



ZWIĘKSZANIE WRAŻLIWOŚCI METODY *COMPOSITE TIME TRADE-OFF* W SZACOWANIU UŻYTECZNOŚCI STANÓW ZDROWIA

MICHAŁ JAKUBCZYK

ZAKŁAD WSPOMAGANIA I ANALIZY DECYZJI

SZKOŁA GŁÓWNA HANDLOWA W WARSZAWIE

PODZIĘKOWANIA

- Prezentacja na podstawie artykułu, współautorzy: S. Lipman, B. Roudijk, R. Norman, E. Pullenayegum, Y. Yang, N.Y. Gu, E. Stolk
- Wyniki pochodzą z projektu finansowanego przez EuroQol Research Foundation

AGENDA

- Wprowadzenie: metoda *composite time trade-off* (cTTO) w szacowaniu użyteczności stanów zdrowia
- Motywacja: Problemy z cTTO
- Badanie: modyfikacje cTTO, logistyka badania
- Wyniki



WPROWADZENIE

UŻYTECZNOŚCI STANÓW ZDROWIA

- Cel – pomiar ilości uzyskanego zdrowia (ocena technologii medycznych)
- Wykorzystanie – model QALY
(ang. *quality-adjusted life years*)
 - $u(Q,T) = u(Q) * T$
 - $u(FH) = 1$ (FH = pełne zdrowia, ang. *full health*)
 - $u(\text{zgon}) = 0$
- Q definiowane za pomocą np. kwestionariusza EQ-5D-5L

KWESTIONARIUSZ

EQ-5D-5L

MOBILITY

- I have no problems in walking about
- I have slight problems in walking about
- I have moderate problems in walking about
- I have severe problems in walking about
- I am unable to walk about

SELF-CARE

- I have no problems washing or dressing myself
- I have slight problems washing or dressing myself
- I have moderate problems washing or dressing myself
- I have severe problems washing or dressing myself
- I am unable to wash or dress myself

USUAL ACTIVITIES *(e.g. work, study, housework, family or leisure activities)*

- I have no problems doing my usual activities
- I have slight problems doing my usual activities
- I have moderate problems doing my usual activities
- I have severe problems doing my usual activities
- I am unable to do my usual activities

PAIN / DISCOMFORT

- I have no pain or discomfort
- I have slight pain or discomfort
- I have moderate pain or discomfort
- I have severe pain or discomfort
- I have extreme pain or discomfort

ANXIETY / DEPRESSION

- I am not anxious or depressed
- I am slightly anxious or depressed
- I am moderately anxious or depressed
- I am severely anxious or depressed
- I am extremely anxious or depressed

SZACOWANIE UŻYTECZNOŚCI

- Próba losowa z populacji generalnej
- Rozważane hipotetyczne stany zdrowia
- Ekonometryczna ekstrapolacja użyteczności do wszystkich stanów (dla EQ-5D-5L to 3125 stanów), tzw. *value set* (np. Golicki et al. 2019)
- Podstawową techniką szacowania dla EQ-5D-5L jest metoda handlowania czasem (TTO)

TTO – ILUSTRACJA

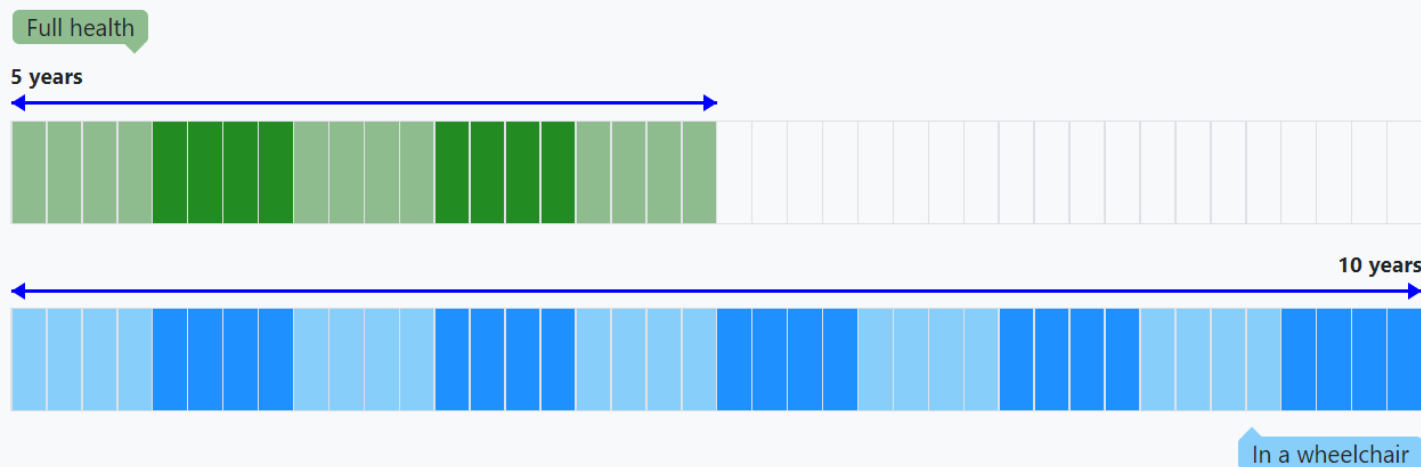
Which is better, Life A, Life B, or are they about the same? (press Reset to start anew for a given health state)



A

A & B are about the same

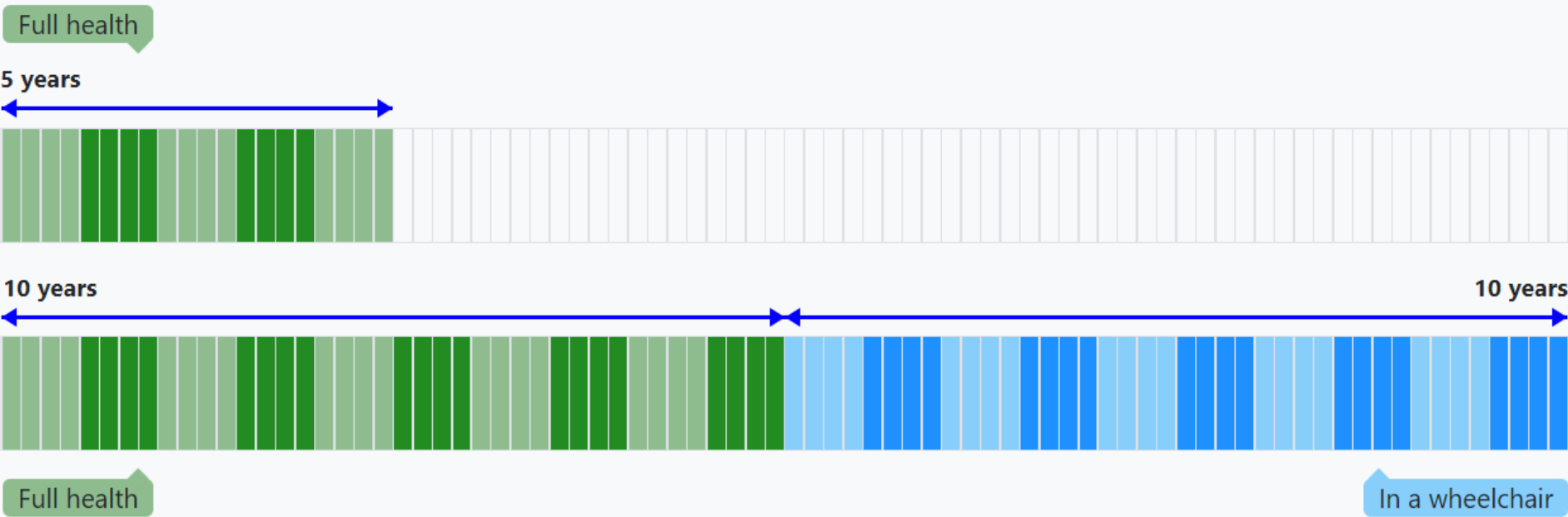
B



LEAD TIME TTO (LT-TTO)

- Standardowe TTO nie pozwala szacować $u(Q) < 0$, tj. stanów gorszych od zgonu (WTD = ang. *worse than dead*)
- LT-TTO – dodajemy 10 lat w FH do obu wariantów, aby umożliwić dalsze oddawanie lat
- Do LT-TTO przechodzimy, jeśli $(10, Q) < \text{zgon}$.
- standardowe TTO + LT-TTO = *composite TTO* (cTTO)
- cTTO wystandaryzowane (tzw. protokół EQ-VT 2.1) i powszechnie używane

LT-TTO – ILUSTRACJA



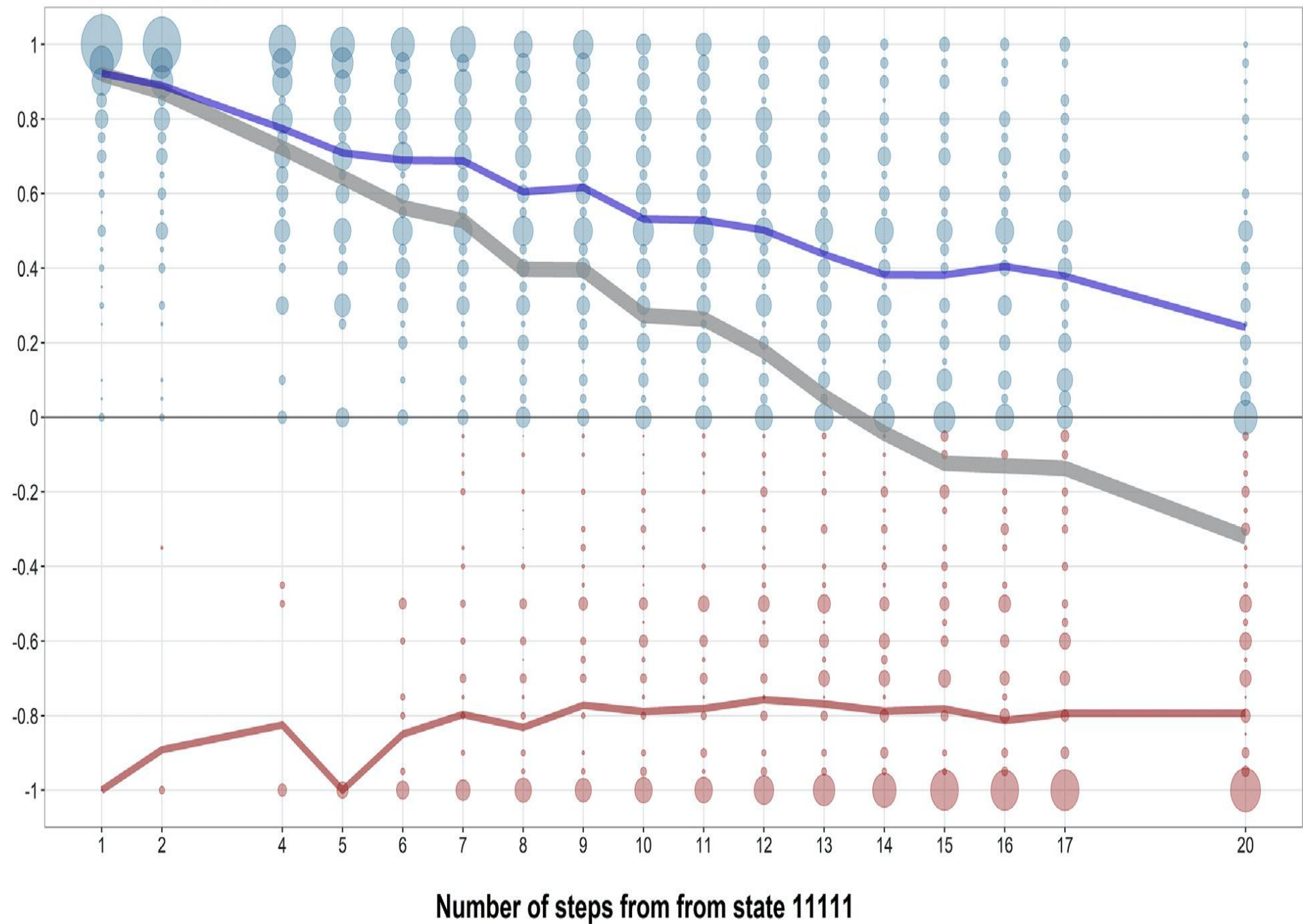


MOTYWACJA

PROBLEMY Z CTTO

- *Non-trading* (NT), tj. przypisywanie $u(Q)=1$
 - >6% ogółem w polskim badaniu (dla niektórych stanów >30%)
 - >50% respondentów choć raz
 - utrata dokładności oszacowań małej poprawy zdrowia
 - preferencje leksykograficzne? → model QALY nie działa
- *All-in-trading* (AIT), tj. oddawanie wszystkich lat w LT-TTO, $u(Q) \leq -1$, cenzurowanie
 - >10% przypadków w polskim badaniu
 - Brak informacji o zakresie użyteczności,
 - zawyżanie użyteczności → zaniżanie korzyści z poprawy złego stanu zdrowia
- Brak korelacji między ciężkością stanu a ujemną użytecznością ($u(Q)$ cenzurowaną także w 0), por. Gandhi et al. 2019
 - oszacowania ujemnych użyteczności niewiarygodne?

Netherlands



HIPOTETYCZNE WYJAŚNIENIA

■ NT

- Preferencje leksykograficzne (czas > jakość)
- Mała rozdzielczość cTTO (jedynie półroczna)
- Awersja do strat i inne – handlowanie powoduje skracanie profilu (FH,T)

■ AIT

- Preferencje
- Nieciągłość preferencji dla (FH,T) vs (FH,I0)+(Q,I0)
Q obecne tylko w jednym wariancie

■ Brak korelacji ciężkości i ujemnej użyteczności

- Efekt bramkarza, (Q,I0) vs zgon.
- *À la* paradoks dźwięku Sheparda



BADANIE

PROJEKT BADANIA

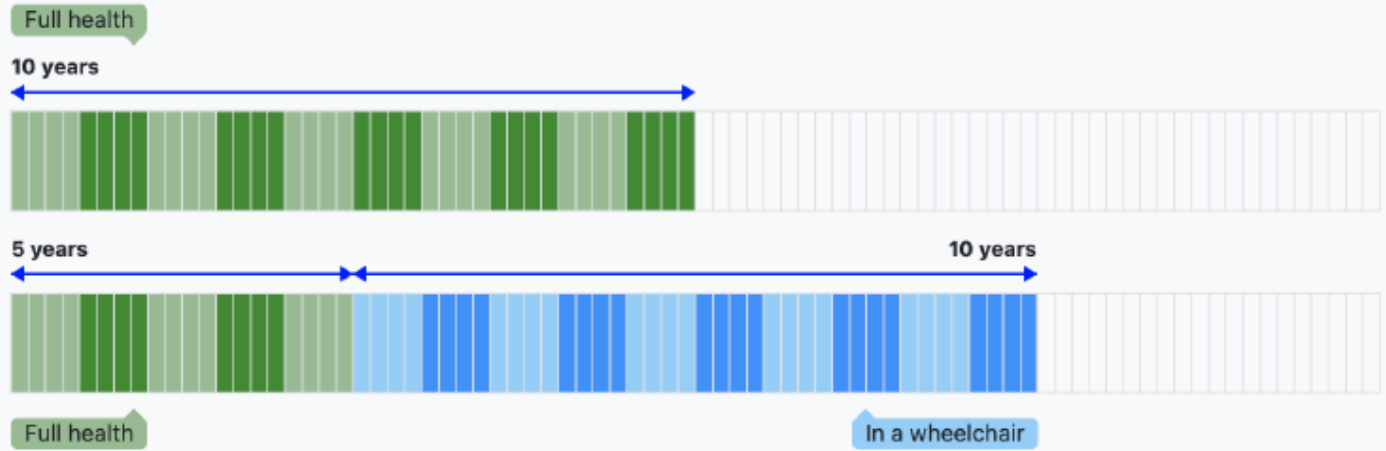
- Trzy ramiona: A, B i C (randomizacja)
- A = standardowe cTTO + dodatkowe pytania
 - NT: Umożliwienie handlowania krótkich okresów
 - AIT: $(Q,5)+(FH,5)$ vs $(Q,10)+(FH,10)$
- B – projektowane w celu usunięcia awersji do strat
 - $(FH,10)$ vs $(FH,T) + (Q,10)$, handlowanie poprawia ofertę
 - Dla WTD: $(FH,10)+(Q,10)+$ vs $(FH,T)+(Q,10-T)$
- C – usunięcie awersji do strat + jednolity format dla stanów lepszych i gorszych od zgonu

A

A & B are about the same

B

Reset

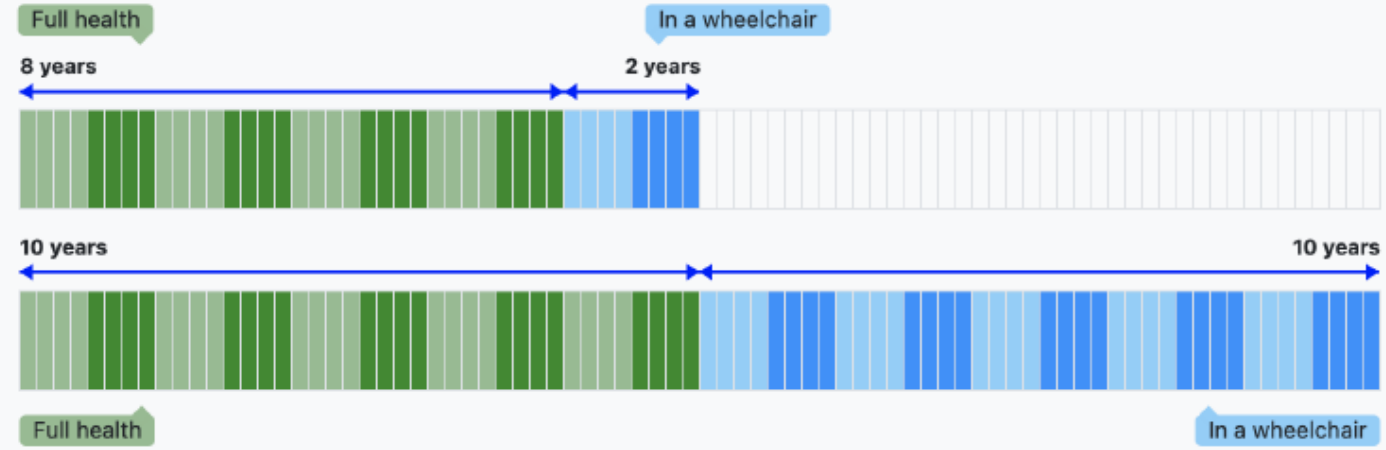


A

A & B are about the same

B

Reset



ORGANIZACJA BADANIA

- 478 respondentów, studenci Erasmus University Rotterdam, wynagrodzenie
- 5 ankieterów (2 doświadczonych, 3 studentów MSc)
- Badanie online przez Zoom, z dzieleniem ekranu aplikacji
- Ankieta ok. 45 min.
- Ankieterzy i ankietowani wynagradzani
- Zbieranie danych marzec-maj 2021



WYNIKI

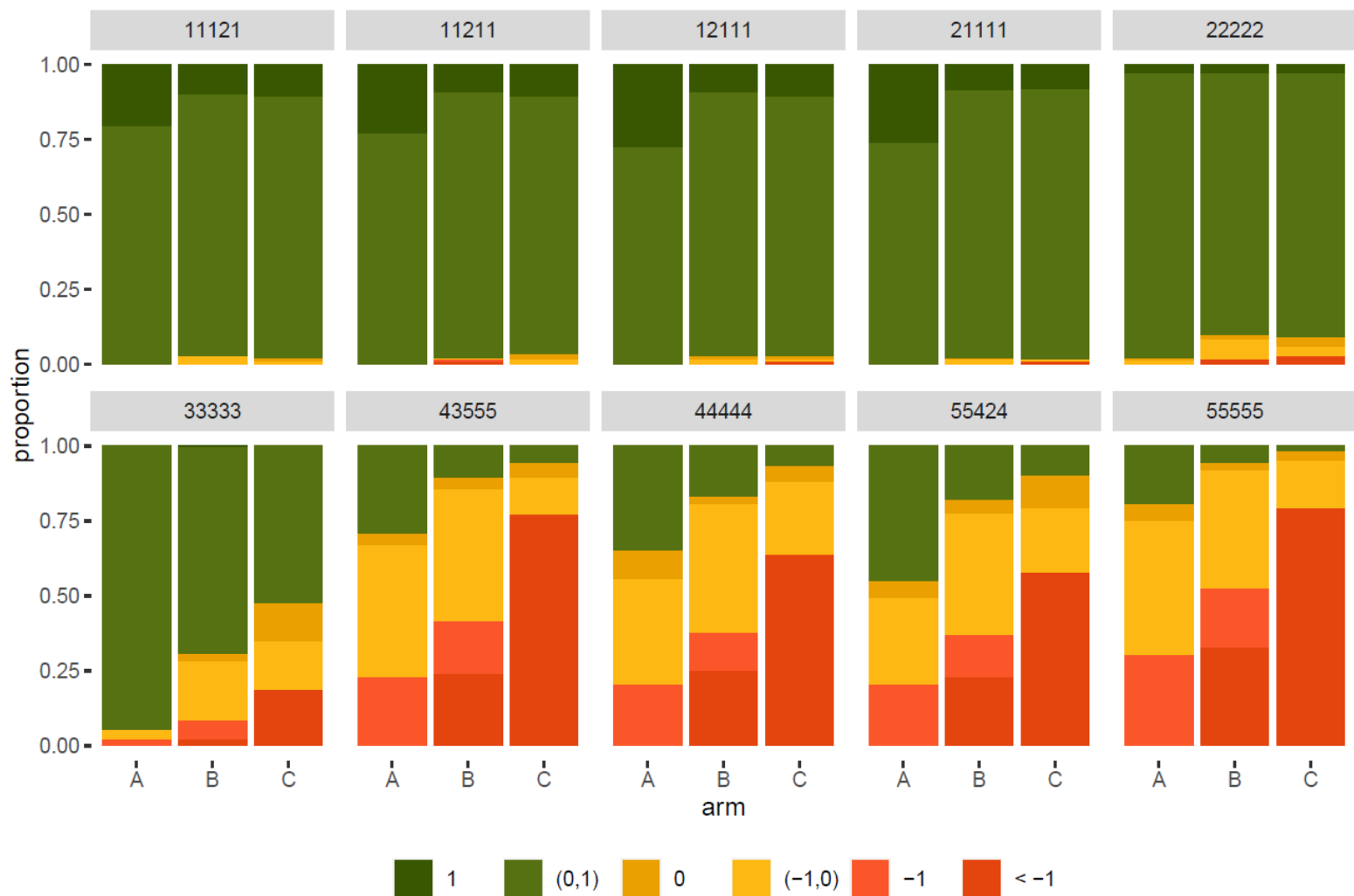
STRUKTURA PRÓBY

| | Arm A | Arm B | Arm C | Overall |
|-------------------------------------|-------------|-------------|-------------|-------------|
| n | 159 | 157 | 156 | 472 |
| n (%) female | 92 (57.9%) | 84 (53.5%) | 100 (64.1%) | 276 (58.5%) |
| mean age (SD) | 22.7 (3.2) | 22.7 (3.2) | 22.9 (3.1) | 22.7 (3.2) |
| mean VAS (SD) | 81.9 (10.6) | 81.7 (11.4) | 82.5 (9.7) | 82.0 (10.6) |
| <i>n</i> (%) 11111 | 54 (34.0%) | 52 (33.1%) | 62 (39.7%) | 168 (35.6%) |
| <i>n</i> (%) 11112 | 22 (13.8%) | 28 (17.8%) | 32 (20.5%) | 82 (17.4%) |
| <i>n</i> (%) 11121 | 22 (13.8%) | 15 (9.6%) | 14 (9.0%) | 51 (10.8%) |
| <i>n</i> (%) 11122 | 16 (10.1%) | 14 (8.9%) | 9 (5.8%) | 39 (8.3%) |
| <i>n</i> (%) 11222 | 3 (1.9%) | 8 (5.1%) | 7 (4.5%) | 18 (3.8%) |
| <i>n</i> (%) 11113 | 8 (5.0%) | 4 (2.5%) | 4 (2.6%) | 16 (3.4%) |
| <i>n</i> (%) 11212 | 6 (3.8%) | 5 (3.2%) | 2 (1.3%) | 13 (2.8%) |
| <i>n</i> (%) own health problems | 35 (22.0%) | 21 (13.4%) | 27 (17.3%) | 83 (17.6%) |
| <i>n</i> (%) family health problems | 126 (79.2%) | 125 (79.6%) | 110 (70.5%) | 361 (76.5%) |
| <i>n</i> (%) family premature death | 76 (47.8%) | 71 (45.2%) | 67 (42.9%) | 214 (45.3%) |
| <i>n</i> (%) religious | 31 (19.5%) | 31 (19.7%) | 31 (19.9%) | 93 (19.7%) |

WYNIKI DLA B I C VS CTTO

| State | Arm A | | | Arm B | | | Arm C | | |
|-------|--------------|------|-------------|--------------|------|-------------|--------------|------|-------------|
| | mean (SD) | % NT | $u \leq -1$ | mean (SD) | % NT | $u \leq -1$ | mean (SD) | % NT | $u \leq -1$ |
| 11121 | 0.91 (0.11) | 21 | 0 | 0.78 (0.26) | 10 | 0 | 0.69 (0.24) | 11 | 0 |
| 11211 | 0.91 (0.09) | 23 | 0 | 0.77 (0.29) | 10 | 1 | 0.70 (0.25) | 11 | 0 |
| 12111 | 0.92 (0.11) | 28 | 0 | 0.78 (0.23) | 10 | 0 | 0.69 (0.29) | 11 | 1 |
| 21111 | 0.91 (0.11) | 26 | 0 | 0.76 (0.23) | 9 | 0 | 0.69 (0.26) | 8 | 1 |
| 22222 | 0.74 (0.25) | 3 | 0 | 0.53 (0.43) | 3 | 1 | 0.43 (0.78) | 3 | 3 |
| 33333 | 0.49 (0.36) | 0 | 2 | 0.17 (0.59) | 1 | 8 | -0.26 (1.35) | 0 | 19 |
| 43555 | -0.40 (0.52) | 0 | 23 | -1.36 (3.14) | 0 | 41 | -2.14 (2.40) | 0 | 77 |
| 44444 | -0.29 (0.54) | 0 | 20 | -1.48 (3.72) | 0 | 38 | -1.81 (2.20) | 0 | 64 |
| 55424 | -0.21 (0.56) | 0 | 20 | -1.20 (2.94) | 0 | 37 | -1.55 (2.20) | 0 | 58 |
| 55555 | -0.53 (0.46) | 0 | 30 | -2.15 (4.27) | 0 | 52 | -2.52 (2.63) | 0 | 79 |

WYNIKI DLA B I C VS CTTO, C.D.



DODATKOWE PYTANIA W RAMIENIU A

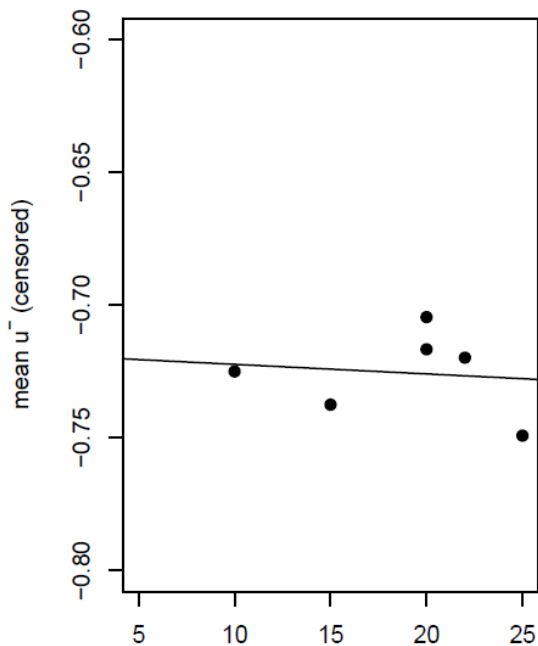
| State | n, % trading | time traded: mean (SD), median | time (non-zero): mean, median |
|-------|--------------|--------------------------------|-------------------------------|
| 11121 | 33, 63.6% | 49.5 (126.1), 7 | 77.8, 60 |
| 11211 | 37, 67.6% | 51.7 (131.6), 7 | 76.5, 30 |
| 12111 | 44, 68.2% | 41.8 (70.1), 8.5 | 61.3, 30 |
| 21111 | 42, 66.7% | 48.5 (84.4), 12 | 72.7, 30 |
| 22222 | 5, 80% | 393.4 (483.2), 150 | 491.8, 435 |

■ Dla AIT:

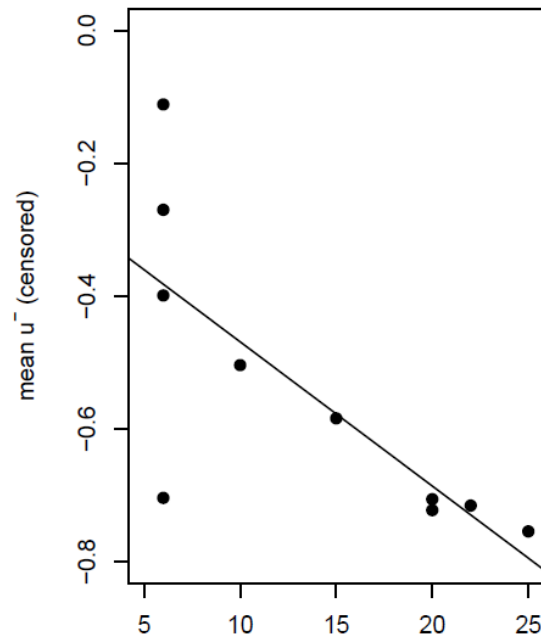
92% przypadków (Q,5)+(FH,5) lepsze od (Q,10)+(FH,10), czyli $u(Q) < -1$

CIĘŻKOŚĆ STANU A ŚREDNIA UJEMNA UŻYTECZNOŚĆ (CENZUROWANA W -I)

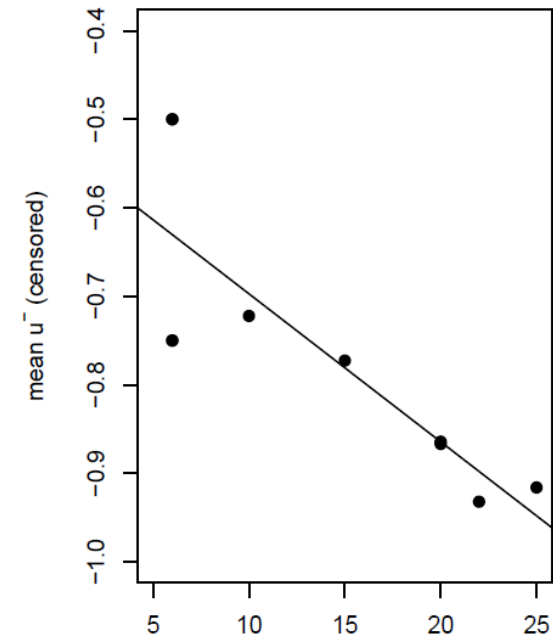
A

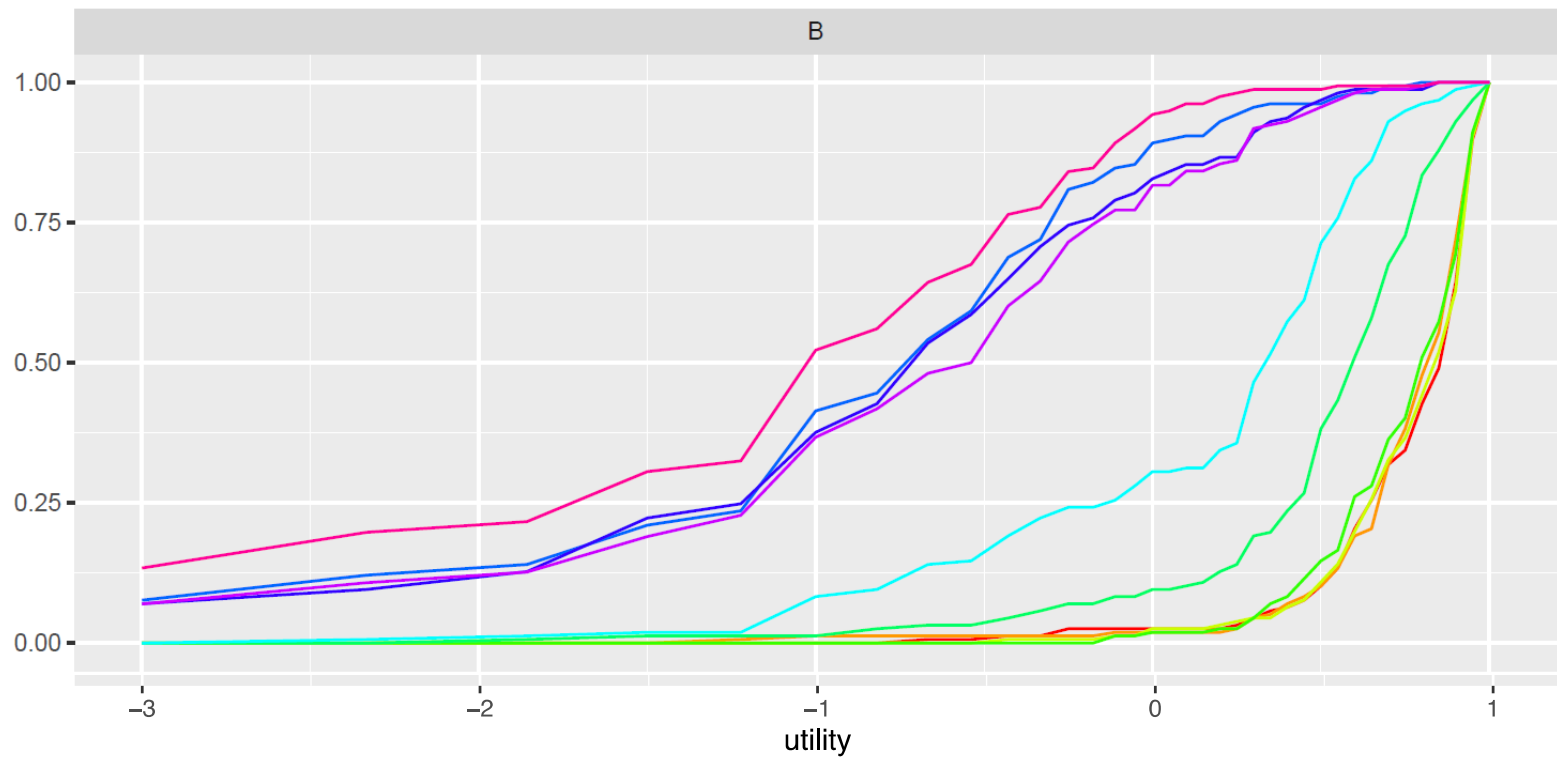
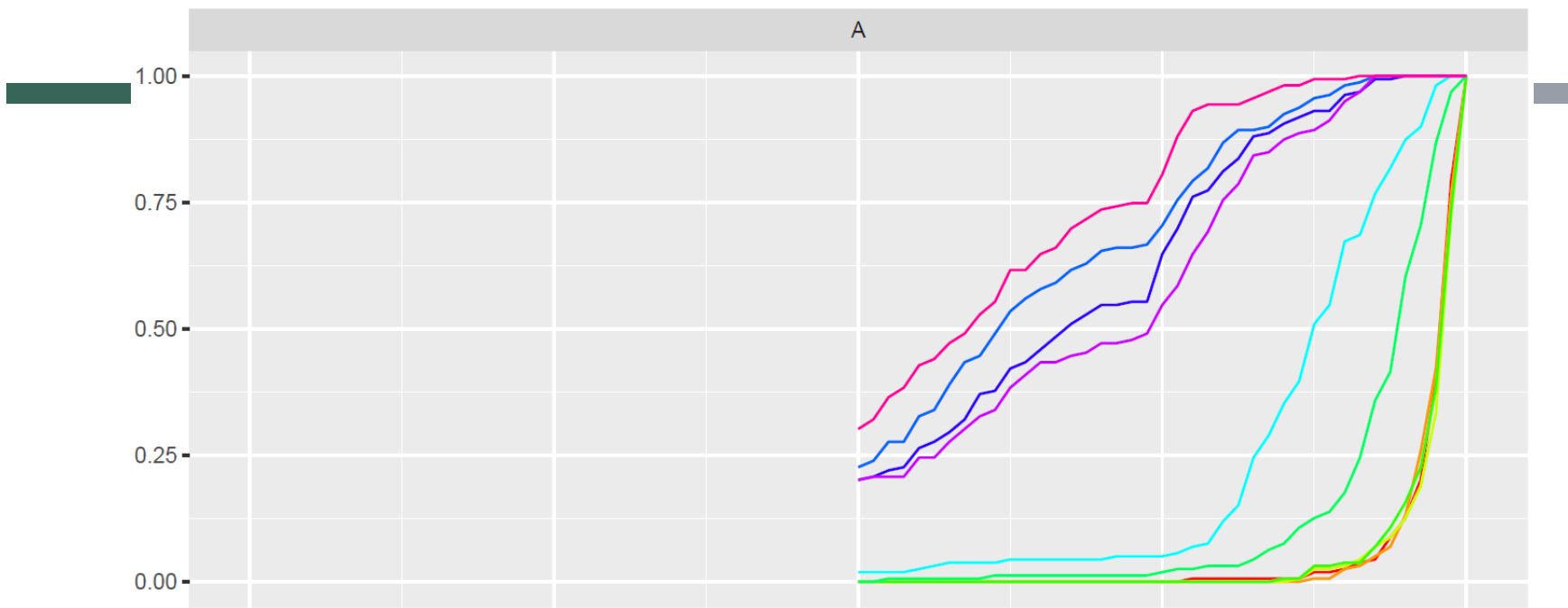


B



C





UWAGI KOŃCOWE

- Ramiona B i C zwiększały niespójności i były trudniejsze dla respondentów
- Możliwość oddawania krótszego czasu za poprawę jakości oraz unikanie awersji do strat zwiększa skłonność do handlowania w TTO (preferencje leksykograficzne rzadsze niż cTTO sugeruje)
- Standardowe cTTO przeszacowuje użyteczności (problem cenzurowania w -I jest duży)
- Respondenci niechętnie oceniają stan jako bezpośrednio gorszy od zgonu. Takie porównanie jest niespójne z pytaniami w LT-TTO, co zaburza rozkłady wartości.



DZIĘKUJĘ!