in recent years very rich and sophisticated. However, the originally collected data has caveats and in many cases is hard to find when one seeks to replicate estimates. Another important limitation to mention is the fact that only financial costs were used for this economic evaluation of intervention. Ideally, societal costs and economic costs would also be part of the economic evaluation. A final, but very important, limitation is that, although the intervention is targeted towards infants from six to twenty four months old, no one can guarantee that the protein – eggs will eventually make it to the infants' plates. In poor resource settings families often do not have enough food to feed their children therefore any supplementary food given to any member of the family is distributed equally among all the members of the family resulting in diluting the nutritional content of the foods and diminishing the impact of the nutrition intervention on the target population. In regards to this limitation, Ghanaian experts agree that eggs might be one of the best methods to provide protein to infants in resource poor settings. Unlike other types of protein, eggs can be added to stews, soups, and porridge making sure that at least some of it will reach all the members of the family. This is not possible with other types of proteins like chicken, beef or fish because, due to cultural factors, they are first served to adult males and might not ever make it to the plates of the infants who need them most.

### *Limitations from micro-costing*

Micro-costing was chosen as the costing method for this intervention because of the hypothetical nature of the community based backyard poultry intervention. However, micro-costing leads to collecting costs from several different sources, which introduces error and variability to the calculations. Costs were also obtained from different years. All the costs, however, were converted into 2014 values.

### Limitations from difference in the protein source of the intervention

The hypothetical community based backyard poultry intervention provides children in the intervention group with animal source protein while the intervention in the original study provided children with vegetable source protein. As mentioned previously, if the hypothetical intervention were to be implemented, the results should be greater according to recent scientific findings in the area of nutrition [41]. This implies that the extrapolated results from the INCAP intervention greatly underestimate the impact of the currently evaluated intervention.

### Conclusion

A broad economic evaluation was performed on the modelled community based backyard poultry intervention. The results from the different analyses clearly show mixed evidence with mostly positive results for the community based backyard poultry intervention. While the cost-effectiveness result for mortality was negative, all the other analyses are very positive. The human capital approach to cost-benefit analysis does the best job at showing that protein supplementation during the *window of opportunity* has great payoffs in the long run for both individuals and societies. When evaluating interventions that aim at reducing stunting it is important to remember that stunting is a silent crippler of individuals and societies. Several approaches should be used to evaluate interventions that could have great impact on the future of children and their countries. Extra steps need to be taken to ensure that interventions with the potential to make an impact on the future of children and entire societies are not overlooked due to initially unfavourable results. More research still needs to be done to prove the impact for individuals and societies of reducing stunting rates around the world.

### Acknowledgments

This work was made possible with the support of the Nutrition Innovation team at PATH in Seattle, USA. We would like to express our heartfelt gratitude to Nikki Kalra and Stephanie Potts for the first hand Ghana expertise they so kindly shared with the authors. We would like to thank Kimberly Amundson and Megan Parker for their nutritional insight on the appropriate protein type for the greatest health impact. Lastly, we want to thank Peiman Milani, Katharine Kreis, and Stephanie Zobrist for their support and encouragement while working on this subject.

### References

- Blössner M., Onis M. De., *Malnutrition: quantifying the health impact at national and local levels*, WHO, Geneva 2005 (WHO Environmental Burden of Disease Series, No 12).
- Chopra M., Galbraith S., Darnton-Hill I., *A global response to a global problem: The epidemic of overnutrition*, "Bull. World Health Organ." 2002; 80: 952–958, doi:10.2471/BLT.12.000412.
- Hoddinott J., Alderman H., Behrman J.R., Haddad L., Horton S., *The economic rationale for investing in stunting reduction*, "Matern. Child Nutr." 2013; 9 (S2): 69–82, doi:10.1111/mcn.12080.
- UNICEF, *A Report Card on Nutrition 2006*, [http://www.unicef.org/progressforchildren/2006n4/index\\_undernutrition.html](http://www.unicef.org/progressforchildren/2006n4/index_undernutrition.html); accessed: 2.10.2016.
- United Nations, Department of Economic and Social Affairs, *Population Division (2015). World Population Prospects: The 2015 Revision*, custom data acquired via website, <https://esa.un.org/unpd/wpp/Download/Standard/Population/>; accessed: 4.10.2016.
- Ghana Statistical Service (GSS), Ghana Health Service (GHS), *Ghana. Demographic and Health Survey 2014. Key indicators*, The DHS Program ICF International, Rockville, Maryland, USA 2015.
- UNICEF, *Strategy for Improved Nutrition of Children and Women in Developing Countries. A Policy Review*, UNICEF, New York, NY, USA 1990.
- Dewey K.G., Begum K., *Why stunting matters*, "A&T Tech. Br." 2010; 2: 1–7.
- Muennig P., Bounthavong M., *Cost-effectiveness analysis in health* Third Edit., Jossey-Bass, San Francisco 2016.
- Batura N., Hill Z., Haghparast-Bidgoli H., Lingam R., Colbourn T., Kim S. et al., *Highlighting the evidence gap: how cost-effective are interventions to improve early childhood nutrition and development?* "Health Policy Plan." 2014; 30 (6): 813–821, doi:10.1093/heapol/czu055.
- Grantham-McGregor S., Cheung Y.B., Cueto S., Glewwe P., Richter L., Strupp B., *Developmental potential in the first 5 years for children in developing countries*, "Lancet" 2007; 369 (9555): 60–70.
- Gowani S., Yousafzai A.K., Armstrong R., Bhutta Z.A., *Cost effectiveness of responsive stimulation and nutrition interventions on early child development outcomes in Pakistan*, "Ann. NY Acad. Sci." 2014; 1308: 149–161, doi:10.1111/nyas.12367.
- Sharieff W., Horton S., Zlotkin S., *Economic gains of a home fortification program: evaluation of "Sprinkles: from the providers perspective"*, "Can. J. Public Health" 2006; 97 (1): 20–23.
- Hoddinott J., Maluccio J.A., Behrman J.R., Flores R., Martorell R., *Effect of a nutrition intervention during early childhood on economic productivity in Guatemalan adults*, "Lancet" 2008; 371 (9610): 411–416.
- Heifer International, *About Heifer International 2016*, <http://www.heifer.org/about-heifer/index.html>; accessed: 13.05.2016.
- Heifer International, *Heifer International Empowering small-scale farmers*, Brochure on "Pass on the gift" programme, Little Rock AR, USA 2014.
- Prendergast A.J., Humphrey J.H., *The stunting syndrome in developing countries*, "Paediatr. Int. Child Health" 2014; 34 (4): 250–265, doi:10.1179/2046905514Y.0000000158.
- Homedes N., *The disability-adjusted life year (DALY) – definition, measurement, and potential use*. Human capital development and operations policy working papers; no.

- HCD 88 Washington DC: World Bank, <http://documents.worldbank.org/curated/en/482351468764408897/The-disability-adjusted-life-year-DALY-definition-measurement-and-potential-use>; accessed: 2.10.2016.
19. World Health Organisation, *Global Health Observatory data repository. Life Tables by Country-Ghana 2015*.
  20. Hodinott J., Rosegrant M., Torero M., *Hunger and malnutrition*, in: Lomborg B. ed., *Global Problems, Smart Solutions*, Cambridge University Press, New York 2013: 332–367.
  21. Moock P.R., Leslie J., *Childhood malnutrition and schooling in the Terai region of Nepal*, “J. Dev. Econ.” 1986; 20 (1): 33–52.
  22. Jamison D., *Childhood malnutrition and school performance in China*, “J. Dev. Econ.” 1986; 20: 299–309.
  23. Clarke N., Grantham-McGregor S., Powell C., *Health and nutrition predictors of school failure in Kingston, Jamaica*, “Ecol. Food Nutr.” 1990; 26: 1–11.
  24. Agarwal D.K., Upadhyay S.K., Tripathi A.M., Agarwal K.N., *Nutritional status, physical work capacity and mental function in school children*, UNICEF and Nutrition Foundation of India, New Delhi 1987. Sci. Rep. No 6.
  25. Florencio C., *Nutrition, health and other determinants of academic achievement and school-related behavior of grade one to grade six pupils*, University of the Philippines, Quezon City, Philippines 1988.
  26. Steegmann A.T., Datar F.A., Steegmann R.M., *Physical size, school performance, and visual-motor maturity in the Philippines*, “Am. J. Hum. Biol.” 1992; 4 (2): 247–252.
  27. Glewwe P., Jacoby H.G., King E.M., *Early childhood nutrition and academic achievement: a longitudinal analysis*, “J. Public Econ.” 2001; 81 (3): 345–368.
  28. Shariff Z.M., Bond J.T., Johnson N.E., *Nutrition and educational achievement of urban primary schoolchildren in Malaysia*, “Asia. Pac. J. Clin. Nutr.” 2000; 9 (4): 264–273.
  29. Hall A., Khanh L.N., Son T.H., Dung N.Q., Lansdown R.G., Dar D.T., Hanh N.T. et al. and Partnership for Child Development, *An association between chronic undernutrition and educational test scores in Vietnamese children*, “Eur. J. Clin. Nutr.” 2001; 55 (9): 801–804.
  30. Brito G.N., Onis Md., *Growth status, behavior and neuropsychological performance: a study of Brazilian school age children*, “Arq. Neuro-Psiquiatr.” 2004; 62 (4): 949–954.
  31. Ozmert E.N., Yurdakok K., Soysal S., Kulak-Kayikci M.E., Belgin E., Ozmert E., Laleli Y., Saracbası O., *Relationship between physical, environmental and sociodemographic factors and school performance in primary schoolchildren*, “J. Trop. Pediatr.” 2005; 51 (1): 25–32.
  32. Bogin B., MacVean R.B., *The relationship of socioeconomic-status and sex to body size, skeletal maturation, and cognitive status of Guatemala City schoolchildren*, “Child Dev.” 1983; 54 (1): 115–128.
  33. Black R.E., Victora C.G., Walker S.P., Bhutta A.Z., Christian P., de Onis M., Ezzati M., Grantham-McGregor S., Katz J., Martorell R., Uauy R., *Maternal and child undernutrition and overweight in low-income and middle-income countries*, “Lancet” 2013; 382 (9890): 427–451.
  34. Martorell R., Rivera J., Kaplowitz H., Pollitt E., *Long term consequences of growth retardation during early childhood*, in: Hernandez M., Argenta J. eds., *Human growth: basic and clinical aspects*, Elsevier Science Publishers BV, Amsterdam, Netherland 1992:143–149.
  35. Duflo E., *Schooling and labor market consequences of school construction in Indonesia: evidence from an unusual policy experiment*, “Am. Econ. Rev.” 2001; 91 (4): 795–813.
  36. Victora C.G., Adair L., Fall C., Hallal P.C., Martorell R., Richter L. et al., *Maternal and child undernutrition: consequences for adult health and human capital*, “Lancet” 2008; 371 (9609): 340–357, doi:10.1016/S0140-6736(07)61692-4.
  37. Hodinott J., Behrman J.R., Maluccio J.A., Melgar P., Qiu-suming A.R., Ramirez-Zea M. et al., *Adult consequences of growth failure in early childhood*, “Am. J. Clin. Nutr.” 2013; 98 (5): 1170–1178, doi:10.3945/ajcn.113.064584.
  38. Martorell R., Habicht J.P., Rivera J., *History and design of the INCAP longitudinal study (1969–1977) and its follow-up (1988–1989)*, “J. Nutr.” 1995; 125 (4 Suppl.): 1027S–1041S.
  39. Donald R., Martorell R., Rivera J., *Infant mortality rates before, during, and after a nutrition and health intervention in rural Guatemalan villages*, “Food Nutr. Bull.” 1992; 14: 215–220.
  40. Habicht J.P., Martorell R., Rivera J.A., *Nutritional impact of supplementation in the INCAP longitudinal study: analytic strategies and inferences*, “J. Nutr.” 1995; 125 (4 Suppl.): 1042S–1050S.
  41. Iannotti L.L., Lutter C.K., Bunn D.A., Stewart C.P., *Eggs: the uncracked potential for improving maternal and young child nutrition among the world’s poor*, “Nutr. Rev.” 2014; 72 (6): 355–368, doi:10.1111/nure.12107.

# Aspekty ekonomiczne i epidemiologiczne programu szczepień ochronnych przeciw krztuścowi w Polsce

Marta Banaszczyk-Ruś<sup>1</sup>, Marcin Czech<sup>2</sup>

<sup>1</sup> Warszawski Uniwersytet Medyczny

<sup>2</sup> Szkoła Biznesu Politechniki Warszawskiej

Adres do korespondencji: Marcin Czech, Szkoła Biznesu Politechniki Warszawskiej, ul. Koszykowa 79, 02-008, Warszawa, marcin.czech@biznes.edu.pl

## Abstract

### *Economic and epidemiological aspects of the immunisation program against pertussis in Poland*

The aim of this study is to evaluate the cost-effectiveness of vaccination against pertussis in epidemiological and economic terms. The estimation was based on available epidemiological data linked to an obligatory vaccination programme and morbidity in the Polish population. The economic evaluation included data on funds spent on the purchase of vaccines and the cost of outpatient and hospital treatment of patients spent from the state budget. The analysis of epidemiological data confirmed that the decrease in the level of vaccination of the population in combination with shortening the time of immunization resulted in an increase in the incidence of whooping cough. Economic analysis showed that the costs associated with the implementation of a vaccination program are lower than the direct costs of treatment of pertussis per patient. Vaccinations should be a fundamental tool in the fight against infectious diseases despite emerging reports of adverse events or evasion of vaccination. There are economic and epidemiological arguments for broadening the scope of vaccination against pertussis as well as extending the vaccination calendar by inclusion of currently recommended (not financed by the state) vaccines.

**Key words:** pertussis, epidemiology, immunisation, economic evaluation

**Słowa kluczowe:** krztusiec, epidemiologia, szczepienia ochronne, ocena ekonomiczna

## Wstęp

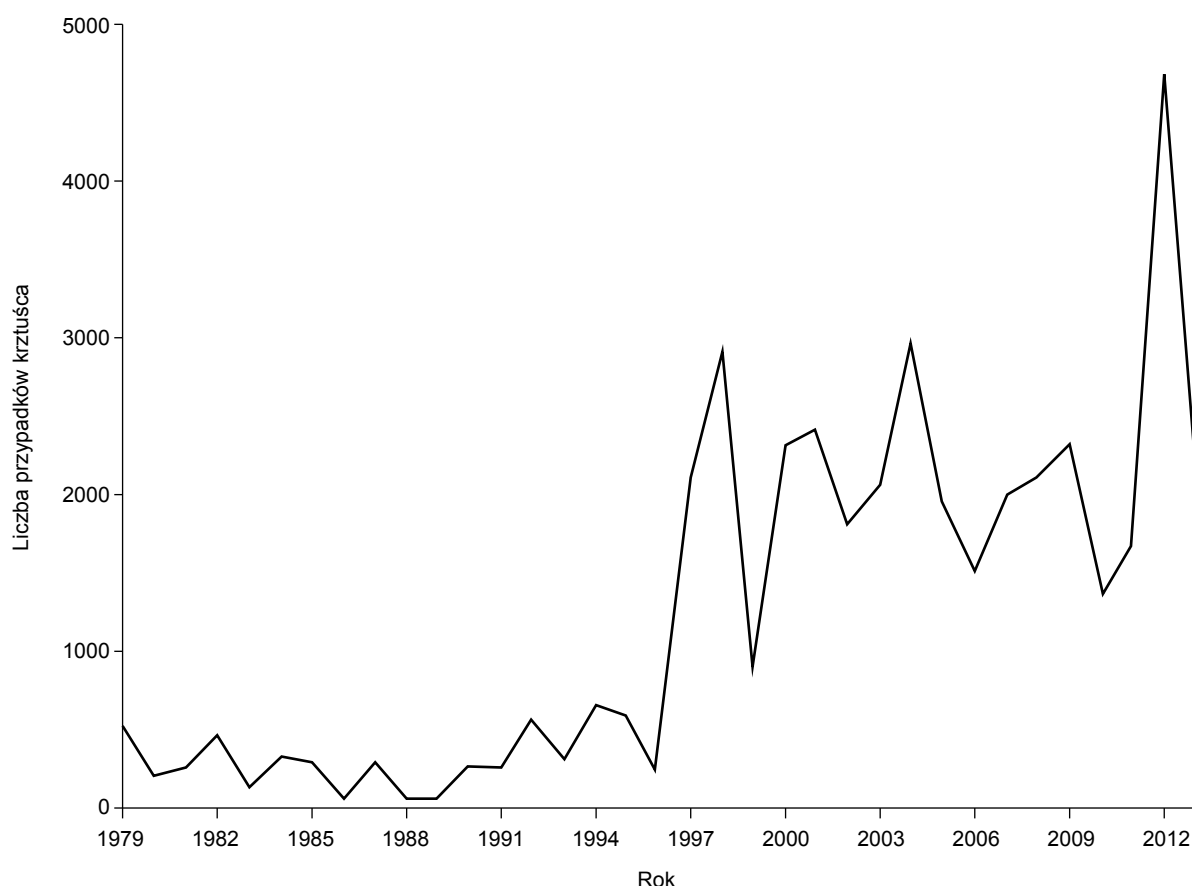
Krztusiec jest zakaźną chorobą wywołaną przez Gram-ujemną bakterię *Bordetella pertussis*. Zakażenie rozprzestrzenia się drogą kropelkową, a do zakażenia dochodzi u ponad 80% osób podatnych na tę chorobę [1, 2].

Według danych Światowej Organizacji Zdrowia (*World Health Organization* – WHO) tylko w roku 2008 odnotowano około 16 000 000 zachorowań na krztusiec, spośród których około 195 000 wśród dzieci zakończyło się zgonem, 95% przypadków zachorowań dotyczyło krajów rozwijających się [3, 4].

## Profilaktyka

Najlepszą metodą profilaktyki krztuśca są szczepienia ochronne. Głównym celem szczepień jest zapobieganie rozwojowi ostrej postaci krztuśca u niemowląt. W Polsce powszechne szczepienia ochronne zostały wprowadzone w roku 1960. Od tego czasu, zgodnie z kalendarzem szczepień obowiązkowych, powinny one zostać wykonane u dzieci szczepionką pełnokomórkową DTP w 2. miesiącu życia, 3.–4. miesiącu życia, 5.–6. miesiącu życia, 16.–18. miesiącu życia, a następnie w 6. roku życia szczepionką bezkomórkową (DTaP). Szczepienie przypominające dla

Wykres 1. Liczba zachorowań na krztusiec w latach 1979–2013 w Polsce



Źródło: Opracowanie własne na podstawie Koj S., Ługowski C., Niedziela T., Neoglikokoniugaty lipooligosacharydu *Bordetella pertussis* – nowe potencjalne składniki szczepionki przeciwkrztuścowej. „Postępy Hig. Med. Dosw.” (online) 2015; 69: 1013–1030; dostęp: 24.09.2016 [9].

dzieci w 6. roku życia zostało wprowadzone do kalendarza szczepień obowiązkowych w roku 2004 jako odpowiedź na wzrost notowanych zachorowań po ponad 30-letnim okresie intensywnych szczepień ochronnych.

Kalendarz szczepień na rok 2016 przewiduje po raz pierwszy również drugą dawkę szczepienia przypominającego w 14. roku życia szczepionką bezkomórkową (DTaP) [5].

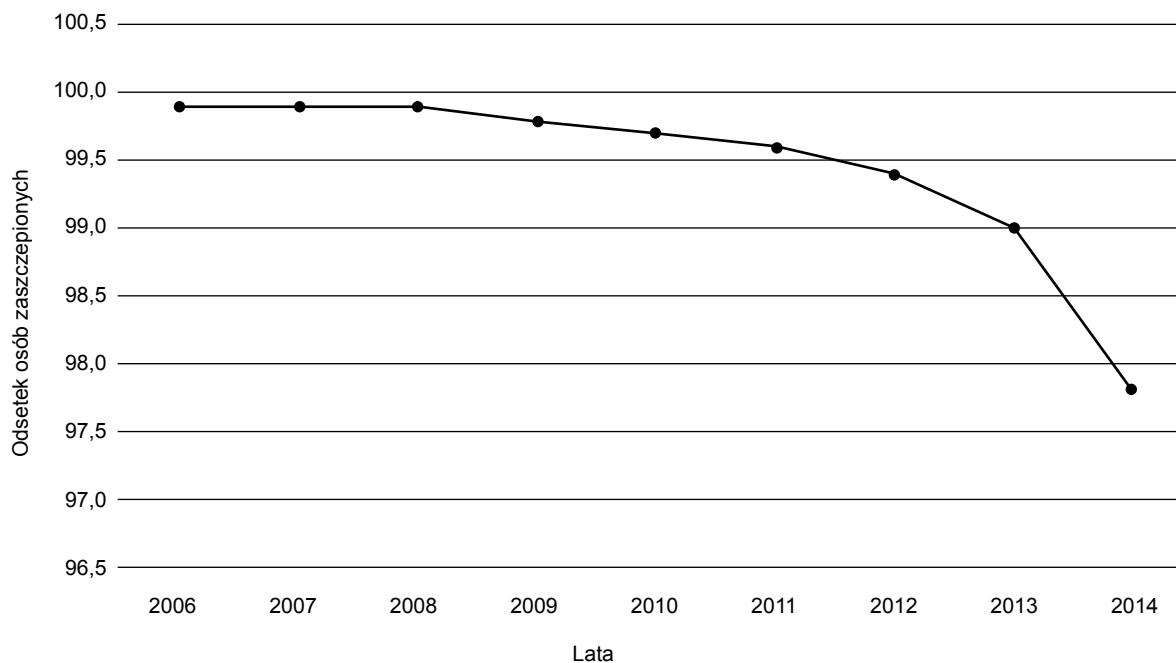
Obecnie tak w Polsce, jak i w innych krajach rozwiniętych krztusiec jest problemem zdrowotnym zarówno w populacji dzieci, jak i dorosłych ze względu na wzrost zachorowalności w tych grupach wiekowych. Wśród dzieci są to niemowlęta do 6. miesiąca życia oraz populacja dzieci po 10. roku życia. Wzrost zachorowalności wśród niemowląt wynika z faktu zakażenia przez osoby dorosłe, które są rezerwuarem *B. pertussis* i mogą przenosić zakażenia na innych, w tym na dzieci posiadające niższy poziom uodpornienia na choroby zakaźne [6]. Powodem wzrostu zachorowalności w starszych grupach populacji może być słabsze uodpornienie w tych grupach wiekowych na skutek spadku odporności wraz z upływem czasu od ostatniego szczepienia oraz moż-

liwe mutacje w genach *B. pertussis* [7]. Od połowy lat 90. XX wieku w Polsce liczba zachorowań na krztusiec zwiększyła się z kilkuset przypadków rocznie do kilku tysięcy rocznie i trend ten nadal się utrzymuje, co obrazuje **Wykres 1** [8].

Odporność swoista przeciw krztuścowi, mierzona poziomem przeciwciał, zanika po 6–12 latach od podania ostatniej dawki szczepionki i po około 15 latach po przechorowaniu krztuśca, stąd wzrost zachorowalności w krajach rozwiniętych dotyczy, oprócz niemowląt, również populacji nastolatków i osób dorosłych.

Wzrost poziomu zachorowalności na krztusiec spowodowany jest też faktem niedopełniania obowiązku szczepień przez opiekunów dzieci, celowym uchylaniem się od tego obowiązku, potęgowanym również przez działalność tak zwanych ruchów antyszczepionkowych przekonujących do nieszczepienia dzieci. Powody wskazywane przez osoby uchylające się od szczepień obowiązkowych są różne, począwszy od możliwości wystąpienia niepożądanych odczynów poszczepiennych, po niemedyczne względy światopoglądowe czy religijne. Trendy te obrazuje **Wykres 2**.

Wykres 2. Odsetek osób zaszczepionych przeciw krztuścowi w latach 2006–2014



Źródło: Opracowanie własne na podstawie Czarkowski M.P., Kondej B., Staszewska-Jakubik E., Cielebąk E. (red.), *Szczepienia ochronne w Polsce w roku 2015*, Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego – Państwowy Zakład Higieny – Zakład Epidemiologii, Główny Inspektorat Sanitarny – Departament Zapobiegania oraz Zwalczenia Zakażeń i Chorób Zakaźnych u Ludzi, Warszawa 2015, [http://www.wold.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2015/Sz\\_2015.pdf](http://www.wold.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2015/Sz_2015.pdf); dostęp: 24.09.2016 [10].

## Diagnostyka

Dalszy spadek poziomu zaszczepienia populacji będzie powodował wzrost zachorowalności na krztuście we wszystkich wspomnianych wcześniej grupach wiekowych.

Zgodnie ze standardami leczenia chorobę podejrzewa się na podstawie obrazu klinicznego (zwłaszcza w przypadku kaszlu utrzymującego się powyżej trzech tygodni). Rozpoznanie ustala się tylko na podstawie badań serolo-

gicznych lub mikrobiologicznych. Jeżeli obraz kliniczny choroby jest typowy i pacjent miał kontakt z chorym na krztuście potwierdzony laboratoryjnie, to rozpoznanie jest pewne i nie wymaga badania laboratoryjnego.

Zgodnie z zaleceniami ECDC (*European Centre for Disease Prevention and Control*) zakres badań laboratoryjnych wykonywanych w celu potwierdzenia zakażenia *B. pertussis* jest zależny od wieku pacjenta i czasu trwania objawów choroby. Szczegóły dotyczące możliwości diagnostycznych krztuśca przedstawia **Tabela I** [11].

Tabela I. Metody badań diagnostycznych stosowane w celu potwierdzenia zakażenia *B. pertussis*

Wiek pacjenta i czas trwania objawów	Zalecana metoda badania
Noworodki, niemowlęta	PCR i/lub hodowla*
Dzieci szczepione przeciwko krztuścowi, młodzież i dorośli – przy kaszlu trwającym < 2 tyg.	hodowla i PCR
Młodzież i dorośli z kaszlem trwającym < 3 tyg.	PCR i IgG przeciwko PT (ELISA)
Młodzież i dorośli z kaszlem trwającym ≥ 2–3 tyg.	IgG przeciwko PT (ELISA)

\* próbkę z nosogardła należy pobrać jak najszybciej po wystąpieniu objawów

IgG – immunoglobuliny G

PCR – łańcuchowa reakcja polimerazy

PT – toksyna krztuścowa

Źródło: Opracowanie własne na podstawie Guiso N., Berbers G., Fry N.K., He Q., Riffelmann M., Wirsing von König C.H. and EU Pertstrain group, *What to do and what not to do in serological diagnosis of pertussis: recommendations from EU reference laboratories*. „*Eur. J. Clin. Microbiol. Infect. Dis.*” 2011; 30: 307–312, [http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3034915/#\\_abstractid1015792title](http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3034915/#_abstractid1015792title); dostęp: 24.09.2016 [11].

**Tabela II.** Zalecane antybiotyki w leczeniu i profilaktyce poekspozycyjnej krztuśca według grup wiekowych wraz z ich dawkowaniem

Grupa wiekowa	Azytromycyna	Erytromycyna	Klarytromycyna	Kotrimoksazol*
< 1. m.ż.	lek zalecany 10 mg/kg m.c. 1 × dz. przez 5 dni (dostępne ograniczone dane nt. bezpieczeństwa stosowania)	nie jest preferowana; ryzyko IHPS u niemowląt; można stosować w razie niedostępności azytromycyny 40–50 mg/kg m.c./24 godz. w 4 dawkach podzielonych, przez 14 dni	nie jest zalecana (nie ma danych na temat bezpieczeństwa stosowania)	przeciwwskazany < 2. m.ż. (ryzyko wystąpienia <i>kernicterus</i> )
1.–5. m.ż.	10 mg/kg m.c./raz dziennie przez 5 dni	40–50 mg/kg m.c./24 godz. w 4 dawkach podzielonych, przez 14 dni	15 mg/kg m.c./24 godz. w 2 dawkach podzielonych przez 7 dni	U niemowląt w 2. m.ż.: trimetoprim 8 mg/kg m.c./24 godz., sulfametoksazol 40 mg/kg m.c./24 godz., w 2 dawkach podzielonych przez 14 dni
Niemowlęta (≥ 6. m.ż.) i dzieci	10 mg/kg m.c. w pierwszym dniu, następnie 5 mg/kg m.c. (maks. 500 mg) od 2. do 5. dnia, raz dziennie	40–50 mg/kg m.c./24 godz. (maks. 2 g/24 godz.) w 4 dawkach podzielonych, przez 14 dni	15 mg/kg m.c./24 godz. w 2 dawkach podzielonych (maks. 1 g/24 godz.) przez 7 dni	trimetoprim 8 mg/kg m.c./24 godz., sulfametoksazol 40 mg/kg m.c./24 godz., w 2 dawkach podzielonych przez 14 dni
Dorośli	500 mg w pierwszym dniu, następnie 250 mg od 2. do 5. dnia, raz dziennie	2 g/24 godz. w 4 dawkach podzielonych, przez 14 dni	1 g/24 godz. w 2 dawkach podzielonych przez 7 dni	trimetoprim 320 mg/24 godz., sulfametoksazol 1600 mg/24 godz. w 2 dawkach podzielonych przez 14 dni

\* Kotrimoksazol można zastosować jako lek alternatywny wobec makrolidów u chorych w 2. m.ż., u których występuje nadwrażliwość na makrolidy, ich nietolerancja lub w przypadku zakażenia rzadkim szczepem *Bordetella pertussis* opornym na makrolidy. IHPS (*Infantile Hypertrophic Pyloric Stenosis*) – niemowlęce przestawowe zwężenie odźwiernika.

Źródło: Opracowanie własne na podstawie *Medycyna Praktyczna, Interna*, <http://www.mp.pl/interna/chapter/B16.II.18.3.1>; data: 25.09.2016 [1].

## Leczenie krztuśca

Zgodnie ze schematami leczenia, niemowlęta należy leczyć w okresie do 6 tygodni od pojawienia się kaszlu, a chorych po ukończeniu pierwszego roku życia – do 3 tygodni. Zalecane leczenie polega na stosowaniu:

- 1) antybiotyków makrolidowych: azytromycyny, klarytromycyny;
- 2) kotrimoksazolu (trimetoprimu z sulfametoksazolem) – w przypadku uczulenia pacjenta na makrolidy. Szczegóły dotyczące dawkowania poszczególnych substancji znajdują się w **Tabeli II**.

Makrolidy są lekami z wyboru w leczeniu krztuśca u chorych po ukończeniu pierwszego roku życia. Azytromycyna stosowana jest u niemowląt; nie należy natomiast podawać dzieciom w tym wieku erytromycyny i klarytromycyny. Alternatywnie u dzieci od 2. miesiąca życia można podawać kotrimoksazol [1, 2].

## Koszty profilaktyki krztuśca

Zgodnie z zapisami ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych koszty związane z realizacją programu szczepień ochron-

nych pokrywane są z budżetu państwa. W przypadku krztuśca jest to koszt zakupu szczepionki wraz z kontrolną wizytą lekarską [12].

Koszt zakupu pojedynczej szczepionki zawierającej komponentę krztuścową wyniósł w 2013 roku: za szczepionkę DTP (pełnokomórkową) – 11,34 zł oraz za szczepionkę DTaP (bezkomórkową) – 25,00 zł [13].

Sumaryczny koszt umów podpisanych przez Ministerstwo Zdrowia na zakup szczepionek wyniósł w 2013 roku odpowiednio 5 670 000 zł (DTP) oraz 13 339 500 zł (DTaP). Dodatkowy koszt w wysokości 669 081,44 zł (75,60 zł za pojedynczą dawkę) stanowił zakup szczepionki dTaP ze zmniejszoną zawartością toksoidu błoniczego i komponenty krztuścowej, stosowanej w niektórych stanach klinicznych (zgodnie ze wskazaniem producenta szczepionki oraz wytycznymi załącznika do kalendarza szczepień ochronnych).

Należy przy tym podkreślić fakt, że podane powyżej koszty dotyczą uodpornienia szczepionką zawierającą w sobie trzy komponenty – toksoid błoniczy, tężcowy oraz antygeny *B. pertussis*, tak więc koszt wydatkowany na uodpornienie przeciwko jednej z chorób stanowi niejako jedną trzecią wartości szczepionki.

**Tabela III.** Koszty antybiotykoterapii według standardów leczenia w poszczególnych grupach wiekowych pokrywane z budżetu państwa dla roku 2013

Grupa wiekowa	Koszty leczenia poszczególnymi antybiotykami według standardu leczenia			
	azytromycyna	erytromycyna	klarytromycyna	kotrimoksazol*
Niemowięta < pierwszego m.ż.	od 14,47 zł do 25,22 zł	nie jest zalecana	nie jest zalecana	nie jest zalecany
Dzieci w wieku od 2. do 5. m.ż.	od 28,94 zł do 31,84 zł	brak kosztów dla budżetu	od 17,67 zł do 36,06 zł	12,81 zł
Dzieci w wieku od 6. m.ż. do roku życia	od 28,94 zł do 31,84 zł	brak kosztów dla budżetu	od 17,67 zł do 36,06 zł	12,81 zł
Dorośli	9,01 zł	od 18,00 zł do 25,92 zł	od 25,22 zł do 27,03 zł	62,19 zł

\*Produkt leczniczy złożony z dwóch substancji czynnych trimetoprimu i sulfametoksazolu.

Źródło: Opracowanie własne na podstawie Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 22 lutego 2013 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 marca 2013 r., Dziennik Urzędowy Ministra Zdrowia z dnia 22.02.2013, poz. 10, [http://dziennikmz.mz.gov.pl/DUM\\_MZ/2013/10/akt.pdf](http://dziennikmz.mz.gov.pl/DUM_MZ/2013/10/akt.pdf); dostęp: 24.09.2016 [15].

Summary koszt zakupu szczepionek zawierających w sobie komponentę krztuścową przez budżet w ramach powszechnego obowiązku szczepień wyniósł w 2013 roku 19 678 581,44 zł.

Istotnym aspektem profilaktyki krztuśca są niepożądane odczyny poszczepienne. Ich wystąpienie oraz ciężkość są uwarunkowane osobniczo, a częstość pojawiania się zależy od rodzaju zastosowanej szczepionki. W roku 2013 odnotowano 1127 przypadków niepożądanych odczynów poszczepiennych po szczepionkach zawierających komponentę krztuścową, na 1848 zgłoszonych przypadków ogółem.

Koszty leczenia są raczej znikome z uwagi na fakt, iż w większości przypadków są to odczyny, których leczenie, jeśli musi nastąpić, odbywa się ambulatoryjnie. W 2013 roku odnotowano dwa przypadki ciężkich niepożądanych odczynów poszczepiennych, które mogłyby kwalifikować się do leczenia szpitalnego, a co za tym idzie koszty poniesione na leczenie pokryte zostały z budżetu państwa.

### Koszty diagnostyki i leczenia krztuśca

Wszystkie koszty dotyczące diagnostyki i leczenia krztuśca zostały przedstawione wyłącznie z perspektywy płatnika publicznego. Szacunkowy koszt badań diagnostycznych w kierunku krztuśca w zależności od wieku pacjenta kształtuje się w granicach 30–110 zł *per capita* w przypadku niemowląt, noworodków i dzieci, natomiast w przypadku młodzieży i dorosłych w granicach 40–80 zł *per capita* [14].

Zgodnie z zaprezentowanymi standardami leczenia antybiotykoterapia jest powszechnie stosowaną metodą leczenia. Koszty zakupu produktów leczniczych pokrywa w znacznej części budżet państwa z uwagi na fakt ich refundacji. Zestawienie kosztów antybiotykoterapii zamieszczono w Tabeli III.

Koszt leczenia azytromycyną niemowląt < pierwszego miesiąca został ustalony przy założeniu wagi dziecka

4,25 kg, zgodnie z 50. centylem siatek centylowych dla dzieci w pierwszym miesiącu życia, zaokrąglony do wielkości opakowania, inne antybiotyki nie są zalecane z uwagi na wysokie ryzyko wystąpienia działań niepożądanych.

Koszt leczenia dzieci w wieku od 2. do 5. miesiąca życia został ustalony przy założeniu wagi dziecka między 5,5 kg a 7,5 kg, zgodnie z 50. centylem siatek centylowych dla dzieci w między 2. a 5. miesiącem życia, zaokrąglony do wielkości opakowania. Koszty leczenia erytromycyną nie stanowią wydatku dla budżetu państwa z uwagi na brak refundacji produktów leczniczych zawierających erytromycynę w postaciach farmaceutycznych przeznaczonych dla dzieci (syrop, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej).

Koszt leczenia dzieci w wieku od 6. miesiąca do pierwszego roku życia został oszacowany przy założeniu wagi dziecka między 8,0 kg a 10,0 kg, zgodnie z 50. centylem siatek centylowych dla dzieci w wieku między 6. miesiącem a pierwszym rokiem życia, zaokrąglony do wielkości opakowania. Koszty leczenia erytromycyną w tym przypadku nie stanowią wydatku dla budżetu państwa z uwagi na brak refundacji produktów leczniczych zawierających erytromycynę w postaciach farmaceutycznych przeznaczonych dla dzieci (syrop, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej).

Koszt farmakoterapii w odniesieniu do jednego pacjenta dorosłego został ustalony na podstawie dawkowania określonego w schemacie leczenia krztuśca z uwzględnieniem dostępnych dawek leku oraz wielkości opakowań.

Podane koszty obliczone zostały na podstawie limitów finansowania dla poszczególnych substancji czynnych zamieszczonych w wykazie leków refundowanych pomniejszone o poziom odpłatności dla pacjenta, który w przypadku wspomnianych antybiotyków wynosi 50%. Zakres wartości jest uzależniony od wielkości opakowania produktu leczniczego oraz postaci farmaceutycznej. Podane koszty obliczone zostały z uwzględnieniem wie-



**Tabela IV.** Dane dotyczące struktury zachorowań oraz warunków leczenia pacjentów z powodu krztuśca w 2013 roku

	Ogólna liczba pacjentów	Pacjenci pediatryczni	Pacjenci dorośli
Leczenie ambulatoryjne	1479	119	1360
Leczenie szpitalne	703	56	647
Ogółem	2182	175	2007

Źródło: Opracowanie własne na podstawie Czarkowski M.P., Cielebąk E., Staszewska-Jakubik E., Kondej B. (red.), *Choroby zakaźne i zatrucia w Polsce w roku 2014*, Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego – Państwowy Zakład Higieny – Zakład Epidemiologii, Główny Inspektorat Sanitarny – Departament Zapobiegania oraz Zwalczania Zakażeń i Chorób Zakaźnych u Ludzi, Warszawa 2015, [http://www.wold.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2014/Ch\\_2014.pdf](http://www.wold.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2014/Ch_2014.pdf); dostęp: 24.09.2016 [8].

**Tabela V.** Koszty diagnostyki i leczenia pojedynczego pacjenta pediatrycznego i dorosłego w 2013 roku

	Diagnostyka	Koszt produktów leczniczych	Sumaryczny koszt leczenia ambulatoryjnego	Leczenie szpitalne
Pacjenci pediatryczni	30–110 zł	6,41–18,03 zł	36,41–128,03 zł	3750–6000 zł
Pacjenci dorośli	40–80 zł	4,51–31,10 zł	44,51–111,10 zł	3750–6000 zł

Źródło: Opracowanie własne.

ku pacjenta i zalecanego dawkowania dla całej długości terapii [15].

Koszty leczenia obejmowały również leczenie szpitalne, zwłaszcza w przypadku niemowląt i dzieci, gdzie około 40% przypadków zachorowań wiązało się z hospitalizacją pacjenta. W roku 2013 odnotowano ogółem 703 hospitalizacje wśród chorych na krztusiec, co stanowiło 32,2 % wszystkich zachorowań [16]. Dzienny koszt leczenia dziecka na oddziale zakaźnym kształtował się w przedziale od 250 do 400 zł. Średni czas hospitalizacji w przypadku krztuśca to 15 dni. Koszt pobytu pacjenta w szpitalu wyniósł od 3750 zł do nawet 6000 zł, w zależności od wykonanych procedur medycznych i stanu klinicznego. Wartości te rosły, gdy pacjenci wymagali intensywnej opieki medycznej i zaistniała konieczność leczenia na oddziale intensywnej opieki medycznej [14]. Szczegółowe dane dotyczące struktury zachorowań oraz warunków leczenia pacjentów z powodu krztuśca w 2013 roku przedstawia **Tabela IV**.

Szacując koszty leczenia chorób, należy również ująć koszty pośrednie, takie jak spadek produktywności, czasowa absencja w pracy, która wiąże się z przebywaniem pacjenta na zwolnieniu lekarskim, stanowiące pokaźne koszty z uwagi na długi okres trwania choroby – 6–8 tygodni. W przypadku pacjentów pediatrycznych koszty pośrednie również występują z uwagi na konieczność

opieki nad chorym dzieckiem i zwolnienia lekarskie z tego tytułu dla opiekunów.

Liczba osób, u których wystąpiła choroba w 2013 roku, wyniosła 2182, z czego 92% stanowiły osoby dorosłe, a 8% dzieci. Populacja osób dorosłych wyniosła zatem 2007 osób, populacja dzieci 175 osób.

Ogólna liczba hospitalizacji z powodu krztuśca to 703 przypadki w 2013 roku. Zakładając, że dzieci stanowiły 8% wśród hospitalizowanych, a osoby dorosłe 92% (na podstawie ogólnej liczby przypadków krztuśca), można uznać, iż do szpitali z powodu krztuśca trafiło 56 dzieci oraz 647 osób dorosłych.

Pacjenci leczeni ambulatoryjnie to odpowiednio 1360 pacjentów dorosłych oraz 119 dzieci.

Szczegółowe dane dotyczące poszczególnych składowych kosztów leczenia pacjentów z powodu krztuśca przedstawiono w **Tabeli V**.

Najniższa wartość uwzględnia najniższe koszty diagnostyki i antybiotykoterapii, najwyższa natomiast zawiera najwyższe koszty diagnostyki, antybiotykoterapii oraz leczenia szpitalnego.

Ogólne koszty poniesione przez budżet państwa na leczenie krztuśca można oszacować w następującym zakresie od 2 701 116,39 zł do 4 384 331,57 zł. Szczegóły dotyczące podziału kosztów przedstawiono w **Tabeli VI**. Koszty te oszacowano na podstawie obliczonych kosztów

**Tabela VI.** Ogólne koszty diagnostyki i leczenia pacjentów pediatrycznych i dorosłych w roku 2013 finansowane z budżetu państwa

	Sumaryczny koszt leczenia ambulatoryjnego	Sumaryczny koszt leczenia szpitalnego	Ogólne koszty leczenia pacjentów chorujących na krztusiec
Pacjenci pediatryczni	od 4332,79 zł do 15 235,57 zł	od 210 000 zł do 336 000 zł	od 2 701 116,39 zł do 4 384 331,57 zł
Pacjenci dorośli	od 60 533,60 zł do 151 096,00 zł	od 2 426 250 zł do 3 882 000 zł	

Źródło: Opracowanie własne.

**Tabela VII.** Struktura zachorowań na krztusiec ludności w 1960 oraz w 2013 roku wraz z teoretyczną liczbą zachorowań przy zaniechaniu szczepień

Wyszczególnienie	Wartość
Liczba ludności w 1960 roku	29 700 000
Liczba zachorowań w 1960 roku	95 968
Liczba ludności w 2013 roku	38 495 700
Realna liczba zachorowań w 2013 roku	2182
Teoretyczna liczba zachorowań w 2013 roku przy zaniechaniu szczepień*	124 389

\* Teoretyczna liczba zachorowań w 2013 roku została obliczona na podstawie danych o zachorowaniach dla roku 1960 z uwzględnieniem liczby ludności w Polsce w roku 2013.

Źródło: Opracowanie własne na podstawie Czarkowski M.P., Kondej B., Staszewska-Jakubik E., Cielebąk E. (red.), *Szczepienia ochronne w Polsce w roku 2015*, Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego – Państwowy Zakład Higieny – Zakład Epidemiologii, Główny Inspektorat Sanitarny – Departament Zapobiegania oraz Zwalczania Zakażeń i Chorób Zakaźnych u Ludzi, Warszawa 2015, [http://www.wold.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2015/Sz\\_2015.pdf](http://www.wold.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2015/Sz_2015.pdf); dostęp: 24.09.2016 [10]; Kostrzewski J., *Choroby zakaźne w Polsce i ich zwalczanie w latach 1919–1962*, PZWL, Warszawa 1964 [17].

**Tabela VIII.** Udział dorosłych i dzieci w strukturze zachorowań

Wyszczególnienie	Wartość
Liczba chorujących dorosłych w roku 2013	2007
Liczba chorujących dzieci w roku 2013	175
Liczba chorujących dorosłych w roku 1960	1267
Liczba chorujących dzieci w roku 1960	94 701
Teoretyczna liczba chorujących dorosłych w roku 2013 przy zaniechaniu szczepień*	1642
Teoretyczna liczba chorujących dzieci w roku 2013 przy zaniechaniu szczepień**	122 747

\* Teoretyczna liczba chorujących dorosłych stanowi 1,32% – procent obliczony na podstawie udziału poszczególnych grup wiekowych w strukturze zachorowań w roku 1960.

\*\* Teoretyczna liczba chorujących dzieci stanowi 98,68% – procent obliczony na podstawie udziału poszczególnych grup wiekowych w strukturze zachorowań w roku 1960.

Źródło: Opracowanie własne na podstawie Czarkowski M.P., Cielebąk E., Staszewska-Jakubik E., Kondej B. (red.), *Choroby zakaźne i zatrucia w Polsce w roku 2014*, Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego – Państwowy Zakład Higieny – Zakład Epidemiologii, Główny Inspektorat Sanitarny – Departament Zapobiegania oraz Zwalczania Zakażeń i Chorób Zakaźnych u Ludzi, Warszawa 2015, [http://www.wold.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2014/Ch\\_2014.pdf](http://www.wold.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2014/Ch_2014.pdf); dostęp: 24.09.2016 [8]; Kostrzewski J., *Choroby zakaźne w Polsce i ich zwalczanie w latach 1919–1962*, PZWL, Warszawa 1964 [17].

leczenia pacjentów pomnożonych przez liczbę chorych, zgodnie z informacją zamieszczoną w Tabeli IV. Zakres wartości wynika ze stosowanych procedur medycznych w przypadku hospitalizacji, jak również ze stosowanej antybiotykoterapii, zarówno w leczeniu ambulatoryjnym, jak i szpitalnym. Należy podkreślić, iż oszacowany koszt leczenia szpitalnego w przypadku chorych dorosłych mógł zostać zawyżony z uwagi na to, iż w przypadku krztusca leczenie pacjenta pediatrycznego jest dużo trudniejsze, a co za tym idzie generuje wyższe koszty.

Koszty poniesione przez budżet na profilaktykę (szczepionki) wyniosły 19 678 581,44 zł w 2013 roku, koszty leczenia wyniosły od 2 701 116,39 zł do 4 384 331,57 zł.

Należy przy tym zwrócić uwagę na fakt, iż liczba osób zaszczepionych z rocznika 2013 wyniosła 354 389 osób, natomiast liczba osób chorujących na krztusiec to zaledwie 2182 osoby.

## Teoretyczne koszty zaniechania szczepień ochronnych

W celu oszacowania liczby zachorowań warto odnieść się do czasu sprzed wprowadzenia szczepień ochronnych, czyli roku 1960. Założenia estymacji oraz koszty ich leczenia przedstawiono poniżej w **Tabelach VII i VIII**. W modelu teoretycznym za dzieci uznano pacjentów do 15. roku życia włącznie, za dorosłych uznano pacjentów powyżej 15. roku życia. Realne dane dotyczące struktury zachorowań w poszczególnych grupach wiekowych z roku 2013 posiadają taką samą strukturę i takie same kryteria przyjęto dla modelu teoretycznego.

W modelu teoretycznym możliwe jest obliczenie kosztów leczenia ambulatoryjnego dla pacjentów pediatrycznych oraz dorosłych. Z uwagi na brak danych i brak możliwości ich ekstrapolacji z innych źródeł nie jest możliwe precyzyjne obliczenie teoretycznych kosztów leczenia szpitalnego. Można teoretycznie oszacować liczę hospi-

**Tabela IX.** Zachorowalność na krztusiec w Anglii i Walii w 1952 roku oraz obliczony na tej podstawie udział poszczególnych grup wiekowych w Polsce w 1960 roku

Grupa wiekowa (lata życia)	Liczba zachorowań (Anglia/Walia) (tys.)	Udział procentowy (%)	Obliczona liczba zachorowań w Polsce (tys.)
	114 586	100,00	95 968*
0–1	10 208	8,91	8551
1–4	62 433	54,49	52 293
5–9	38 872	33,92	32 552
10–14	1559	1,36	1305
15–24	403	0,35	336
25+	1111	0,97	931

\* Rzeczywista liczba przypadków krztusca odnotowana w roku 1960.

Źródło: Opracowanie własne na podstawie Kostrzewski J., *Choroby zakaźne w Polsce i ich zwalczanie w latach 1919–1962*, PZWL, Warszawa 1964 [17].

**Tabela X.** Koszty leczenia pacjentów przy teoretycznym zaniechaniu szczepień ochronnych (estymacja dla 2013 roku)

	Sumaryczny koszt leczenia ambulatoryjnego	Sumaryczny koszt leczenia szpitalnego*
Pacjenci pediatryczni	od 4 469 218,27 zł do 15 715 298,41 zł	od 148 218 750,00 zł do 237 150 000,00 zł
Pacjenci dorośli	od 73 085,42 zł do 182 426,20 zł	

\* Przy założeniu liczby pacjentów hospitalizowanych na poziomie 32,2% całej populacji chorujących (czyli 39 525 osób) bez podziału na grupy wiekowe pacjentów.

Źródło: Opracowanie własne.

talizacji, która wynosi około 32,2% chorującej populacji w roku 2013 i na jej podstawie oszacować teoretyczny koszt leczenia szpitalnego, brak natomiast danych dotyczących zarówno liczby hospitalizacji w roku 1960, jak i podziału na hospitalizacje wśród dzieci i dorosłych, tak jak zostało to przedstawione dla roku 2013 [16]. Należy przy tym podkreślić, iż różnica między najniższym kosztem leczenia szpitalnego między pacjentem pediatrycznym a dorosłym wynosi 7,20 zł na korzyść dorosłego, różnica w kosztach maksymalnych wynosi 3,87 zł na korzyść pacjenta pediatrycznego. Zatem szacunek taki, w którym zakłada się, iż 32,2% wszystkich pacjentów trafi do szpitala (bez rozbicia na grupy pediatryczną i dorosłych) i będzie leczone z powodu krztusca, w całościowych kosztach nie jest obciążony dużym błędem, zważywszy na niewielkie różnice w kosztach leczenia różnych grup chorych.

Liczba osób chorujących na krztusiec w Polsce w 1960 roku (rok wprowadzenia obowiązkowych szczepień ochronnych) wyniosła 95 968 przy ogólnej populacji ludności Polski wynoszącej 29,7 miliona, co daje wskaźnik zapadalności na poziomie 325,5 na 100 000 mieszkańców. Przy obecnym poziomie zapadalności, który w 2013 roku wyniósł 5,67 na 100 000 mieszkańców, liczba zachorowań wyniosła 2182 osoby przy liczebności populacji 38 496 000.

Z uwagi na brak danych dotyczących struktury wiekowej zachorowań w Polsce w tym czasie do oceny tego elementu zastosowano teoretyczny procentowy rozkład oparty na dostępnych danych z Walii i Anglii. Zestawie-

nie udziału poszczególnych grup wiekowych w strukturze zachorowań w Walii i Anglii przedstawiono w Tabeli IX. Tabela ta zawiera również estymację procentowego udziału poszczególnych grup wiekowych na terytorium Polski przy założeniu, że liczba zachorowań wyniosła 95 968 osób.

Liczba dzieci i dorosłych obliczona została na podstawie procentowego udziału poszczególnych grup wiekowych dla okresu przed wprowadzeniem powszechnych szczepień ochronnych przeciw krztuścowi w roku 1960. Szczegóły dotyczące teoretycznego rozkładu pacjentów zamieszczono w Tabelach VII i VIII. Należy zwrócić szczególną uwagę na to, iż struktura zachorowań przy zaniechaniu szczepień ponownie ulegnie odwróceniu, i to w grupie najmłodszych osób będzie największy procent zachorowań, co również bezpośrednio zwiększa koszty leczenia.

Uwzględniając dane dotyczące liczby zachorowań zawarte w Tabeli VII oraz ich rozkład w populacji pacjentów pediatrycznych i dorosłych z Tabeli VIII, koszty leczenia krztusca opisane w powyższym modelu teoretycznym będą kształtować się tak, jak to przedstawiono w Tabeli X.

### Zmiana strategii prowadzenia szczepień ochronnych

Z przeprowadzonej analizy wynika, iż stosowanie szczepień ochronnych jest uzasadnione pod względem epidemiologicznym, gdyż pozwala na ograniczenie za-

padalności (w Polsce zapadalność na krztusiec wyniosła w 2013 roku 5,7 na 100 000 mieszkańców [18]) oraz utrzymanie jej na bardzo niskim poziomie. Szczepienia ochronne i ich powszechne stosowanie ma również uzasadnienie ekonomiczne, gdyż ogranicza koszty wydatkowane na leczenie chorób zakaźnych. Biorąc pod uwagę doniesienia o tym, że odporność swoista zanika po około 6–10 latach od podania ostatniej dawki przypominającej, należy rozważyć nowe strategie prowadzenia szczepień ochronnych przeciwko krztuścowi. Rok 2016 jest pierwszym, w którym zgodnie z kalendarzem obowiązkowych szczepień ochronnych dawkę przypominającą otrzymują dzieci w wieku 14 lat. Pozostaje jednak nadal nierozwiązana kwestia przenoszenia zakażenia na niemowlęta przez dorosłych będących w bezpośrednim kontakcie z dzieckiem. Rozwiązaniem mogłoby być szczepienie dorosłych mających kontakt z niemowlętami [7].

## Podsumowanie

Koszty bezpośrednie ponoszone z tytułu leczenia pacjenta znacznie przewyższają koszty zakupu szczepionki i uodpornienia pacjenta. Szczepienie pozostaje zatem najbardziej dostępną i najtańszą metodą zapobiegania chorobie zakaźnej, jaką jest krztusiec.

Szczepienia ochronne stosowane w skali globalnej powodują powstanie odporności zbiorowiskowej, dzięki której możliwe jest utrzymanie zapadalności na poszczególne choroby zakaźne na bardzo niskim poziomie. Zakłócenie odporności zbiorowiskowej przez uchylanie się od obowiązku szczepień z różnych powodów może doprowadzić do nawrotu epidemii ze wszystkimi konsekwencjami. Dlatego tak ważne jest zarówno z epidemiologicznego, jak i ekonomicznego punktu widzenia dopełnienie obowiązku wykonywania szczepień ochronnych, przynajmniej na takim poziomie, jaki przewiduje kalendarz obowiązkowych szczepień ochronnych.

## Piśmiennictwo

1. Medycyna Praktyczna, *Interna*, <http://www.mp.pl/interna/chapter/B16.II.18.3.1>; dostęp: 25.09.2016.
2. Tiwari T., Murphy T.V., Moran J., *Stosowanie leków przeciwbakteryjnych w leczeniu i profilaktyce poekspozycyjnej krztuśca*. Wytoczne *Centers for Disease Control and Prevention* (06.11.2006), <http://www.mp.pl/artykuly/29477,ostosowanie-lekow-przeciwbakteryjnych-w-leczeniu-i-profilaktyce-poekspozycyjnej-krztusca-wytoczne-centers-for-disease-control-and-prevention>; dostęp: 24.09.2016.
3. Łętowska I., Grzesiowski P., Walory J., *Nowe trendy w epidemiologii i immunoprofilaktyce krztuśca*, „Borgis – Nowa Medycyna” 1999; 9, <http://www.czytelniamedyczna.pl/1459,nowe-trendy-w-epidemiologii-i-immunoprofilaktyce-krztusca.html>; dostęp: 24.09.2016.
4. World Health organization (WHO), *Immunization, Vaccines and Biologicals – pertussis last update 21.06.2011*, <http://www.who.int/immunization/topics/pertussis/en/>; dostęp: 24.09.2016.
5. Komunikat Głównego Inspektora Sanitarnego z dnia 16 października 2015 r. w sprawie Programu Szczepień Ochronnych na rok 2016, [http://dziennikmz.mz.gov.pl/DUM\\_MZ/2015/63/akt.pdf](http://dziennikmz.mz.gov.pl/DUM_MZ/2015/63/akt.pdf); dostęp: 24.09.2016.
6. Koton-Czarnecka M., *Wzrasta liczba zachorowań na krztusiec* (08.04.2010), [http://pulsmedycyny.pl/2584457,18920,wzrasta-liczba-zachorowan-na-krztusiec?utm\\_source=copyPaste&utm\\_medium=referral&utm\\_campaign=Chrome](http://pulsmedycyny.pl/2584457,18920,wzrasta-liczba-zachorowan-na-krztusiec?utm_source=copyPaste&utm_medium=referral&utm_campaign=Chrome); dostęp: 24.09.2016.
7. Ślusarczyk J., *Sytuacja epidemiologiczna krztuśca, błonicy, tężca i poliomyelitis w Polsce, innych krajach Unii Europejskiej i na świecie – cz. 1*, dostęp: 11.05.2010, <http://www.mp.pl/pediatrics/artykuly-wytoczne/artykuly-przegladowe/59649,sytuacja-epidemiologiczna-krztusca-blonicy-tezca-i-poliomyelitis-w-polsce-innych-krajach-unii-europejskiej-i-na-swiecie-cz-1>; dostęp: 24.09.2016.
8. Czarkowski M.P., Cielebąk E., Staszewska-Jakubik E., Kondej B. (red.), *Choroby zakaźne i zatrucia w Polsce w roku 2014*, Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego – Państwowy Zakład Higieny – Zakład Epidemiologii, Główny Inspektorat Sanitarny – Departament Zapobiegania oraz Zwalczenia Zakażeń i Chorób Zakaźnych u Ludzi, Warszawa 2015, [http://wwwold.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2014/Ch\\_2014.pdf](http://wwwold.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2014/Ch_2014.pdf); dostęp: 24.09.2016.
9. Koj S., Ługowski C., Niedziela T., *Neoglikokoniugaty lipooligosacharydu Bordetella pertussis – nowe potencjalne składniki szczepionki przeciwkrztuścowej*, „Post. Hig. Med. Dosw.” (online) 2015; 69: 1013–1030; dostęp: 24.09.2016.
10. Czarkowski M.P., Kondej B., Staszewska-Jakubik E., Cielebąk E. (red.), *Szczepienia ochronne w Polsce w roku 2015*, Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego – Państwowy Zakład Higieny – Zakład Epidemiologii, Główny Inspektorat Sanitarny – Departament Zapobiegania oraz Zwalczenia Zakażeń i Chorób Zakaźnych u Ludzi, Warszawa 2015, [http://wwwold.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2015/Sz\\_2015.pdf](http://wwwold.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2015/Sz_2015.pdf); dostęp: 24.09.2016.
11. Guiso N., Berbers G., Fry N.K., He Q., Riffelmann M., Wirsing von König C.H. and EU Pertstrain group, *What to do and what not to do in serological diagnosis of pertussis: recommendations from EU reference laboratories*, „Eur. J. Clin. Microbiol. Infect. Dis.” 2011; 30: 307–312, [http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3034915/#\\_\\_abstractid1015792title](http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3034915/#__abstractid1015792title); dostęp: 24.09.2016.
12. Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. 2004 Nr 210 poz. 2135 z późn. zm.), <http://isap.sejm.gov.pl/DetailsServlet?id=WDU20042102135>; dostęp: 24.09.2016.
13. Dane otrzymane z Głównego Inspektoratu Sanitarnego na temat „Realizacji i finansowania PSO w latach 2011–2013” (dane aktualne na dzień 20.01.2015) w ramach Ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej.
14. Molendowska D., *Koszty zaniechania szczepień ochronnych przeciw krztuścowi*. Praca dyplomowa (nieopublikowana) 2016 r.
15. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 22 lutego 2013 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 marca 2013 r. Dziennik

- Urządowy Ministra Zdrowia z dnia 22.02.2013, poz. 10, [http://dziennikmz.mz.gov.pl/DUM\\_MZ/2013/10/akt.pdf](http://dziennikmz.mz.gov.pl/DUM_MZ/2013/10/akt.pdf); dostęp: 24.09.2016.
16. Czarkowski M.P., Cielebąk E., Kondej B., Staszewska E. (red.), *Choroby zakaźne i zatrucia w Polsce w roku 2013*, Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego – Państwowy Zakład Higieny – Zakład Epidemiologii, Główny Inspektorat Sanitarny – Departament Zapobiegania oraz Zwalczenia Zakażeń i Chorób Zakaźnych u Ludzi, Warszawa 2014, [http://wwwold.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2013/Ch\\_2013.pdf](http://wwwold.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/2013/Ch_2013.pdf); dostęp: 24.09.2016.
17. Kostrzewski J., *Choroby zakaźne w Polsce i ich zwalczanie w latach 1919–1962*, PZWL, Warszawa 1964.
18. Paradowska-Stankiewicz I., Rudowska J., *Krztusiec w Polsce w 2013 roku*, „Przeł. Epidemiol.” 2015; 69: 885–887, [file:///C:/Users/User/Downloads/KRZTUSIEC\\_PL\\_885\\_-\\_887%20\(3\).pdf](file:///C:/Users/User/Downloads/KRZTUSIEC_PL_885_-_887%20(3).pdf); dostęp: 25.09.2015.

# The Effects of Brand-Generic Substitution in Antiepileptic Treatment

Beata Tyszko<sup>1</sup>, Anna Staniszevska<sup>2</sup>

<sup>1</sup>Public Health graduated, Faculty of Health Sciences, Medical University of Warsaw

<sup>2</sup>Department of Experimental and Clinical Pharmacology, Medical University of Warsaw

*Address for correspondence:* Beata Tyszko, Wileńska 13/1, 05-200 Wołomin, tel. +48 502879287, tyszko.b@gmail.com

## Abstract

The chronic character of the disease has a significant impact on expenses borne by individual patients and by the health care system. Patients diagnosed with epilepsy need a long-term treatment, which is often expensive. In order to minimize the costs, doctors are increasingly turning to prescribing cheaper generic drugs. On the one hand, from an economic perspective, such a solution is cost-effective; on the other hand, the choice of an inadequate treatment may have serious consequences for the patient's health. Patients using drugs with a narrow therapeutic index should be careful because of differences in bioequivalence of medicinal products. An inadequate alteration of the treatment for epilepsy, either by replacing the original drug with a generic one or by replacing one generic drug with another, may adversely affect the patient's condition. It is important, then, that therapeutic decisions should not be guided chiefly by considerations of cost reduction for the patient, but first of all by possible future health effects.

**Key words:** epilepsy, treatment, antiepileptic drugs, generic drugs, generic substitution

**Słowa kluczowe:** padaczka, leczenie, leki przeciwpadaczkowe, leki generyczne



Ministerstwo Nauki  
i Szkolnictwa Wyższego

Przygotowanie i edycja anglojęzycznych wersji publikacji finansowane w ramach umowy 914/P-DUN/2016 ze środków Ministra Nauki i Szkolnictwa Wyższego przeznaczonych na działalność upowszechniającą naukę.

## Introduction

Recent years have seen major changes on the pharmaceutical market. These are due to such factors as population aging, easier access to health care in the developing countries and a growing number of therapeutic products no longer under patent protection, with relatively few new drugs being released onto the market [1].

The drugs available on the Polish market fall into two categories: innovator and generic drugs. The former are original products, marketed for the first time under a brand name, which are protected by patents good for many years. They will have passed lengthy and costly clinical trials to prove their effectiveness, quality and safety. The other category, i.e. generic drugs, are substitute drugs produced by pharmaceutical firms upon the expiry of all the exclusive rights and usually registered under a new name of their own. They contain the same amount of the active ingredient and are administered by the same route, and they will have been developed with

a view to ensuring interchangeability with the reference drug product [2].

The innovator and generic medicines should have comparable therapeutic efficacy and should be equally safe. However, some authors question that assumption with regard to medications with a narrow therapeutic index. There are more and more frequent published reports of an increasing incidence of epileptic seizures after the switch from an original product to a substitute drug [3–5]. There have also been cases of deterioration in patients' health after the reverse switch of drugs, or after the substitution of one generic drug for another. It follows from this that in the case of drugs with a narrow therapeutic index the bioequivalence of generic drugs may be different and their evaluation is either insufficient or incorrect. In addition, the acceptable deviations from the confidence interval in the bioequivalence studies of generics, amounting to 20–25%, are considerably larger than those expected of original drugs, which cannot exceed  $\pm 5\%$ .

Some specialists claim that the research results regarding generic drugs are unreliable on account of extremely small numbers of patients involved. The innovator therapeutic product and the generic contain identical doses of the same active ingredient, so the change should not be perceptible to the patient. The only perceptible difference should be the amount of money saved by the purchase of the generic drug, because of its lower price [6].

### Similarities and differences between innovator and generic drugs

Generic drugs are frequently, and not without reason, referred to as substitutes for brand-name drugs. They are defined as such because of the great similarity between the two types of products. They contain the same active ingredient, have the same form, dose, indications and route of administration. They exhibit fundamental similarities in bioavailability and pharmacological effects. They are equally effective and equally safe. However, they may look different. The generic drug may have a different size, shape or colour, but these features have no essential effect on its action. However, what can be a matter of concern is another difference, due to the presence of excipients added to the generic drugs. These are added when there is no risk that they will change the pharmacological properties of the drug or adversely affect its effectiveness [6].

Research on original drugs is a complex and time-consuming process requiring appropriate scientific, technological, organizational and, above all, financial resources. It involves a high risk of failure for the pharmaceutical companies, as only a small percentage of potentially therapeutic compounds are subject to clinical trials, and subsequently only one in five is registered and made generally available. That is why only a very few companies, chiefly international ones, are capable of engaging in drug development [7].

In contrast to the costly and lengthy clinical research (phases I–III) required for an innovator drug, in order to prove the safety and efficacy of a generic drug it is enough to carry out a bioequivalence study. If the substitute drug will be administered under the same regime as the original product, it is only necessary to demonstrate, on the basis of appropriate research, that the two preparations are bioequivalent, that is to say, that their formulas are either equivalent or alternative and, when administered at the same dose of the active ingredient, their bioavailability, i.e. the rate and extent of their absorption, is close enough to ensure the same degree of efficacy and safety [8].

Besides determining the similarities and differences in the properties of drugs and in their production processes, it is also necessary to consider their registration procedures. Whether original or generic, a newly introduced medication has to gain the approval of an administrative drugs agency. In Europe the relevant institutions are the European Medicines Agency (EMA) if the assessment is made at the central level, and the national agencies

when dealing with the individual countries. The Polish institution is Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (URPLW MiPB). In the United States the assessment is carried out by the Food and Drug Administration (FDA) [9].

In the process of registration of an innovator therapeutic product a pharmaceutical company must present the complete record of its detailed clinical and pre-clinical research. The producers of generic preparations face a much easier task at this stage. Since these drugs contain long well-known active ingredients, the proof of their safety, efficacy and quality is based on bioequivalence research only. Such data are much faster and certainly much less expensive to collect than in the case of innovator drugs. Owing to that, the producers of generic preparations are able to save enormous costs as well as gaining time. It is estimated that the mean duration of work on the development of an innovator drug is about 10–12 years, while in the case of a generic drug it is decidedly shorter, from 2 to 5 years [6].

Despite the considerable amounts of time saved in the development of generic drugs, it will be worthwhile to focus on the difficulties encountered by their producers. The main obstacle is of course the 20–25 year patent protection of the original drugs. In fact, innovator therapeutic products can be protected by multiple patents, their number sometimes reaching 20 to 40 or even many more. According to the data of the European Commission, there exists a therapeutic product protected by as many as 1,300 different patents [6, 9].

Another point of difference between the innovator drugs and their substitutes is their price. In Poland, generic products account for almost three quarters of the pharmaceutical market [10]. According to a report entitled *The contribution of the innovative pharmaceutical industry to the Polish economy (Wkład innowacyjnego przemysłu farmaceutycznego w rozwój polskiej gospodarki)* Poland is among the leading European countries in the sale of generics and it has one of the lowest levels of generic drug prices. The average price of a generic in this country is 2.6 times less than the price of a brand-name drug [11]. For comparison, in Holland the factor is 6.5 [11]. Thus the difference in drug prices is very big. The huge gap between the prices of original medicines and their substitutes results first of all from the fundamental differences in their producers' cost structure. The innovator firms invest a large proportion of their money in pre-clinical and clinical research, which need not be done by their competitors who bring generics onto the market [12].

### Substitution of generics for brand-name drugs in the treatment of epilepsy

Practically all the branded antiepileptic drugs registered in Poland have generic drugs corresponding to them. However, increasing the application of the latter in the treatment of epilepsy is a matter of much controversy [3]. There are fears related first of all to the fact that

antiepileptic medications mostly have a narrow therapeutic index [4]. Physicians believe that a bioequivalence ranging from 80% to 125% is too broad for this group of drugs. They maintain that such a broad range coupled with other, individual factors in epilepsy sufferers may reinforce small differences in bioequivalence. As a consequence, some epilepsy patients taking generics run the risk of a higher incidence of seizures or other adverse effects [5]. Therefore, it is extremely important to carefully select the right medicine and the right dosage for each individual. It is also important that the physician in charge of the treatment should inform his/her patients, particularly those with a higher risk of seizures, of the possible consequences of taking generic drugs. It is also recommended that the physician should encourage his/her patients to closely monitor their well-being. It is important, too, that pharmacists should participate in the exchange of information concerning changes of therapy, and it is inadvisable to sell substitute drugs to epilepsy patients without the doctor's consent [4, 13, 14].

It is also well known that since antiepileptic drugs are among the medications with a narrow therapeutic index, their application may be particularly dangerous for some patients. This concerns first of all people treated for co-existing diseases and taking many medicines. Other high risk groups include the elderly and patients with renal or hepatic malfunctions, who run an increased risk of drug interactions and therefore should be particularly circumspect [4].

Research has shown that the differences in the composition of original and generic antiepileptic drugs may be minimal, but the difference grows considerably when two generic drugs are compared [15, 16]. Even though all these preparations are considered bioequivalent, in the case of a small percentage of patients variation in the confidence interval in bioequivalence research can have a major effect on their subsequent health and quality of life [15, 16]. It has been reported by both physicians and patients that some epilepsy sufferers experienced seizures much more frequently after a shift from innovator to generic drugs [4]. Some even had to be hospitalized. One example involves a woman who after three years of treatment with an original drug decided to switch to a generic drug; the result was that she suffered breakthrough seizures within three days of the start of the new therapy [17].

A growing number of doctors report with alarm seeing patients whose condition worsened after switching to a cheaper treatment with generic drugs. A report published in a neurological periodical presents a group of 50 people aged 11–64 years, in whom the incidence of epileptic seizures increased as a result of a change of medication. The data were obtained from neurologists who reported on their patients ( $n = 69$ ) who switched from brand-name to generic drugs [18]. The same concerns 4 patients who participated in a case-control study in 2011 [19]. Another cause for concern is the result of an analysis conducted in a group of 187 epilepsy patients, as many as 20–44% of whom (depending on the drug) experienced breakthrough seizures after treatment with generic drugs [20].

Researchers from the American Academy of Neurology have expressed the position that there are concerns associated with the change of therapy in epilepsy. Still, no steps have been taken so far to improve the situation of patients [17]. The American Food and Drug Administration maintains that the existing requirements concerning drug bioequivalence are so rigorous that there is only a small risk that the generics that meet them might lead to therapeutic problems [21]. FDA believes that a change of treatment does not increase the risk of relapse or undesirable effects [5]. Interestingly, one of the advisory bodies to FDA stated in its opinion that such a broad confidence interval (80–125%) was not optimal in the case of antiepileptic drugs, and yet FDA has issued no special recommendations in the matter [15]. FDA has also announced that there is no sufficient scientific evidence to suggest that the therapeutic range assumed at the time was too general for medications with a narrow therapeutic index [10]. FDA persists in the opinion that all changes in antiepileptic therapies are equally safe for all sufferers [12].

There is plentiful evidence that treating epilepsy with generic drugs does not produce satisfactory results. Despite that, institutions engaged in bioequivalence research claim that all drugs are equally safe and effective [4]. That view is borne out by several reports showing that no disturbing changes have been found in the patients under observation. One example concerns the results of a meta-analysis of randomized trials on a sample of 204 patients, where no difference in seizure frequency was found between patients given brand-name drugs and those given generics. However, that study was carried out over a very short period and covered a small population of patients. There is a need, then, to undertake detailed research on a large population. Unfortunately, such analysis can be costly and time-consuming, so at this point we have to answer the question whether such work will really be effective from the perspective of public health [22].

Taking generics is often unavoidable for economic reasons, as their price is much lower than that of brand-name drugs. The market is very competitive, so pharmaceutical companies are forced to bring down their prices, a very welcome effect from the patient's point of view. In addition, the low price of medicines can motivate patients to pursue regular and uninterrupted treatment, which is of great importance in the case of epilepsy sufferers [12]. What is more, some insurance companies offering extra insurance simply require their clients to be treated with generic drugs. We must also remember that many generic preparations are made on licence from the original producer upon expiry of the patent; thus the quality of the generic ought to be very good [23, 24].

For all the advantages of treatment with generics, however, we need to analyze the cost of the switch from innovator drugs, taking it into account that some groups of epileptic patients are particularly sensitive to even the minutest changes in bioequivalence. Those are the patients most frequently suffering from a relapse of seizures, which lead to hospitalization and thereby generate extra costs to the system [25]. The savings made by the switch of medicines can be less than the costs generated



in the other areas of health care, such as the purchase of additional medical products and hospital or outpatient services [19]. Another result of therapy switch may be a worsened quality of life for the patient [12]. The available data show that some epilepsy sufferers have been instrumental in causing serious traffic accidents because of sudden seizures. Some have lost their jobs because of a relapse of the disease or have had to spend more time visiting doctors' surgeries or hospitals. In view of the above, we have to note that the wrong change of therapy entails social as well as economic costs [17, 26].

A questionnaire-based survey conducted by Wilner [30] among 301 neurologists revealed that after a shift from an original drug to a generic one as many as 81.4% of doctors observed an increase in the number of seizures (67.8%) or toxic symptoms (56%) in their patients. In the case of a shift from one generic to another the percentages were 32.5% and 26.6%, respectively. Such adverse effects following a change of medication required additional consultations, visits to a surgery or an emergency department, and hospitalization. The costs incurred amounted to \$675,004, with the following breakdown: 46 hospitalizations (\$12,154 each), 166 additional visits to a doctor's surgery (\$120 per visit) and 1,128 emergency department visits (\$570 per visit). These results show that the substitution of generics for brand-name drugs is not always profitable.

## Summary

The European pharmaceutical industry currently spends some 30 billion euro per year on clinical research and development of new technologies [27]. Despite the enormous amount of medical knowledge and the availability of medications, doctors are sometimes still helpless in their fight against some diseases. Therefore, it is necessary to pursue systematic clinical research on new substances to meet the growing requirements of therapy. This long-term painstaking research holds out hope for safer and more effective therapies and for the discovery of new medications to treat as yet incurable diseases [28].

Original products go through a long development process, owing to which they will have been examined more thoroughly. Generic drugs should be bioequivalent to the original ones, and their prices are much lower. That enables individual patients, and also the health care system as a whole, to make considerable financial savings. We cannot say that a generic preparation is one hundred per cent identical to the original drug, but we can certainly say that they are similar. It is remarkable that with most patients the change from one to the other may pass unnoticed, but for some, the effect of the two therapeutic products on their organism may be somewhat different [29]. Therefore, we cannot state unequivocally which of the two types of drugs is better.

In the case of epilepsy, the treatment of which requires long-term application of drugs, every change of medication may be dangerous. In view of that, the choice of therapy always requires consultation with a doctor so that the patient and the doctor might jointly agree on a regi-

men best suited to the patient's needs. It is important that when changing a therapy one should not be guided solely by the current price of the medication selected, but also by the costs the given group of patients might incur in future, and above all by the clinical condition of the patient.

## References

1. Skrzypczak Z., Haczyński J., *Światowy rynek farmaceutyczny w dobie kryzysu gospodarczego*, "Problemy Zarządzania" 2012; 11, 1 (41); 2: 128–145.
2. Skrzypczak Z., Haczyński J., *Struktura rynku farmaceutycznego wg rodzaju sprzedawanych leków*, "Problemy Zarządzania" 2012; 11, 1 (41); 2: 138–145.
3. Gidal B., Tobjorn T., *Substitution of generic drugs in epilepsy: Is there cause for concern?*, "Epilepsia" 2008; 49 (Suppl. 9): 56–62.
4. Rascati K., Richards K., Johnsrud M., *Effects of Antiepileptic Drug Substitutions on Epileptic Events Requiring Acute Care*, "Pharmacotherapy" 2009; 29 (7): 769–774.
5. Lewek P., Kardas P., *Generic drugs: The benefits and risks of making the switch*, "The Journal of Family Practice" 2010; 59 (11): 634–640.
6. Staniszevska A., *Co warto wiedzieć o lekach generycznych*, "Medycyna i Pasje" 2010; 4 (9): 14–19.
7. Grochowska M., *Przebieg badań klinicznych leków*, "Biomedical" 2011, <http://www.biomedical.pl/zdrowie/przebieg-badan-klinicznych-lekow-1778.html>; accessed: 19.12.2015.
8. Żukowski P., *Badania biorównoważności i ich monitorowanie*, in: Walter M. (ed), *Badania kliniczne – organizacja, nadzór, monitorowanie*, Onipharma, Warszawa 2004: 291–294.
9. Stańczak A., *Leki oryginalne, czy leki generyczne*, "Aptekarz Polski" 2011; 63 (41), [http://www.aptekarzpolski.pl/index.php?option=com\\_content&task=view&id=1068&Itemid=108](http://www.aptekarzpolski.pl/index.php?option=com_content&task=view&id=1068&Itemid=108); accessed: 19.12.2015.
10. Kaczmarek L., *Innowacyjne generyki przyszłością gospodarki*, "Laboratorium" 2012; 5–6: 6–9.
11. *Wkład innowacyjnego przemysłu farmaceutycznego w rozwój polskiej gospodarki*, Raport PwC, 2011, [http://www.infarma.pl/uploads/media/PwC\\_Raport.pdf](http://www.infarma.pl/uploads/media/PwC_Raport.pdf); accessed: 23.12.2015.
12. Grzywińska D., Grzywińska A., *Rynek leków generycznych w Polsce*, "Manager Apteki" 2010; 5, <http://www.nazdrowie.pl/artukul/rynek-lekow-generycznych-w-polsce>; accessed: 22.12.2015.
13. Kramer G., Biraben A., Carreno M., *Current approaches to the use of generic antiepileptic drugs*, "Epilepsy & Behavior" 2007; November: 46–52.
14. Gauthier-Lewis M., Smith J., *Pharmacologic Management of Epilepsy*, "Louisiana Drug Utilization Review Education" 2011; Jan/Feb: 10–19.
15. Barnes N., Rascati K., *Switching of Antiepileptic Drug Formulations*, "The Journal of Pediatric Pharmacology and Therapeutics" 2010; 15: 64–65.
16. Evans J., *Generic and Brand-Name AEDs Bioequivalent*, "Internal Medicine News" 2010; June: 18.
17. MacDonald J.T., *Breakthrough seizure following substitution of Depakene capsules (Abbott) with a generic product*, "Neurology" 1987; 37: 1885.
18. Berg M., Gross R., Tomaszewski K., *Generic substitution in the treatment of epilepsy*, "Neurology" 2008; 71: 525–530.

19. Fitzgerald C., Mercedes J., *Generic Substitution of Levetiracetam Resulting in Increased Incidence of Breakthrough Seizures*, "The Annals of Pharmacotherapy" 2011; 45: 27.
20. LeLorier J., Duh M., Paradis P., *Clinical consequences of generic substitution of lamotrigine for patients with epilepsy*, "Neurology" 2008; 70: 2179–2186.
21. Bialer M., Midha K., *Generic products of antiepileptic drugs: A perspective on bioequivalence and interchangeability*, "Epilepsia" 2010; 51 (6): 941–950.
22. Kesselheim A., Stedman M., Bubrick J., *Seizure outcomes following the use of generic versus brand-name antiepileptic drugs: a systematic review and meta-analysis*, "Drugs" 2010; 70 (5): 605–621.
23. Bialer M., *Generic products of antiepileptic drugs (AEDs): is it an issue?*, "Epilepsia" 2007; 48 (10): 1825–1832.
24. Berg M., *What's the problem with generic antiepileptic drugs?: A call to action*, "Neurology" 2007; 68 (16): 1245–1246.
25. Andermann F., Gosselin A., Paradis P., *Compulsory generic switching of antiepileptic drugs: high switchback rates to brand compounds compared to other drug classes*, "Epilepsia" 2006; 48: 464–469.
26. Haskins L., Tomaszewski K., Crawford P., *Patient and physician reactions to generic antiepileptic substitution in the treatment of epilepsy*, "Epilepsy" 2005; 7: 98–105.
27. *The Pharmaceutical Industry in Figures*, Raport Europejskiej Federacji Stowarzyszeń Przemysłu Farmaceutycznego, [http://www.efpia.eu/uploads/Figures\\_2015\\_Key\\_](http://www.efpia.eu/uploads/Figures_2015_Key_); accessed: 02.01.2016.
28. *Jak się prowadzi badania kliniczne*, *Badania kliniczne w Polsce*, <http://www.badaniaklinicznepolsce.pl/o-badaniach-klinicznych/podstawowe-informacje/jak-sie-prowodzi-badania-kliniczne/>; accessed: 05.03.2014.
29. Mendyk A., *Leki oryginalne i odtworcze*, "Puls Medycyny" 2008, <http://pulsmedycyny.pl/2581745,63366,leki-oryginalne-i-odtworcze/>; accessed: 23.12.2015.

# Ekonomiczna ewaluacja programów z zakresu zdrowia publicznego – przegląd wytycznych międzynarodowych

Katarzyna Dubas-Jakóbczyk<sup>1</sup>, Ewa Kocot<sup>1</sup>,  
Katarzyna Kissimova-Skarbek<sup>1</sup>, Kai Huter<sup>2, 3</sup>, Heinz Rothgang<sup>2, 3</sup>

<sup>1</sup> Zakład Ekonomiki Zdrowia i Zabezpieczenia Społecznego, Instytut Zdrowia Publicznego, Uniwersytet Jagielloński Collegium Medicum, Kraków

<sup>2</sup> University of Bremen, SOCIUM – Research Center on Inequality and Social Policy, Bremen, Germany

<sup>3</sup> High-profile area Health Sciences, University of Bremen, Bremen, Germany

*Adres do korespondencji:* Dr Katarzyna Dubas-Jakóbczyk, Zakład Ekonomiki Zdrowia i Zabezpieczenia Społecznego, Instytut Zdrowia Publicznego, ul. Grzegórzecka 20, 31-531 Kraków, katarzyna.dubas@uj.edu.pl

## Abstract

### *Economic evaluation of public health programs – review of international guidelines*

Within the last decades an interest in using economic evaluation methods in health care sector is rapidly growing. In many countries methodological guidelines and recommendation on using economic analyses for health care interventions assessment were developed. Methods of economic evaluation, historically developed for clinical intervention, are now being applied to public health programs. Application of economic evaluation techniques to this type of activities results in numerous methodological problems related to public health program special characteristics. This type of programs can take a form of complex, multisectoral interventions aimed rather at whole populations than at individuals (as clinical interventions). The aim of the article is to conduct a review of existing international guidelines on economic evaluation of public health programs and presentation of the experts guidelines related to specific elements and/or steps of economic evaluation of such programs.

**Key words:** economic evaluation, cost-effectiveness, public health program, guidelines

**Słowa kluczowe:** ewaluacja ekonomiczna, efektywność kosztowa, program zdrowia publicznego, wytyczne

## Wprowadzenie

W ciągu ostatnich dekad można zaobserwować dynamiczny wzrost zainteresowania wykorzystaniem analiz ekonomicznych w zakresie szeroko pojętego sektora ochrony zdrowia. Zgodnie z powszechnie przyjętą definicją ewaluacja ekonomiczna to analiza porównująca alternatywne działania w kontekście ponoszonych kosztów i uzyskiwanych rezultatów w celu wsparcia procesu podejmowania decyzji alokacyjnych [1]. W odniesieniu do sektora zdrowia zastosowanie analiz ekonomicznych pozwala odpowiedzieć na pytania: Czy dana procedura, program, usługa zdrowotna jest warta realizacji w porównaniu z innymi interwencjami, które można wykonać, wykorzystując te same zasoby? Które procedury, programy,

usługi zdrowotne powinny być realizowane, a tym samym finansowane? Rosnące koszty sektora zdrowia oraz silna presja poprawy efektywności wykorzystania dostępnych zasobów wymuszają potrzebę wsparcia procesu podejmowania decyzji alokacyjnych. Wykorzystanie analiz ekonomicznych pozwala na dostarczenie danych empirycznych oraz zagwarantowanie większej transparentności tego procesu. W wielu krajach postępuje proces instytucjonalizacji oraz formalizowania za pomocą zapisów prawnych problematyki wykorzystania analiz ekonomicznych (m.in. stanowią one obligatoryjny element wniosków o wpisanie na listę leków refundowanych ze środków publicznych) [2]. Zdaniem części ekspertów analizy ekonomiczne stanowią najważniejszy praktyczny wkład, jaki ekonomia wniosła do procesu podejmowania decyzji w ochronie zdrowia [3].

Metodologia analiz ekonomicznych, opracowana i rozwijana początkowo głównie w dziedzinach klinicznych (leki, procedury kliniczne) jest adaptowana i implementowana do szeroko pojętego zdrowia publicznego, profilaktyki i promocji zdrowia. Rozszerzenie zakresu zastosowania analiz ekonomicznych pociąga za sobą pewne problemy metodologiczne, niemniej jednak wydaje się procesem nieuniknionym. Trudności związane z ekonomiczną oceną programów z zakresu zdrowia publicznego wynikają z ich specyficznego charakteru, który niejednokrotnie uniemożliwia zastosowanie metod właściwych na przykład do oceny efektywności kosztowej leków czy procedur klinicznych. Pierwsze publikacje na temat efektywności kosztowej tego rodzaju programów pojawiły się w latach 90. XX wieku [4–6]. Ekspertki z różnych ośrodków zaczęły opracowywać zalecenia i wytyczne odnoszące się do ewaluacji ekonomicznej programów z zakresu promocji zdrowia i/lub zdrowia publicznego [7–12]. Celem artykułu jest dokonanie przeglądu dostępnych publikacji oraz zaprezentowanie zaleceń ekspertów odnoszących się do poszczególnych etapów ewaluacji ekonomicznej tego rodzaju programów.

### Specyfika programów z zakresu zdrowia publicznego

**Zdrowie publiczne** definiowane jest jako zorganizowany wysiłek społeczny, mający na celu polepszenie, promocję, ochronę i przywracanie zdrowia ludności [13]. Kluczowe znaczenie w koncepcji zdrowia publicznego ma zrozumienie wpływu stylu życia oraz warunków bytowych na stan zdrowia populacji oraz uwzględnienie kontekstu społecznego i politycznego [13]. Zdrowie publiczne obejmuje działalność ukierunkowaną zarówno na monitoring stanu zdrowia, bezpieczeństwo zdrowotne, poprawę i utrzymanie zdrowia, jak i na rozwój instytucji oraz metod pozwalających na prowadzenie właściwej polityki zdrowotnej.

Programy z zakresu zdrowia publicznego obejmują między innymi zróżnicowane działania zarówno z zakresu promocji zdrowia, jak i poszczególnych poziomów prewencji chorób. Światowa Organizacja Zdrowia definiuje **promocję zdrowia** jako proces umożliwiający jednostkom i grupom społecznym zwiększenie kontroli nad uwarunkowaniami zdrowia w celu poprawy ich stanu zdrowia oraz sprzyjający rozwijaniu zdrowego stylu życia, a także kształtowaniu innych środowiskowych i osobniczych czynników prowadzących do zdrowia. W Karcie Ottawskiej, przyjętej na pierwszej międzynarodowej konferencji promocji zdrowia w Ottawie w roku 1986, wyróżniono pięć obszarów działań promocji zdrowia: budowanie polityki prozdrowotnej, tworzenie warunków sprzyjających zdrowiu, wzmacnianie działań społeczeństwa na rzecz zdrowia, rozwijanie indywidualnych umiejętności sprzyjających zdrowiu oraz reorganizację struktur ochrony zdrowia [14]. Działania z zakresu **prewencji chorób** najczęściej są klasyfikowane według trzech poziomów<sup>1</sup>: prewencja *pierwotna* (*primary prevention* – zapobieganie chorobie przez kontrolowanie czynników ryzyka), wtórna (*secondary prevention* – zapobieganie konsekwencjom

choroby przez jej wczesne wykrycie i leczenie), trzeciorzędowa (*tertiary prevention* – zahamowanie postępu choroby i ograniczenie powikłań) [15].

Niezwykła różnorodność działań z zakresu zdrowia publicznego sprawia, iż opracowanie rekomendacji dotyczących ich ewaluacji musi się odnosić do specyfiki konkretnego rodzaju działań. Programy zdrowia publicznego mogą przybierać postać złożonych i wielosektorowych interwencji (np. jednocześnie angażując sektor zdrowia, edukacji oraz sektor socjalny). Ich adresatem mogą być zarówno osoby indywidualne, jak i rodziny i/lub członkowie danej społeczności czy organizacji. Z kolei realizowane interwencje mogą mieć charakter złożonych, wielowymiarowych strategii [16]. Niemniej jednak, w kontekście ewaluacji ekonomicznej, eksperci wskazują na pewne cechy wspólne programów z zakresu zdrowia publicznego, które wymagają zastosowania dedykowanego podejścia metodologicznego.

### Wyzwania i zalecenia w procesie ekonomicznej ewaluacji programów zdrowia publicznego

Metodologia ekonomicznej ewaluacji interwencji z sektora zdrowia jest przedmiotem licznych publikacji, również polskojęzycznych [2, 17, 18]. Jej szczegółowy opis dalece wykracza poza ramy niniejszego artykułu. Niemniej jednak należy podkreślić, iż analiza zaleceń dotyczących specyfiki procesu ekonomicznej ewaluacji programów z zakresu zdrowia publicznego wymaga dobrej znajomości podstaw ogólnej metodologii ekonomicznej ewaluacji interwencji zdrowotnych. Jest to szczególnie istotne w kontekście ciągłego rozwoju i udoskonalania metod analiz ekonomicznych oraz występowania pewnych kontrowersji i braku konsensusu ekspertów co do wybranych elementów i/lub etapów przeprowadzania analiz<sup>2</sup>.

Problematyka metod i narzędzi stosowanych w ekonomicznej ewaluacji programów z zakresu zdrowia publicznego jest przedmiotem licznych publikacji. Są to zarówno bezpośrednie, ogólne zalecenia grup eksperckich [8–11], jak i publikacje odnoszące się do specyfiki wybranego problemu ewaluacji tego rodzaju programów [6, 19–22]. Przegląd wyżej wymienionych publikacji pozwala na sformułowanie zaleceń odnoszących się do poszczególnych etapów i/lub elementów procesu ekonomicznej ewaluacji programów zdrowia publicznego. Są to kolejno: wybór perspektywy analizy, wybór komparatora, horyzont czasowy, rodzaj badania, problematyka szacowania kosztów i efektów oraz uwzględnienie kontekstu programu. W większości przypadków, sformułowane zalecenia są odpowiedzią na pewne trudności metodologiczne wynikające ze specyfiki programów zdrowia publicznego, która może uniemożliwiać proste przeniesienie metod rozwiniętych i stosowanych dla ekonomicznej ewaluacji leków czy procedur klinicznych. **Tabela I** przedstawia ustrukturyzowany, hasłowy wykaz tych zaleceń, natomiast ich szczegółowy opis znajduje się poniżej.

**Perspektywa analizy** determinuje, które koszty i konsekwencje należy uwzględnić. Ekonomiczna ewalu-

**Tabela I.** Zestawienie zaleceń dla procesu ekonomicznej ewaluacji programów zdrowia publicznego wynikających z ich specyficznego charakteru

Cecha / Etap analizy	Specyfika programu zdrowia publicznego	Zalecenia dla procesu ekonomicznej ewaluacji
Perspektywa analizy	• złożony i multidyscyplinarny charakter programów	• zastosowanie perspektywy społecznej
Wybór komparatora	• trudność w wyborze właściwego komparatora	• porównanie z <i>do nothing option</i>
Horyzont czasowy	• potrzeba uchwycenia długofalowych kosztów i efektów	• analiza wrażliwości w zakresie dyskontowania
Rodzaj badania	• trudności w zastosowaniu badań randomizowanych	• wykorzystanie technik modelowania
Szacowanie kosztów	• potrzeba uwzględnienia kosztów międzysektorowych	• opisowa prezentacja kosztów trudno kwantyfikowalnych • zastosowanie analizy kosztów i konsekwencji • zastosowanie podejścia korzyści netto z interwencji według zaangażowanych sektorów
Szacowanie efektów	• wielowymiarowy charakter efektów • efekty często odległe w czasie	• prezentacja wszystkich miar efektów • uwzględnienie efektów bezpośrednich programu i pośrednich efektów zdrowotnych • zastosowanie analizy kosztów i konsekwencji
Kontekst programu	• dodatkowe uwarunkowania mogą determinować efektywność	• szczegółowy opis kontekstu programu

Źródło: Opracowanie własne na podstawie Nutbeam D., *Evaluating health promotion—progress, problems and solutions*, „Health Promotion Int.” 1998; 13 (1): 27–44 [6]; Kelly M.P., McDauid D., Ludbrook A., Powell J., *Economic appraisal of public health interventions*, NHS Health Development Agency 2005 [8]; Honeycutt A.A., Clayton L., Khavjou O., Finkelstein E.A., Prabhu A., Blitstein J.L., Evans W.D., Renaud J.M., *Guide to Analysing the Cost-Effectiveness of Community Public Health Prevention Approaches*. RTI International. Research Triangle Park, NC, USA 2006 [9]; Salazar L., Jackson S., Shiell A., Rice M., *Guide to economic evaluation in health promotion*, OPS (Organizacion Panamericana de la Salud), Washington 2007 [10]; Weatherly H., Drummond M., Claxton K., Cookson R., Ferguson B., Godfrey C., Rice N., Sculpher M., Snowden A., *Methods for assessing the cost-effectiveness of public health interventions: Key challenges and recommendations*, „Health Policy” 2009; 93 (2–3): 85–92 [11]; Rychetnik L., Frommer M., Hawe P., Shiell A., *Criteria for evaluating evidence on public health interventions*, „Journal of Epidemiology and Community Health” 2002; 56 (2): 119–127 [19]; Payne K., McAllister M., Davies L.M., *Valuing the economic benefits of complex interventions: when maximising health is not sufficient*, „Health Economics” 2013; 22 (3): 258–271 [20]; Cookson R., Drummond M., Weatherly H., *Explicit incorporation of equity considerations into economic evaluation of public health interventions*, „Health Economics, Policy and Law” 2009; 4: 231–245 [21]; Marsh K., Phillips C.J., Fordham R., Bertranou E., Hale J., *Estimating cost-effectiveness in public health: a summary of modelling and valuation methods*, „Health Econ Rev.” 2012; 3, 2 (1): 17 [22].

acja interwencji zdrowotnej może przebiegać z perspektywy uczestnika badania, dostarczyciela usług, płatnika lub z perspektywy całego społeczeństwa. W przypadku analiz typu kosztów i efektów stosowania leków, stanowiących podstawę decyzji refundacyjnych, bardzo często przyjmowana jest perspektywa płatnika. W odniesieniu do analiz ekonomicznych programów zdrowia publicznego wskazane jest przyjęcie perspektywy społecznej, która gwarantuje uwzględnienie wszystkich możliwych kosztów i rezultatów, niezależnie od tego, kto generuje koszty lub jest odbiorcą rezultatów [7, 10, 12]. Tylko wtedy możliwe jest uwzględnienie wielowymiarowych celów programu – także tych spoza sektora zdrowia (np. zwiększenie integracji społecznej, poprawa warunków socjalno-bytowych) [20]. Wybór perspektywy społecznej, mimo iż silnie rekomendowany – implikuje wiele opisanych poniżej trudności metodologicznych związanych z szacowaniem kosztów i efektów.

Wybór **komparatora** odnosi się do wyboru alternatywy, z którą zostanie porównany oceniany przez nas program. Jest to niezwykle istotny element analizy, gdyż determinuje szacowaną wartość dodaną programu (nadwyżkę kosztów oraz efektów ocenianego programu nad kosztami i efektami alternatywy). W praktyce analiz

ekonomicznych, gdy ich wyniki służą wsparciu decyzji alokacyjnych, daną interwencję należy porównać co najmniej z dotychczas występującą praktyką (standardem postępowania). Idealnym rozwiązaniem byłoby porównanie wszystkich możliwych alternatywnych sposobów wykorzystania określonych zasobów, jednak nie jest to możliwe między innymi z powodu ograniczonych środków przeznaczanych na przeprowadzanie analiz ekonomicznych. W przypadku programów zdrowia publicznego znalezienie właściwego komparatora może być bardzo trudne. Jeśli cele programu promocji zdrowia wychodzą poza poprawę zdrowia jednostki i obejmują wpływ na warunki środowiskowe i/lub wzmacnianie społeczności lokalnej – odpowiedni komparator może po prostu nie występować [7, 10]. W takiej sytuacji program należy porównać z tak zwaną *do nothing option*, a więc sytuacją braku jakiegokolwiek interwencji. Każdorazowo wybór komparatora należy szczegółowo uzasadnić.

**Horyzont czasowy** analizy determinuje, jak długo koszty i efekty ocenianej interwencji będą śledzone w czasie (jak długo trwa tzw. okres *follow-up*). W przypadku interwencji klinicznych horyzont czasowy niejednokrotnie odnosi się do czasu trwania samej interwencji i efektów, które pojawiają się w stosunkowo krótkim czasie

(np. roczny *follow-up* w badaniu klinicznym). Natomiast efekty programów z zakresu zdrowia publicznego (np. programu edukacji zdrowotnej lub redukcji czynników ryzyka) mogą się pojawić nawet po kilkunastu latach. Wieloletni horyzont czasowy implikuje także potrzebę zastosowania dyskontowania przy ocenie kosztów i efektów. Co istotne – wartość terażniejsza efektu, który pojawi się za kilkanaście lat, zawsze będzie niższa od wartości terażniejszej takiego samego efektu, który pojawi się w krótkim czasie. W praktyce oznacza to, że w sytuacji porównywania efektywności kosztowej programów zdrowia publicznego z interwencjami klinicznymi, te pierwsze mogą być z tego powodu predestynowane do określenia mianem mniej opłacalnych. Zalecenia ekspertów w kontekście problematyki dyskontowania to wykonanie analizy wrażliwości uwzględniającej różne wartości stopy dyskontowej (w tym wartości zerowej) [23].

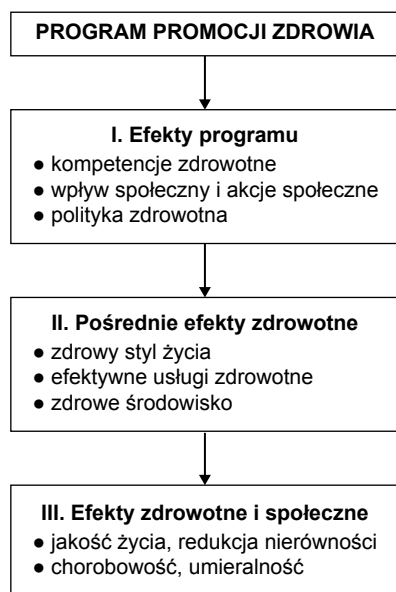
**Rodzaj badania** odnosi się do sposobu dostarczenia interwencji, wyboru grupy docelowej oraz metody zbierania danych. Zgodnie z hierarchią przyjętą w naukach klinicznych najwyższą rangę dowodową mają randomizowane badania kliniczne (RCT) [24]. Ten rodzaj badania jest jednak niezwykle trudny do przeprowadzenia, a przez część ekspertów uznawany wręcz za niewłaściwy w odniesieniu do programów z zakresu zdrowia publicznego [16, 25]. Podstawowa trudność polega tu na uchwyceniu wielowymiarowych efektów programu zdrowia publicznego w badaniu pierwotnie zaprojektowanym do oceny wąsko sprecyzowanych interwencji klinicznych (np. leków), przeznaczonych dla pojedynczych pacjentów, które przebiega w odizolowanym środowisku klinicznym, z relatywnie krótkim okresem *follow-up*. Często stosowanym rozwiązaniem jest przeprowadzenie randomizowanego badania klinicznego klasterowego [19], w którym randomizacji podlegają nie pojedyncze osoby, lecz ich grupy – na przykład społeczności lokalne, pacjenci objęci opieką praktyk lekarskich, uczniowie szkół. Umożliwia to ocenę interwencji skierowanych nie do pojedynczych osób, lecz ich grup (np. kampania społeczna z wykorzystaniem mediów lokalnych, kampania edukacyjna w szkołach). Zastosowanie RCT klasterowego nie rozwiązuje jednak problemu dużej kosztochłonności przeprowadzenia takiego badania i trudności z zastosowaniem wieloletniego horyzontu czasowego. W konsekwencji w ocenie interwencji z zakresu zdrowia publicznego zasadne może być wykorzystanie wyników badań nieeksperymentalnych (np. długofalowego badania obserwacyjnego), które pomimo niższej rangi dowodowej mogą lepiej odpowiadać specyfice tego rodzaju programów [11]. Problem dostępności danych przy zastosowaniu wieloletniego horyzontu czasowego może być także rozwiązany przez zastosowanie technik modelowania matematycznego. Techniki te umożliwiają rozszerzenie wyników pochodzących z pojedynczego badania (np. ekstrapolację poza horyzont czasowy) i/lub kojarzenie dowodów pochodzących z różnych źródeł [26]. Metody modelowania stosowane w ekonomicznej ewaluacji interwencji zdrowotnych są nieustannie rozwijane [27]. Popularne techniki obejmują: drzewo decyzyjne, model Markowa, symulację zdarzeń dyskretnych. Zdaniem części badaczy, modelowanie stanowi aktualnie podstawowe

narzędzie umożliwiające uchwycenie wielowymiarowych efektów programów zdrowia publicznego [22].

Problematyka **szacowania kosztów** w procesie ekonomicznej ewaluacji programu zdrowia publicznego jest ściśle powiązana z wszystkimi wyżej wymienionymi elementami analizy. Przyjęcie społecznej perspektywy analizy oznacza potrzebę identyfikacji, pomiaru i wyceny wszystkich kosztów związanych z danym programem, niezależnie od tego, kto je ponosi. Koszty te najczęściej klasyfikuje się jako bezpośrednie (medyczne i niemedyczne) oraz pośrednie (utracona produkcja z powodu chorobowości i umieralności). Problematyka szacowania kosztów w analizach ekonomicznych dotyczących sektora zdrowia charakteryzuje się występowaniem pewnych ogólnych trudności i wyzwań metodologicznych. Eksperti prezentują różne stanowiska między innymi co do kwestii wyceny kosztów opieki nieformalnej, uwzględniania oraz metod szacowania kosztów utraconej produkcji czy też uwzględnienia kosztów w dodanych latach życia [28]. Te problemy są jednak uniwersalne i dotyczą nie tylko analiz związanych ze zdrowiem publicznym. W kontekście programów z zakresu zdrowia publicznego obok wyżej wymienionych, ogólnych problemów, za kluczowe wyzwanie należy uznać szacowanie kosztów międzysektorowych. Przykładowo, program z zakresu prewencji uzależnienia od narkotyków może zapobiegać wystąpieniu przyszłych kosztów nie tylko w sektorze ochrony zdrowia (koszty leczenia), lecz także w sektorze opieki socjalnej czy sektorze więziennictwa. Działaniem rekomendowanym jest uwzględnienie wszystkich pozycji kosztów. Rodzaje kosztów, w stosunku do których nie jest możliwa kwantyfikacja ilościowa i/lub monetarna, należy uwzględnić w sposób opisowy. Zdaniem części ekspertów [8, 11], wskazane jest tu zastosowanie analizy kosztów i konsekwencji (*costs-consequence analysis*, CCA), w której przypadku koszty i efekty mogą być szacowane osobno dla różnych sektorów i/lub podmiotów zaangażowanych w program. W tym rodzaju analizy nie oblicza się finalnej miary efektywności kosztowej programu (np. współczynnika kosztów i efektów), a więc nie ma możliwości sporządzenia rankingu porównywanych programów. Niemniej jednak analiza kosztów i konsekwencji umożliwia zaprezentowanie pełnego obrazu kosztów, a jej wyniki mogą posłużyć do przeprowadzenia analizy kosztów i efektów – oddzielnie dla każdego z zaangażowanych sektorów [8].

Alternatywną formą prezentacji kosztów międzysektorowych może być podejście polegające na wyliczeniu korzyści netto z interwencji (*net-benefit approach*) [29, 30] dla każdego z zaangażowanych sektorów. W sytuacji gdy w wyniku programu zdrowotnego w jednym sektorze otrzymuje się dodatnie korzyści netto, a w innym sektorze – ujemne efekty (straty), autorzy zaproponowali tak zwany test kompensacyjny [29, 30]. Dzięki jego zastosowaniu program może zostać uznany za efektywny pod względem kosztów i zarekomendowany do wdrożenia, jeżeli sektor ochrony zdrowia, który otrzymuje dodatnie korzyści netto, może skompensować straty innego sektora. W praktyce taka rekompensata może nie być możliwa w krótkim czasie, co wymaga prowadzenia bilansu relokacji środków między sektorami w określonym przedziale czasu.

Schemat 1. Efekty programów promocji zdrowia



Źródło: Opracowanie własne na podstawie Nutbeam D., *Evaluating health promotion – progress, problems and solutions*, „Health Promotion Int.” 1998; 13 (1): 27–44 [6].

**Szacowanie efektów** w każdej analizie ekonomicznej uwarunkowane jest przyjętą perspektywą oceny oraz rodzajem analizy. W przypadku programów z zakresu zdrowia publicznego największe znaczenie ma wielowymiarowy charakter efektów. Zgodnie z klasyfikacją zaproponowaną przez Nutbeama efekty programu promocji zdrowia można podzielić na trzy następujące po sobie w czasie poziomy [6] (Schemat 1). Poziom pierwszy obejmuje bezpośrednie efekty realizacji programu – jego wpływ na indywidualne, społeczne i środowiskowe czynniki kształtujące zdrowie. Na poziomie indywidualnym przykładem może być rozwój kompetencji zdrowotnych czy świadomości potrzeby zachowań prozdrowotnych. Na poziomie społeczności efektem programu promocji zdrowia może być zwiększenie kontroli nad lokalnymi uwarunkowaniami zdrowia, poprawa spójności społecznej czy też kształtowanie lokalnych polityk promujących zdrowie. Efekty bezpośrednie programu kształtują wystąpienie pośrednich efektów zdrowotnych (poziomu drugiego), a więc zmian w modyfikowalnych determinantach zdrowia (np. zmiany w stylu życia czy poprawa efektywności usług zdrowotnych). Dopiero końcowe rezultaty programu (poziomu trzeciego) odnoszą się *stricte* do zdrowia (poziomu chorobowości, umieralności) i efektów społecznych (jakość życia, samodzielność, redukcja nierówności w zdrowiu).

Decydenci podejmujący decyzje alokacyjne najczęściej wymagają informacji o koszcie uzyskania jednostki efektu końcowego (np. koszt uniknięcia jednego przypadku zgonu; koszt uzyskania jednego roku życia korygowanego jakością – QALY). Oszacowanie efektów końcowych wymaga długofalowego horyzontu czasowego analizy lub zastosowania technik modelowania

– każdorazowo, pojawia się tu problem zakłócającego wpływu czynników zewnętrznych. Popularne miary efektów końcowych (np. QALY) mogą nie uchwycić wielowymiarowego charakteru wyników programu zdrowia publicznego [8]. Podobnie jak w przypadku kosztów wielosektorowości programu oznacza potrzebę uwzględnienia wielu odbiorców i miar efektów. Dodatkowo mogą wystąpić również efekty zewnętrzne (oddziaływania programu na osoby nim bezpośrednio nieobjęte, np. w przypadku akcji szczepień). Specyfika pomiaru efektów programów z zakresu zdrowia publicznego polega także na tym, iż bezpośrednie efekty programu oraz pośrednie efekty zdrowotne mogą mieć równie istotne znaczenie co efekty końcowe. Przykładem mogą być zmiany uwarunkowań behawioralnych i społecznych, które oferują potencjał poprawy zdrowia. Pomiar tego rodzaju efektów może narażać na trudności metodologiczne (np. oszacowanie zmiany poziomu kompetencji zdrowotnych), niemniej jednak dla zagwarantowania kompleksowości oceny ma znaczenie kluczowe. Podobnie jak w przypadku kosztów działaniem rekomendowanym jest zaprezentowanie wszystkich miar efektów (w sposób opisowy, gdzie nie jest możliwa ich kwantyfikacja ilościowa) i/lub zastosowanie analizy kosztów i konsekwencji.

Dodatkowym zagadnieniem bezpośrednio związanym z problematyką szacowania efektów programów zdrowia publicznego jest uwzględnienie celu równości w zdrowiu. Pojęcie równości w zdrowiu definiowane jest jako brak systematycznych różnic w poziomie zdrowia lub uwarunkowaniach zdrowia pomiędzy grupami zróżnicowanymi pod względem socjalnym, ekonomicznym, demograficznym czy geograficznym [31]. Redukcja nierówności w zdrowiu jest aktualnie jednym z ważniejszych celów polityk zdrowia publicznego [32, 33]. Uwzględnienie tego kryterium ma więc kluczowe znaczenie w procesie ekonomicznej ewaluacji. Analiza dostępnych publikacji wskazuje natomiast, iż badacze bardzo rzadko odnoszą się do kwestii równości w zdrowiu w przypadku analiz ekonomicznych programów zdrowia publicznego [21]. Skupienie się wyłącznie na celu maksymalizacji zdrowia, bez odniesienia do pytania, kogo poprawa zdrowia ma dotyczyć, może *de facto* doprowadzić do pogłębienia nierówności w zdrowiu. Ekspertki podkreślają, iż natura problematyki nierówności w zdrowiu w zakresie zdrowia publicznego przybiera nieco odmienny charakter niż w przypadku interwencji klinicznych [21]. Chodzi tu głównie o większą społeczną akceptowalność preferowania niektórych grup (a więc dyskryminowania innych) w celu zwalczania nierówności na przykład w potencjale zdrowia. Jako przykład mogą posłużyć programy promocji zdrowia adresowane do dzieci z zaniedbanych środowisk czy osób o niższym statusie ekonomiczno-społecznym. Taka preferencja nie może mieć natomiast miejsca w przypadku interwencji klinicznych, na przykład leków ratujących życie w stanach onkologicznych. Działaniem rekomendowanym w kontekście ekonomicznej ewaluacji programów zdrowia publicznego jest podjęcie choćby próby oceny wpływu danego programu na poziom nierówności w zdrowiu z wykorzystaniem metod opisowych lub analitycznych [21].

Efektywność kosztowa danego programu może być w wysokim stopniu uzależniona od **kontekstu**, w jakim został on zaimplementowany. Chodzi tu o dodatkowe uwarunkowania socjoekonomiczne, polityczne, środowiskowe czy też demograficzne cechy populacji objętej programem, które mogą mieć wpływ na efektywność wdrażanego programu [10]. Przykładowo, skuteczność społecznej kampanii edukacyjnej nakierowanej na zwiększenie udziału w programie szczepień może ściśle zależeć zarówno od poziomu wykształcenia populacji docelowej, jej cech religijnych i kulturowych, jak i poziomu dochodu oraz dostępności do mediów i potencjalnych świadczeniodawców [19]. Kontekst programu zdrowia publicznego obejmuje także obecność innych komplementarnych programów prozdrowotnych lub efektów programów wdrażanych w przeszłości. W konsekwencji możliwość ekstrapolacji wyników oceny efektywności kosztowej danego programu z zakresu zdrowia publicznego może być wysoce ograniczona i/lub wymagać dodatkowych prac w celu uwzględnienia specyfiki populacji docelowej. Działaniem rekomendowanym jest tu szczegółowy opis kontekstu ocenianej interwencji przy prezentacji wyników ekonomicznej ewaluacji.

## Podsumowanie

Natura programów z zakresu zdrowia publicznego ewoluje. Rozwój nowych technologii, przemiany społeczno-demograficzne czy postępujący proces globalizacji to tylko niektóre z czynników kształtujących cele i metody praktyki zdrowia publicznego. Jednocześnie podkreśla się potrzebę oceny ich efektywności kosztowej w celu maksymalizacji wykorzystania ograniczonych zasobów [16], a liczba dokonywanych i publikowanych analiz dynamicznie wzrasta [34]. Dokonując ekonomicznej ewaluacji programów z zakresu zdrowia publicznego, należy jednak pamiętać, iż nie zawsze możliwe jest bezpośrednie przeniesienie i zastosowanie metod właściwych dla interwencji klinicznych. Specyfika programów zdrowia publicznego wymaga bowiem zindywidualizowanego podejścia metodologicznego. Eksperti i/lub agencje rządowe z różnych krajów opracowali liczne zalecenia i wytyczne odnoszące się do tej problematyki.

Zdaniem części ekspertów, dostępne metody ewaluacji w znacznym stopniu ograniczają możliwość porównywania efektywności kosztowej programów zdrowia publicznego z interwencjami klinicznymi. Szczególnej krytyce poddawane jest tu zastosowanie popularnej miary kosztu uzyskania 1 QALY, która w przypadku programów zdrowia publicznego może w sposób szczególnie ograniczać rzeczywisty zakres efektu [8]. Świadomość tych ograniczeń ma ogromne znaczenie dla procesu podejmowania decyzji alokacyjnych w sektorze ochrony zdrowia. Nieuwzględnienie specyfiki programów zdrowia publicznego w procesie ekonomicznej ewaluacji może bowiem prowadzić do ich dyskryminacji w dostępie do źródeł finansowania.

## Przypisy

<sup>1</sup> Część ekspertów wyróżnia dodatkowo prewencję wczesną (ang. *primordial prevention*), której cele pokrywają się z celami promocji zdrowia (wpływ na ogólne determinanty zdrowia) oraz prewencję czwartorzędową (zapobieganie nieuzasadnionym lub szkodliwym działaniom medycznym).

<sup>2</sup> Przykładem tego rodzaju kontrowersji może być m.in. problematyka uwzględniania kosztów pośrednich (utraconej produkcji), kosztów medycznych niezwiązanych bezpośrednio z daną interwencją, które występują w dodanych latach życia, lub metody wartościowania utraconego lub zyskanego w wyniku programu czasu uczestników populacji.

## Piśmiennictwo

1. Drummond M.F., Sculpher M.J., Torrance G.W., O'Brien B.J., Stoddart G.L., *Methods for the economic evaluation of health care programmes*, 3rd edition. Oxford University Press, Oxford 2005.
2. Dubas-Jakóbczyk K., *Analizy ekonomiczne w ochronie zdrowia*, w: Golinowska S. (red.), *Od ekonomii do ekonomiki zdrowia. Podręcznik ekonomiki zdrowia*, PWN, Warszawa 2016.
3. Morris S., Devlin N., Parkin D., *Economic analysis in health care*, John Wiley & Sons Ltd, West Sussex 2007.
4. Cohen D., *Health promotion and cost-effectiveness*, „Health Promotion Int.” 1994; 9 (4): 281–287.
5. Richardson J., *Economic evaluation of health promotion: friend or foe?* „Australian and New Zealand Journal of Public Health” 1998; 22 (2): 247–253.
6. Nutbeam D., *Evaluating health promotion – progress, problems and solutions*, „Health Promotion Int.” 1998; 13 (1): 27–44.
7. Hale J., *What contribution can health economics make to health promotion?* „Health Promotion Int.” 2000; 15 (4): 341–348.
8. Kelly M.P., McDavid D., Ludbrook A., Powell J., *Economic appraisal of public health interventions*, NHS Health Development Agency 2005.
9. Honeycutt A.A., Clayton L., Khavjou O., Finkelstein E.A., Prabhu A., Blitstein J.L., Evans W.D., Renaud J.M., *Guide to Analysing the Cost-Effectiveness of Community Public Health Prevention Approaches*, RTI International. Research Triangle Park, NC, USA 2006.
10. Salazar L., Jackson S., Shiell A., Rice M., *Guide to economic evaluation in health promotion*, OPS (Organización Panamericana de la Salud), Washington 2007.
11. Weatherly H., Drummond M., Claxton K., Cookson R., Ferguson B., Godfrey C., Rice N., Sculpher M., Snowden A., *Methods for assessing the cost-effectiveness of public health interventions: Key challenges and recommendations*, „Health Policy” 2009; 93 (2–3): 85–92.
12. Edwards R.T., Charles J.M., Lloyd-Williams H., *Public health economics: a systematic review of guidance for the economic evaluation of public health interventions and discussion of key methodological issues*, „BMC Public Health” 2013; 13 (1): 1001.



13. WHO, *Health Promotion Glossary*, Geneva 1998, <http://www.who.int/healthpromotion/about/HPR%20Glossary%201998.pdf>; dostęp: 10.02.2016.
14. WHO, *Ottawa Charter for Health Promotion*, Geneva 1986.
15. The Association of Faculties of Medicine of Canada (AFMC), *Primer on Population Health*. 2011, <https://www.afmc.ca/pdf/AFMC-Primer-on-Population-Health-2013-08-14.pdf>; dostęp: 11.02.2016.
16. Centre for Disease Control and Prevention (CDC), *Introduction to program evaluation for public health programs*, <http://www.cdc.gov/getsmart/community/improving-prescribing/program-development-eval/evaluation-manual/>; dostęp: 10.02.2016.
17. Kissimova-Skarbek K., *Analizy ekonomiczne w opiece zdrowotnej*, w: Czupryna A., Poździoch S., Ryś A., Włodarczyk C. (red.), *Zdrowie publiczne. Wybrane zagadnienia*, t. 1, Vesalius, Kraków 2002.
18. Czech M. (red.), *Farmakoekonomika. Ekonomiczna ocena programów ochrony zdrowia*, Oficyna Wydawnicza PW, Warszawa 2004.
19. Rychetnik L., Frommer M., Hawe P., Shiell A., *Criteria for evaluating evidence on public health interventions*, „Journal of Epidemiology and Community Health” 2002; 56 (2): 119–127.
20. Payne K., McAllister M., Davies L.M., *Valuing the economic benefits of complex interventions: when maximising health is not sufficient*, „Health Economics” 2013; 22 (3): 258–271.
21. Cookson R., Drummond M., Weatherly H., *Explicit incorporation of equity considerations into economic evaluation of public health interventions*, „Health Economics, Policy and Law” 2009; 4: 231–245.
22. Marsh K., Phillips C.J., Fordham R., Bertranou E., Hale J., *Estimating cost-effectiveness in public health: a summary of modelling and valuation methods*, „Health Econ Rev.” 2012; 3, 2 (1): 17.
23. Edejer T., World Health Organization, *Making choices in health: WHO guide to cost-effectiveness analysis*, Geneva 2003.
24. University of York, *Systematic Reviews. CRD’s guidelines for undertaking reviews in health care*. 2009, [https://www.york.ac.uk/media/crd/Systematic\\_Reviews.pdf](https://www.york.ac.uk/media/crd/Systematic_Reviews.pdf); dostęp: 15.02.2016.
25. Ziglio E., *How to move towards evidence-based health promotion interventions*, „Promot. Educ.” 1997; IV: 29–33.
26. Orlewska E., *Rola i wartość modelowania w ocenie ekonomicznej programów zdrowotnych*, „Farmakoekonomika” 2002; 2, [http://www.czytelniamedyczna.pl/farmakoekonomika\\_fe200202.html](http://www.czytelniamedyczna.pl/farmakoekonomika_fe200202.html); dostęp: 25.05.2016.
27. Briggs A., Sculpher M., Claxton K., *Decision Modelling for Health Economic Evaluation*, OUP, Oxford 2006.
28. Meltzer D.O., Smith P.C., *Theoretical issues relevant to the economic evaluation of health technologies*, w: Pauly M.V., McGuire T.G., Barros P.L.P. (red.), *Handbook of Health Economics*, vol. 2, North Holland, Amsterdam 2012: 433–469.
29. Stannet A.A., Mullahy J., *Net health benefits: a new framework for the analysis of uncertainty in cost-effectiveness analysis*, „Medical Decision Making” 1998; 18 (Suppl.): S68–S80.
30. Zethraeus N., Johannesson M., Jonsson B., Lothgren M., Tambour M., *Advantages of using the net-benefit approach for analysing uncertainty in economic evaluation studies*, „Pharmacoeconomics” 2003; 21: 39–48.
31. WHO, *Equity definition*, <http://www.who.int/healthsystems/topics/equity/en/>; dostęp: 21.02.2016.
32. European Commission, *Commission Communication – Solidarity in health: Reducing health inequalities in the EU*, 2009, [http://ec.europa.eu/health/social\\_determinants/policy/commission\\_communication/index\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/social_determinants/policy/commission_communication/index_en.htm); dostęp: 27.05.2016.
33. WHO, *Handbook on Health Inequality Monitoring*, Luxembourg 2013.
34. McDaid D., Sassi F., Merkur S. (red.), *Promoting Health, Preventing Disease. The Economic Case*, Open University Press, New York 2015, [http://www.euro.who.int/\\_\\_data/assets/pdf\\_file/0006/283695/Promoting-Health-Preventing-Disease-Economic-Case.pdf](http://www.euro.who.int/__data/assets/pdf_file/0006/283695/Promoting-Health-Preventing-Disease-Economic-Case.pdf); dostęp: 23.02.2016.

# System of Health Accounts (SHA) as an Anchor for Accountability of Health Systems in the EU Member States

## Potential for Linking Health Spending to the Treatment of Diseases

Dorota Kawiorska

Department of Theory of Economics, Cracow Economic University, Cracow

*Address for correspondence:* Department of Theory of Economics, Cracow Economic University, Cracow, Rakowicka 27, 31-510 Cracow, kawiorsd@uek.krakow.pl

### Abstract

A System of Health Accounts (SHA), recently adopted by the European Commission as a statistical framework for reporting data and metadata on health care expenditure and financing have paved the path for systematic data collection in the field which is indispensable for ensuring transparency and accountability of health care system on the Member States' level and for adequacy of many health policy recommendations on the EU level. The purpose of this paper is therefore to present selected aspects of the informative and analytical power of the core and extended accounting framework of SHA in the context of health care system accountability with emphasis put on the role of the European Commission in straightening it among Member States. A special attention is paid to one of the SHA newly developed analytical interfaces i.e. the 'consumer health interface' which has potential to be used for conducting multidimensional analyses of health spending by patient characteristics, including diseases and health conditions.

**Key words:** System of Health Accounts (SHA), health care systems, accountability, expenditure on treatment of diseases

**Słowa kluczowe:** System Rachunków Zdrowia, systemy ochrony zdrowia, rozliczalność, wydatki związane z leczeniem schorzeń



Ministerstwo Nauki  
i Szkolnictwa Wyższego

Przygotowanie i edycja anglojęzycznych wersji publikacji finansowane w ramach umowy 914/P-DUN/2016 ze środków Ministra Nauki i Szkolnictwa Wyższego przeznaczonych na działalność upowszechniającą naukę.

### Introduction

The primary intent of each country's health care system is to promote, restore or maintain health of both individuals and population as whole. Thus providing an adequate level of health care depends critically on the incidence and prevalence of diseases, on social and other health determinants, as well as on resources available [1]. Over the last few decades, the way that health care is delivered, organized and financed has changed significantly. As a consequence contemporary health systems, particularly those of the UE Member States (EU MS) have become complex and adaptive systems [2–6].

Such complex and adaptive systems are in general difficult to describe, usually show high operational costs

but above all are challenging to manage and to predict [2]. To meet these challenges first of all the health care system need to be accountable. Accountability in health care sector refers to the obligation that delivered health care services are safe, timely, effective, cost-conscious, and patient-centered, and the essence of accountability is answerability of health system to this obligation [7]. Thus in order to achieving health system accountability a key factor is the development of a comprehensive statistical framework for information and data collection, based on which the performance of health system could be measured and assess.

A System of Health Accounts (SHA), recently adopted by the European Commission as a statistical framework for reporting data and metadata on health care

expenditure and financing have paved the path for systematic data collection in the field which is indispensable for ensuring transparency and accountability of health care system on the level of Member States and for adequacy of many health policy recommendations both on the Member States and the EU level. This paper describes selected aspects of the informative and analytical power of the core and extended accounting framework of SHA that – if rigorously incorporated into the national statistical system – could be used as a data basis for measuring and assessing the performance of health care system with potential of further extension of data collections in the areas of concern for many specific health policy.

In accordance with the intended objective of this study, in the first section the notion of health system accountability has been introduced with emphasis put on the role of the European Commission (EC) in straightening it among Member States. In the following sections the SHA have been discussed in terms of the process of its development within the EU statistical system and of the application of its outputs for the purpose of describing and analysing the financial flows, their comparison across countries as well as for drawing recommendations for health and social policies. A special attention is paid to one of the SHA, newly developed, analytical interfaces i.e. the ‘consumer health interface’ output of which has potential – to be used for conducting multidimensional analyses of health spending by patient characteristics, including diseases and health conditions.

### The notion of health system accountability and the role of the European Commission in straightening it among Member States

In the process of both managing health care systems and/or designing health care reforms ‘accountability’ has become a keyword [8]. The notion of accountability could be semantically interpreted as ‘everything being taken into account’ [9, p. 6]. Definition of accountability provided, for example by the Business Dictionary refers to ‘the obligation of an individual or organization to account for its activities, accept responsibility for them, and to disclose the results in a transparent manner’ [10]. Conveying this notion on the ground of complex systems such as health care systems, means not only the description of functioning the system itself, but also identification of responsibilities of the key stockholders, provision of information and data that are related to their activities, and availability of sanctions in case of abuse, failure to or exceeding powers by them [9, p. 7–8].

Since 90-ies the issue of health system accountability has been used either to study different aspects of relations and of specific activity in health care sector, including professional accountability [11–12], the relations between institutions and medical practitioners [11, 13], the role of the state in health care [14], the ethical implications of health market [15], the quality of managed care [16], or to analyse the functioning of the whole health care system [7, 9, 17, 18]. With respect to the latter, for example

Ezekiel and Linda Emanuel have defined accountability in terms of entailing responsibility of involved parties through both the formal and informal procedures [17]. The authors specified three major components of so defined accountability i.e. *the loci of accountability* – within which they singled out 11 parties that can be held accountable; *the domains of accountability*, under which they included professional competence, legal and ethical conduct, financial performance, adequacy of access, public health promotion, and community benefits; and *the procedures of accountability*, that includes procedures for evaluating compliance with domains and for disseminating the evaluation and responses by the involved parties.

A similar approach was taken by Derick Brinkerhoff who has defined the notion of accountability in terms of answerability and sanctions [7]. The answerability, has been seen by the author as an ‘obligation to answer questions regarding decisions and/or actions’, hence the emphasis goes to the provision of reliable information and data in order to be able to answer the questions: ‘what was done/spent and why?’. Following this approach, the author has proposed three dimensions for examining health care systems accountability: *financial* – that concerns the process of monitoring and reporting on allocation, disbursement, and utilization of financial resources to be evaluated by using the tools of auditing, budgeting, and accounting; *performance* – with focus on health activities in relation to inputs, outputs, and outcomes being subjects of various types of analysis and evaluation; and *political/democratic* – with reference to ‘the institutions, procedures, and mechanisms that check on the government against electoral promises, ensures the public trust, responds to societal needs and represents citizens interests’. With respect to the sanctions Brinkerhoff has referred to both the formal ‘requirements and penalties covered by law or regulations’ such as professional codes of conduct and informal ones such as ‘public exposure or negative publicity’ [7, pp. 5–7].

In contrast to the above mentioned studies, the majority of which is descriptive and concerning the specific relations in the US health market, a comparative analysis of health care systems’ accountability for the European countries has been lately undertaken by the WHO Regional Office For Europe in collaboration with its Member States [18]. As publicly financed services in these countries constitute the major part of delivered services, the notion of accountability has been defined as a ‘spectrum of approaches, mechanisms and practices used by the stakeholders concerned with public services to ensure a desired level and type of performance’. The main analytical axis of this study was focusing on three aspects related to strengthening the accountability of health systems i.e. 1) *setting overarching outcomes*, 2) *performance measuring through comprehensive sets of indicators* and 3) *systematic reviewing health systems performance*. All these aspects were under project surveillance during the five years period from 2008 until 2012.

The results show that the majority of countries defines health system outcomes usually within a national health strategy (NHSP) or other types of target programmes; that

out of 53 countries 32 make use of system performance indicators; and that only 18 countries carry out a systematic review of health systems performance. The study also reveals the existence of considerable differences in the ways of monitoring health system performance among countries. These differences were noticeable in 'variation in depth and breadth across the indicators used by countries' as well as in the reasoning that lays behind their use. According to the report the number of overarching indicators was varied from 26 up to 1000 with average of 100 indicators and their choice in some countries was determined by the 'process of health system reform while in others, they were used on regularly basis or in the context of national strategies or designed programmes'. What is worth to mention is that among 53 Member States of the WHO European Region, the EU Member States were the group of countries with more homogeneous results.

This can be explained by the fact that the process of health systems monitoring and assessment in EU MS has been already addressed by the European Commission for more than one decade<sup>1</sup>. Although in institutional and legal aspects, full responsibility for the organization of national health care systems, "the management of health services and medical care and the allocation of the resources assigned to them"<sup>2</sup> lies with the Member States, the European Union within its respective competences may act in the area of health care in accordance with the principle of subsidiarity and proportionality<sup>3</sup>. This happens in a situation where joint actions can prove more effective or where it is necessary to manage issues having a cross-border dimension, for example, those related to patients' rights<sup>4</sup> or health threats caused by pandemics or bioterrorism.

With regard to the functioning of health systems, the European Commission, in close cooperation with Member States, takes initiatives to straighten the transparency and accountability of their health systems and to promote and coordinate health policies between countries. The effects include among others strategies developed by the Commission in the field of health care and EU health programmes. They are aimed at the establishment of guidelines and indicators, the organisation of exchange of best practice, and the preparation of the necessary elements for periodic monitoring and assessments of health systems performance in Member States<sup>5</sup>.

In this context, it is worth noticing the proposed objectives in the area of the EU health policy coordination under the currently implemented strategy "Investing in Health"<sup>6</sup> for 2014–2020 targeted at ensuring the effectiveness and financial sustainability of the European health systems. These objectives stem directly from problems associated with the economic recession<sup>7</sup>, demographic structural changes and shifting epidemiological disease patterns across the population. The strategy focuses, among others, on the need to support the development of information systems and analytical tools designed to evaluate the performance of health systems. In particular, it provides for measures to strengthen the transparency and accountability of health systems in the EU Member States by monitoring the amounts and structure of the health care expenditure in the context of health outcomes, measured by improvement

in the population health indicators. Operationalization of the objectives set forth within the strategy is supported among others by the EU health programmes, under which the European Commission identifies specific actions, actors and institutions concerned, and also secures the funds necessary for their implementation.

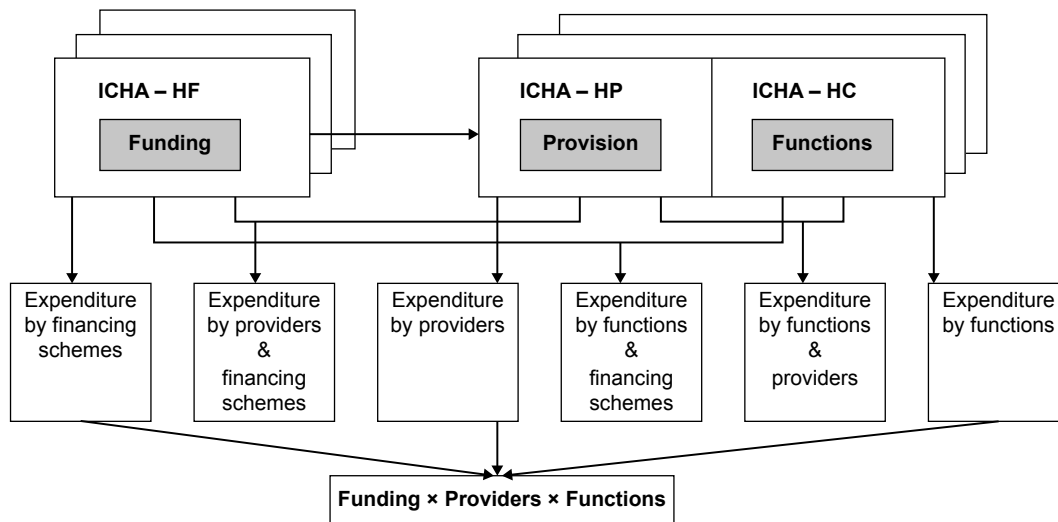
The effects of the Commission's commitment to the development of statistical information systems in health care can be traced by analysing the use of the EU's statistical programme<sup>8</sup> for development and update of the European databases<sup>9</sup> or by tracking the process of drawing up legislation in the field of European statistics<sup>10</sup>. Other activities of the Commission in this area include: organizing platform for coordination of best practice and exchange of experience between the Member States<sup>11</sup>, arranging and financing of meetings and expert panels, publication of reports<sup>12</sup> and methodological materials [23] as well as cooperation with other international organizations for development of statistical systems and harmonization of data collections. One of the examples and at the same time a tangible result of these measures taken by the Commission for the development of statistical information systems in the field of health is the System of Health Accounts (SHA).

### **The development of the SHA accounting framework in the EU statistical system**

Works on the concept of an integrated system of accounts in the health sector began in the second half of the 1990s on the initiative of the OECD in collaboration with EUROSTAT<sup>13</sup>. The works resulted in the OECD's publication of the first version of the System of Health Accounts (SHA 1.0)<sup>14</sup> in 2000. In 2002, the European Parliament, within the programme of Community action in the field of public health<sup>15</sup>, set – as one of the three objectives of Community action – the need to improve information and knowledge for the development of public health, including the development of databases and information transmission system, which should facilitate the evaluation and presentation of facts on the public health, health policy results, measures taken within the organization and financing of health services as well as the effects of reforms and projects implemented in the field of health care. As a result of these actions, EUROSTAT recommended the implementation of the SHA in the Member States of the European Union, whereas the Community health programme provided for the funds to implement a range of projects supporting further development of the methodologies and implementation of the system within the national statistical frameworks<sup>16</sup>. In connection therewith, by 2005, projects or works on implementing the System of Health Accounts in the national statistical systems were under way in most EU Member States.

The next step was the agreement on the coordination of joint health accounts data collection based on SHA 1.0<sup>17</sup> signed by EUROSTAT, OECD and WHO in 2006. It should be emphasized that the EU Member States worked on the implementation of the SHA in the national

Figure 1. The flow of information under the SHA core accounting framework



Source: A SHA (2000), p. 24, adopted by the author to the revised version of SHA (2011) [23].

statistical systems and transmitted the data to Eurostat under the so-called gentlemen's agreement adopted in the framework of the Eurostat's Working Group of Public Health Statistics<sup>18</sup>. In practice this meant that the conceptual work, data and information acquisition as well as cooperation with numerous centres and entities managing this information at the national level depended heavily on the determination of people directly involved in the creation of this system at the national level. The tangible result of this work was the fact that in 2015 a total of 39 OECD and EU member states, including the 26 EU Member States<sup>19, 20</sup>, were transmitting the data in accordance with the SHA protocol to these organizations.

In 2007 started the formal process of the SHA revision as a cooperative activity of the three organisations (Eurostat, OECD, WHO) and their Member States resulting in publishing the new version of the SHA manual in November 2011 [23]. The various drafts of the manual has been the subject of intensive and wide-reaching consultation process which involved national experts, institutions and organisations from all around the world. The work on revised version of SHA has become an opportunity to extend the core accounts for additional accounting interfaces under which, among other, the financial flows can be link with non-financial data and indicators. In developing the revised manual great importance has been given to policy relevance, feasibility, and sustainability [23, p. 20].

In march 2015, after three years process of preparatory work, the Commission Regulation as regards statistics on healthcare expenditure and financing<sup>21</sup> has entered into force. It paved the path for a number of Member States to formalize this collaboration, which for some of them meant that works on the annually developed national health accounts have been entered into plans and task budgets of the institutions coordinating the statistics in this field. According to the adopted regulation, start-

ing from 2016, the EU Member States are required to transmit the data following the new SHA methodology (2011 Edition) [23] at the level of aggregation specified in the Annex to the Regulation<sup>22</sup>. A reference year shall be 2014, which means that the data transmitted under this Regulation should be available by the end of 2016.

### SHA core accounting framework – tracking trends in health spending [25]

System of Health Accounts (SHA), as an international statistical reporting system, offers methodologies for creating a 'family' of interconnected standard tables designed to ensure an organized description of financial flows associated with the consumption of goods and services in the field of health (core account) and additional tables combing financial flows with non-financial data and indicators of the resources used as well as the measures of health care outputs (extended account). The added value of SHA stems, among others, from the fact that it is based on functionally defined boundary of the health sector, and refers to the common criteria, definitions, classifications and reporting rules. These features result in more consistent over time and more comparable across countries data collections thus enable for tracking trends in health care spending.

The core account is organised based on a three-dimensional system allowing to classify the expenditures on health care by<sup>23</sup>: function (ICHA-HC), providers (ICHA-HP) and financing schemes (ICHA-HF) of health services (Figure 1).

The compilation of data according to the foregoing three core classifications of SHA allows to answer three basic, however of great importance questions for the transparency of financials flows in health care sector and for responsiveness to it of health policy:

- what kinds of health care goods and services are consumed? (functional perspective);
- which health care providers deliver these goods and services? (providers) and
- which financing scheme pays for these goods and services? (funding).

As a result, any final, health care goods or services provided to consumers can be described in one, two, or simultaneously three dimensions, according to the approach that the value of consumed health care goods and services corresponds to the value of these provided, and thus the amount of the expenditures incurred in this respect.

The versatility of the functional approach stems from the fact that expenditures on health care goods and services are classified by defined functions i.e. forms of activity relating to the implementation of specific tasks of the health care system<sup>24</sup>, thus regardless of the country organization and financing of health services. This approach is of particular importance for analysis of health expenditure and their cross-country comparisons, since it involves delineation of the boundaries of the health care sector common to all the countries, and thus an objectively unified scope of statistical reporting.

The spending on health care goods and services classified according to this approach<sup>25</sup> can be analysed from the perspective of the goods and services consumed individually (e.g. diseases treatment, rehabilitation services, long-term nursing care, ancillary services associated with e.g. diagnostics, pharmaceuticals and other medical goods provided on an outpatient basis) and those consumed collectively (public health programmes and the administrative and governance tasks performed in the health care system as a whole). The goods and services consumed individually may involve a further breakdown of expenditure, taking into account the mode of their production and use (inpatient care, day care, outpatient care and care provided at patient's home). Such a breakdown reflects the fundamental differences between the countries health systems, resulting from the technical and organizational aspects of healthcare provision, solutions used in the health care management and assessment of their effectiveness.

The functional classification recognizes additional a number of the so-called 'health care-related functions' and 'memorandum items'<sup>26</sup>. Information on long-term social care expenditures (including cash and in-kind benefits) and the long-term health care expenditures allow to monitor the financial burdens on the health care system in connection with the aging populations. It is of fundamental significance for actions aimed at ensuring the cohesion and stability of health and social security systems in the long term. Information on expenditure on food control, hygiene and drinking water as well as on environmental health allow to expand the research area with additional (other than health care related) determinants of public health. On the other hand, information on expenditures related to the education and training of medical personnel or health care research and development can provide a starting point for the analysis aimed to evaluate the investment in human capital or development of innovation in the health care sector.

The exhaustiveness of expenditure classification by providers<sup>27</sup> of health care goods and services is manifested by the fact that it includes both the national entities, institutions and individuals, for which the provision of health goods and services is primary activity (e.g. hospitals, individual medical practices, diagnostic laboratories, pharmacies etc.) as well as those for which the provision of such goods and services are secondary or one of many others activities pursued (e.g. correctional facilities, companies providing occupational medicine services to their employees, or households, which provide care to their family members). The category of 'foreign providers' includes the expenditure on goods and services acquired by residents of a given country abroad. In general expenditures classified by providers of health care goods and services reflect the organizational structure for provision of health care services, typical for a given country. Thus, the analyses carried out using this approach are useful primarily for the assessment of the economic performance of the activities pursued, by selected groups of providers within a country or, for example, in one of it regions.

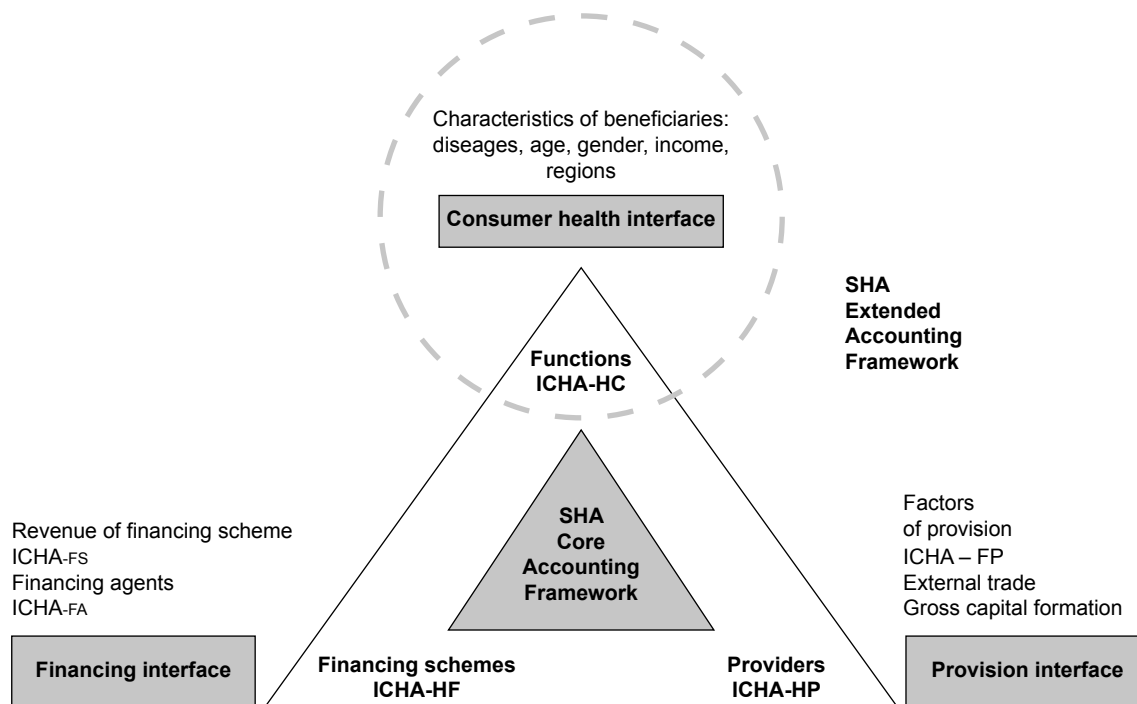
On the other hand, pragmatism in classification of health care financing<sup>28</sup>, results for the possibility to recognize expenditures by categories relating to the institutional sectors of the economy, defined under the System of National Accounts (SNA) and by categories of financing schemes, relating to the concept of social security funds, as defined in the framework of the European System of Integrated Social Protection Statistics (ESSPROS). This solution enables compatibility between SHA classifications with other statistical system classifications. The additional classification of revenues<sup>29</sup> of health care financing schemes (e.g. social security contributions, transfers from abroad, or government transfers, co-payments by households, employers etc.) allows to obtain the information on the volume and structure of revenues, the manner of their collection and their flows between institutional sectors of the economy. In this way, SHA allows for the analysis of financial flows in each country, regardless of the health care financing solutions adopted within the framework of a given system.

### **SHA extended accounting framework — linking expenditure to treatment of disease**

The three basic approaches for classification of health care expenditures presented above may serve as a starting point for the in-depth multidimensional analysis, using additional non-financial data and information (**Figure 2**), respectively, from the perspective of *providers* (providers of health goods and services), *payers* (institutions, organizations and individuals financing health services), and *consumers* (i.e. beneficiaries of health services),

The production interface delves into the cost structures of health care provision and provide a separate treatment of capital account and of external trade account, while the financing interface allows for systematic assessment of how finances are mobilize, manage and used, including the financing arrangements, the institu-

Figure 2. SHA core and extended accounting framework



Source: OECD, EUROSTAT, WHO, *A System of Health Accounts. 2011 Edition*, OECD Publishing, 2011: 55 [23] (modified by the author).

tional units and the revenue raising mechanism. On the other side the consumer health interface enables to explore the breakdown of health expenditure by beneficiary characteristics [23, p. 21]. An example of such a multi-dimensional analysis performed from the perspective of a consumer of health care goods and services, may be the linking of the three basic classifications of health care expenditures with the data on the use of health services by the entire population or specific groups of beneficiaries<sup>30</sup> broken down by e.g. age, gender, place of residence, household income or a group of diseases. Such analyses allow for obtaining the information on: who (according to selected characteristics) is the “beneficiary” of health care services and goods, who pays for them, what are those goods and services and who provides them.

These analyses are vital not only from the point of view of health policy, but also policies aimed at implementing the criterion of social justice adopted in each Member States (analyses of affordability)<sup>31</sup> and ensuring territorial cohesion and sustainable development (analysis of spatial accessibility and affordability of services)<sup>32</sup> at the Community level. Similarly, the use of the information on the place of residence with a breakdown into residents and non-residents makes it possible to monitor the volume and direction of patient mobility and the scale of transactions with foreign countries (exports and imports of goods and services)<sup>33</sup>, which is of particular importance in the context of the EU Directive on patients’ rights in cross-border healthcare<sup>34</sup>.

The demographic situation of the population and the associated health condition of the population, determine

significantly the shape of the demand for health care services. This requires adjustment on the supply side, through necessary adaptations in the way the health care goods and services are organized or delivered in different types of health care facilities including stationary (hospitals, long-term care) and ambulatory care facilities, or nursing homes [28]. The fact that the demand for health services varies depending on the age and gender has also its consequences for the allocation of financing means within the health care sector. Results of analyses conducted in this direction are often used as corrective factors for allocation formulae designed for the needs of various types of compensation mechanisms between regions of a country in connection with the demographic diversity of these regions. The process of population aging and the related increase in the burden on the public sector is another example of the problems, which in recent years have become an area of concern of socio-economic policy, both at the level of individual Member States and the entire European Union. In this context, information on health care expenditures broken down by age and gender can be used in projection developed, among others, for the purpose of estimating short-term and long-term trends in these expenditures as well as the total public spending.

Classification of expenditure on health care goods and services broken down by specific groups of diseases (according to ICD)<sup>35</sup> as the reason for use of health care services provides information that can be used to develop strategies in the field of health priorities, planned interventions or programmes for prevention of epidemics,

that focused to eliminate such problems. This analysis can be further extended into direction of the so called Cost-of-Illness studies (COI) by estimating the total costs (direct, indirect and intangible costs) of diseases or specific health conditions, output of which provide information on the actual burden caused thereby not only for the sick person, the family, or health care budgets, but also for the whole economy. At the macroeconomic level, the important information is which of groups of diseases exert the major impact – in terms of lost opportunities and resources – on the GDP, or social welfare level.

The analysis of the fund allocations by payers (sources of funding) and by disease groups, allows to address the question: *Who finances the benefits aimed to reduce the occurrence of specific health problems?* At the health sector level, this information includes, for example, the knowledge on the diseases which consume the most resources (financial, human and capital), or which impose burden on the state budget. It could be also used, by the insurance funds to estimate the insurance risks, by the Ministry of Health to determine the pool of medical services financed by public funds, or for example to introduce or vary/differentiate charges for patients using specific health care services. In turn, an analysis of the allocation of expenditure by providers of health care goods and services with a breakdown into disease groups provides the information about *who provides these services* and thus gives an answer which of provider universe bears the highest costs of treating these diseases. As a results this information can be used for decision-making regarding the conditions for reimbursement of benefits depending on the volume of medical costs incurred by certain groups of providers (e.g. hospitals vs. outpatient practices).

The evaluation of economically reasonable and efficient allocation of resources<sup>36</sup> to the selected types of health interventions or programmes (by functions or by group of diseases) can be achieved by comparing the financial input (by factors of provision)<sup>37</sup> and the output (e.g. number of hospital discharges, outpatient consultations and diagnostic tests) with a breakdown by individual providers of health care goods and services. Additionally, the linking of financial data with information on the number of specific type of services provided can be used to estimate the average unit costs for groups of services necessary for treatment of diseases, which in turn can be used to determine the price indices<sup>38</sup> in the health care sector. Furthermore measuring and monitoring of changes in the health care expenditures classified by selected characteristics of the beneficiaries (age, gender, disease) and their subsequent correlation with changes in the health status of the population, using indicators such as life expectancy, healthy life years (HLY) and quality-adjusted life years (QALY), provides the information on the expenditures incurred and the health outcome achieved. This knowledge is essential and should be the starting point for properly implemented health policy, introduced reforms and opinions formulated about the effectiveness of the health care system functioning<sup>39</sup>.

## Conclusion

The complexity of health care system results among others from a large number of entities involved in health care activities, a high degree of interrelatedness between various system components and the uniqueness of those relations many of which generate a high level of uncertainty regarding health care outcomes. As demonstrated, the SHA accounting framework due to the tri-axial approach to health care expenditure has capacity which allow countries, regardless of their organisation and financing of health care service, to trace the financial flows between these interrelated parties and interconnected components of health system.

The adaptive nature of health system stems from the necessity of adjusting the various system components to the changing environment, both inside and outside the health care sector, and associated challenges such as: aging population, changes in epidemiological risk profiles, development of advanced medical technology, growing expectations of health care beneficiaries, or economic downturn, to name a few. Therefore by expanding the SHA core accounting framework into three analytical interfaces countries would be able, depending on setting health outcomes, to focus their attention on specific areas of health and social policy interest.

To put in nutshell: A System of Health Accounts (SHA), holds the features which – if rigorously introduced under the national statistical system – could provide access to reliable, timely, and consistent (internally and over the time) health data, at the same time compatible with other aggregated economic and social statistical systems. Last but not least data collected under SHA framework can be comparable across countries. Therefore the SHA output has potential to become an important data and information dimension to be used by EU Member States for monitoring their health care sector's sustainability and by EU Commission Services for designing, inter alia, the comprehensive set of health care indicators and drawing recommendation for health policy.

## Notes

<sup>1</sup> The concept of health systems monitoring and assessment was introduced in 2006 as part of the open method of coordination (OMC). The OMC is a method of soft governance towards EU goals through exchange of best practice among Member States, including specific benchmarks and indicators, in those policy areas which fall under the partial or full competence of Member States. (see: [EC communication on: *Working together, working better: A new framework for the open coordination of social protection and inclusion policies in the European Union*, COM (2005) 706 final] [19].

<sup>2</sup> See Article 168 of the consolidated version of the Treaty on the Functioning of the European Union, OJ C 326, 12/10/12 p. 47 (hereinafter: the TFEU) [20].

<sup>3</sup> See Article 5 of the consolidated version of the Treaty on the European Union, OJ C 326, 26/10/2012 p. 13 [20].

<sup>4</sup> See Directive 2011/24/EU of the European Parliament and of the Council of 9 march 2011 on the application of patients' rights in cross-border healthcare, OJ L 88, 4.4.2011 [21].



<sup>5</sup> See Article 168 of the TFEU [20].

<sup>6</sup> Investing in Health in Social Investment Package, the Commission Staff Working Document, SWD (2013) 43 final, 02.20.2013 [22].

<sup>7</sup> With respect to the financial crisis, the European Union has taken a number of additional measures relating to a widely understood economic governance, which have either directly or indirectly affected the functioning of health systems in the Member States. They include short-term measures aimed at stabilizing the economic situation and helping those Member States that are most deeply mired in crisis as well as long-term measures designed to reinforce the monitoring and coordination of economic policies of the Member States. Examples of the former are the economic adjustment programmes for Greece, Ireland, Portugal and Cyprus, which provide for savings and corrective actions in various areas of economic and social activities, including the health sector. An example of the latter is the procedure of the European Semester, which serves to reinforce the area of public finances in Member States and to support national projects covered by the objectives of the “Europe 2020” strategy.

<sup>8</sup> Five-year and two-year programmes are developed using the European Statistical System (ESS) i.e. a partnership between the Community statistical authority (EUROSTAT), the national statistical institutes (NSIs) and other national authorities responsible in each Member State for the development, production and dissemination of European statistics. This Partnership also includes the EEA and EFTA countries. The role of EUROSTAT in the ESS is to initiate and coordinate the work aimed at the harmonization of European statistics.

<sup>9</sup> See EUROSTAT database [http://epp.eurostat.ec.europa.eu/portal/page/portal/statistics/search\\_database](http://epp.eurostat.ec.europa.eu/portal/page/portal/statistics/search_database); See European health indicators: HEIDI Data Tools [http://ec.europa.eu/health/indicators/indicators/index\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/indicators/indicators/index_en.htm); accessed: 17.03.2016.

<sup>10</sup> Regulation (EC) No 1338/2008 of the European Parliament and of the Council of 16 December 2008 on Community statistics on public health and health and safety at work, OJ L 354, 31.12.2008.

<sup>11</sup> See the Commission Communication “A renewed commitment to social Europe: Reinforcing the Open Method of Coordination for Social Protection and Social Inclusion”, COM (2008) 418 final, Brussels, 2.7.2008.

<sup>12</sup> European Commission, Joint Report on Health Systems, Occasional paper 74 / December 2010 (source: [http://europa.eu/epc/pdf/joint\\_healthcare\\_report\\_en.pdf](http://europa.eu/epc/pdf/joint_healthcare_report_en.pdf); accessed: 25.09.2016).

<sup>13</sup> For the purpose of this cooperation, Eurostat set up Task Force on Health Care Statistics, the aim of which was to discuss and comment various draft versions of SHA which were produced between 1998–2000.

<sup>14</sup> OECD (2000) A system of Health Accounts (version 1.0) OECD Publishing (hereinafter: SHA 1.0) [24].

<sup>15</sup> Decision No 1786/2002/EC of the European Parliament and of the Council of 23 September 2002 adopting a programme of Community action in the field of public health (2003–2008), OJ L 271, 09.10.2002.

<sup>16</sup> See, for example SHA Practical guidance for implementing A System of Health Accounts in the EU, Eurostat/UK ONS, 2003; SHA – Results of Health Account Data in Europe, Eurostat/BASYS- Germany 2004; Multi-Beneficiary Programme for Statistical Co-Operation with the Phare Countries Eurostat/ICON-Germany, 2004–2006.

<sup>17</sup> This agreement provided, among others, for preparing a joint EU-OECD list of SHA national respondents. Starting from December 2005, EUROSTAT and OECD send a joint SHA questionnaire, verify the data received and share the databases developed on the basis thereof in accordance with individual schedules of each of these institutions.

<sup>18</sup> The Eurostat Working Group on “Public Health Statistics”.

<sup>19</sup> In Poland, the works on the pilot system of health accounts lead were conducted in 2001–2002 at the request of the Office of Foreign Aid Programmes in Health Care (see Schneider M., Kawiorska D. et al., *System of Health Accounts in Poland*, Office of Foreign Aid Programmes in Health Care, Warsaw, March 2002: 1–194) and since 2004, the work on health accounts have been managed by the Central Statistical Office within the framework of the Programme of Public Statistical Surveys (see CSO, National Health Accounts for 2010).

<sup>20</sup> The countries, where the preparatory works are still pending include Ireland and Italy.

<sup>21</sup> Commission Regulation (EU) 2015/359 of 4 March 2015 implementing Regulation (EC) No 1338/2008 of the European Parliament and of the Council as regards statistics on healthcare expenditure and financing (see OJ L 62/6).

<sup>22</sup> This Annex provides the basis for the detailed questionnaire and the accompanying guidelines used in the joint annual collection and transmission of data from Member States by Eurostat.

<sup>23</sup> As defined in the International Classification of Health Accounts (ICHA), developed for the purpose of the revised System of Health Accounts (SHA 2011) [23].

<sup>24</sup> The tasks performed through the application of medical, paramedical and nursing knowledge and technologies include: health promotion and prevention; diagnosis, treatment, cure and rehabilitation of illness; caring for persons affected by chronic illness; caring for persons with health-related impairment and disability; palliative care; providing community health programmes; governance and administration of the health system (for more see: SHA (2011): 52–69 and 72–117) [23].

<sup>25</sup> For more see: SHA (1.0): 111–128, and SHA (2011): 71–120 [23].

<sup>26</sup> It refers to the activities beyond the functionally defined boundaries of the health care sector.

<sup>27</sup> For more see: SHA (1.0): 135–148 and SHA (2011): 121–153 [23].

<sup>28</sup> For more see: SHA (1.0): 151–156 and SHA (2011): 153–194 [23].

<sup>29</sup> See SHA (2011): 196–210 [23].

<sup>30</sup> For more see SHA (2011): 196–246 [23].

<sup>31</sup> The affordability, analysed on the macro-economic level, remains in close connection with the procedures for awarding the rights to use the health services, while on the micro-economic level it is described as the patient’s ability to bear the costs associated with the use of health care. See Włodarczyk C.W., *Polityka zdrowotna w społeczeństwie demokratycznym*, Uniwersyteckie Wydawnictwo Medyczne „Vesalius”, Kraków 1996: 302 [26].

<sup>32</sup> The spatial accessibility is identified as the relationship between the distribution of health care infrastructure and human resources and the distribution of the population reporting the health needs. In turn, the availability of services is defined as the relationship between the scope and types of existing benefits and the scope and types of consumer needs, or possibly

as the adequacy of supply to the needs on the market for medical services (Kisiała W., *Organizacja przestrzenna a zmiany dostępności oddziałów ratunkowych w Polsce*, University of Economics, Scientific Papers, Poznań 2012 [27].

<sup>33</sup> For more see SHA (2011): 223–270 [23].

<sup>34</sup> See Directive 2011/24/EU of the European Parliament and of the Council of 9 March 2011 on the application of patients' rights in cross-border healthcare, OJ L 88, 4.4.2011.

<sup>35</sup> *International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems. – 10<sup>th</sup> Revision*, edition 2010, WHO, 2011 [29].

<sup>36</sup> In formulating health care priorities at the microeconomic level, one can use e.g. cost-benefit analysis, under which the costs of alternative programmes are compared with the benefits deriving from their implementation.

<sup>37</sup> For more see: SHA (2011): 211–224 [23].

<sup>38</sup> For more see: SHA (2011): 301–318 [23].

<sup>39</sup> Given the special nature of the health care goods and services, the output, meaning the effect (where measuring the effectiveness), shall be deemed to be the result of treatment understood as a change in health status measured e.g. as the life expectancy, or using synthetic indicators e.g. healthy life years (HLY), or quality-adjusted life years (QALY), while the output in terms of service/product (where measuring the efficacy) shall be deemed to be the service provided e.g. number of hospital discharges or dental visits.

## References

- Pourbohloul B., Kieny M.P., *Complex systems analysis: towards holistic approaches to health systems planning and policy*, "Bulletin of the World Health Organization" 2011; 89: 242–242.
- Kannampallil T.G., Schauer G.F., Cohen T., Patel V.L., *Considering complexity in healthcare systems*, "Journal of Biomedical Informatics" 2011; 44, (6): 943–947.
- Sturmborg J., O'Halloran Di. M., Martin C.M., *The Dynamics of Health Care Reform – Learning from a Complex Adaptive Systems Theoretical Perspective*, "Journal of Evolution in Clinical Practice" 2012; 18: 202–208.
- Baxter G., *White paper: Complexity in health care*, LSCITS, 2010, <http://lscits.cs.bris.ac.uk/docs/Complexity+in+Health+Care.pdf>; accessed: 25.08.2016.
- Davino J.M., *Complexities of Delivering Health Care*, "The Journal Of Global Health Care Systems" 2011; 1 (4), <http://jghcs.info/index.php/j/article/view/90>; accessed: 30.08.2016.
- Pourbohloul B., Kieny M.P., *Complex systems analysis: towards holistic approaches to health systems planning and policy*, "Bulletin of the World Health Organization" 2011; 89: 242–242.
- Brinkerhoff D., *Accountability and Health Systems: Overview, Framework, and Strategies*, Partners for Health Reformplus, 2003, <http://www.who.int/management/partnerships/accountability/AccountabilityHealthSystemsOverview.pdf>; accessed: 13.07.2016.
- Ezekiel J.E., Linda L.E., *What Is Accountability in Health Care?*, "Annals of Internal Medicine" 1996; 124 (2): 229.
- Rosen B., Israeli A., Shortell S. (eds), *Accountability and Responsibility in Health Care. Issues in Addressing an Emerging Global Challenge*, World Scientific Series in Global Health Care Economics and Public Policy, 2013, vol.1.
- Business Dictionary*, <http://www.businessdictionary.com/definition/accountability.html>; accessed: 24.07.2016.
- Battisti R., Steelman V.M., *Accountability in Nursing Practice: Why It Is Important for Patient Safety*, "AORN Journal" 2014; 100 (5): 537–541.
- Zelisko D., Baumann A., Gamble B., Laporte A., Deber RB., *Ensuring accountability through health professional regulatory bodies: the case of conflict of interest*, "Health Policy," 2014; 10 (Spec. issue): 110–120.
- Relman A., *Assessment and Accountability: The Third Revolution in Health Care*, "New England Journal of Medicine" 1988; 319: 1220–1222.
- Tuohy C.H., *Agency, Contract and Governance: Shifting Shapes of Accountability in the Health Care Arena*, "Journal of Health Policy, Politics and Law" 2003; 2–3: 195–215.
- Daniels N., Sabin J., *The Ethics of Accountability in Managed Care Reform*, "Health Affairs" 1998; 5: 50–64.
- Dobalian A., Rivers P.A., *Ensuring quality and accountability in managed care*, "Journal of Health and Human Services Administration" 1998; 21 (1): 30–41.
- Emanuel E.J., Emanuel L.L., *What is accountability in Health Care?*, "Annals of Internal Medicine" 1996; 124 (2): 229–239.
- Tello J., Baez-Camargo C. (eds), *Strengthening health system accountability: a WHO European Region multi-country study*, WHO Regional Office for Europe 2015.
- EC communication on: *Working together, working better: A new framework for the open coordination of social protection and inclusion policies in the European Union*, COM (2005) 706 final.
- Treat on the European Union, OJ C 326, 26/10/2012 TFEU.
- Directive 2011/24/EU of the European Parliament and of the Council of 9 March 2011 on the application of patients' rights in cross-border healthcare, OJ L 88, 4.4.2011.
- Health in Social Investment Package*, the Commission Staff Working Document, SWD (2013) 43 final, 02.20.2013.
- OECD, EUROSTAT, WHO, *A System of Health Accounts*. 2011 Edition, OECD Publishing, 2011.
- OECD, *A System of Health Accounts*, OECD Publishing, 2000.
- Kawiorska, D., *Potencjał analityczny Systemu Rachunków Zdrowia*, "Ekonomia i Środowisko", 2013; 2 (46): 167–170.
- Włodarczyk C.W., *Polityka zdrowotna w społeczeństwie demokratycznym*, Uniwersyteckie Wydawnictwo Medyczne "Vesalius", Kraków 1996.
- Kisiała W., *Organizacja przestrzenna a zmiany dostępności oddziałów ratunkowych w Polsce*, University of Economics, Scientific Papers, Poznań 2012.
- GUS, *Informacja Ministra Zdrowia na temat wpływu zmian demograficznych i starzenia się społeczeństwa na organizację systemu ochrony zdrowia i Narodowy Program Zdrowia*, <http://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/ludnosc/ludnosc/ludnosc-w-wieku-60-struktura-demograficzna-i-zdrowie,24,1.html>; accessed: 15.10.2016.
- International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems. – 10<sup>th</sup> Revision*, edition 2010, WHO, 2011.