

ISSN 2782-3806
ISSN 2782-3814 (Online)
УДК 616.12-053.2:330.13

РЕГИСТР КАК ИНСТРУМЕНТ ОЦЕНКИ ЭКОНОМИЧЕСКИХ ЗАТРАТ НА ВЕДЕНИЕ ПАЦИЕНТОВ ДЕТСКОГО ВОЗРАСТА С ГИПЕРТРОФИЧЕСКОЙ КАРДИОМИОПАТИЕЙ

Алексеева Д. Ю., Фетисова С. Г., Первунина Т. М., Конради А. О.,
Вершинина Т. Л., Ситникова К. А., Васичкина Е. С.

Федеральное государственное бюджетное учреждение «Национальный медицинский
исследовательский центр имени В. А. Алмазова» Министерства здравоохранения
Российской Федерации, Санкт-Петербург, Россия

Контактная информация:

Васичкина Елена Сергеевна,
ФГБУ «НМИЦ им. В. А. Алмазова» Минздрава
России,
ул. Аккуратова, д. 2, Санкт-Петербург,
Россия, 197341.
E-mail: vasichkinaelena@mail.ru

Статья поступила в редакцию 14.10.2024
и принята к печати 31.10.2024

РЕЗЮМЕ

Актуальность. Гипертрофическая кардиомиопатия (ГКМП) является одной из самых распространенных кардиомиопатий в педиатрической популяции: 2,9 на 100 000 детей. Ведение пациентов с ГКМП требует высоких затрат здравоохранения. Исследования на основе данных регистра играют все большую роль в принятии решений в области здравоохранения. **Цель исследования:** анализ экономических затрат со стороны государства на ведение пациентов детского возраста с ГКМП по данным регистра пациентов детского возраста. **Материалы и методы.** Исследование выполнено на базе отделения детской кардиологии и медицинской реабилитации ФГБУ «НМИЦ им. В. А. Алмазова» Минздрава России. В настоящий момент в электронный регистр ГКМП у детей внесены данные о 159 детях, среди них 52 (34 %) девочки. Средний возраст дебюта заболевания составил 5 лет [0; 11], также 68 (44,4 %) детей имели дебют гипертрофии миокарда в возрасте до 1 года жизни. Были рассчитаны медицинские затраты, которые включали прямые затраты на лекарственную терапию, хирургические методы лечения (имплантация кардиовертера-дефибриллятора и миоэктомия) и госпитализацию, а также не прямые затраты — стоимость родственного ухода; выплаты пенсий по инвалидности, ущерб по показателю внутреннего валового продукта (ВВП), возникающий в связи со смертью пациентов в течение периода наблюдения. **Результаты.** Общая величина экономических затрат в течение года, обусловленных ГКМП, с позиции государства составила 107,8 млн руб., из них прямые медицинские затраты — 27,96 млн руб., прямые немедицинские затраты — 13,17 млн руб. и косвенные (непрямые) затраты — 66,7 млн руб. Основная доля экономического бремени (61,8 %) была

обусловлена косвенными затратами. Прямые медицинские затраты составили только 26 % от всех экономических затрат. Средние затраты на 1 пациента на родственный уход составили 11 263,89 руб., а их общая величина на всю группу пациентов с ГКМП была равна 1,04 млн руб. **Заключение.** Полученные в нашем исследовании промежуточные результаты позволяют оценить экономические затраты со стороны государства на ведение пациентов с ГКМП. Оптимизация использования ресурсов поможет сократить будущие расходы государства на здравоохранение.

Ключевые слова: внезапная сердечная смерть, внутренний валовый продукт, гипертрофическая кардиомиопатия, регистр пациентов, экономические затраты, экономический ущерб

Для цитирования: Алексеева Д.Ю., Фетисова С.Г., Первунина Т.М. и др. Регистр как инструмент оценки экономических затрат на ведение пациентов детского возраста с гипертрофической кардиомиопатией. *Российский журнал персонализированной медицины.* 2024;4(6):464-476. DOI: 10.18705/2782-3806-2024-4-6-464-476. EDN: GJAFJE

REGISTRY AS A TOOL FOR ASSESSING ECONOMIC COSTS OF MANAGING PEDIATRIC PATIENTS WITH HYPERTROPHIC CARDIOMYOPATHY

Alekseeva D. Yu., Fetisova S. G., Pervunina T. M., Konradi A. O.,
Vershina T. L., Sitnikova K. A., Vasichkina E. S.

Almazov National Medical Research Centre, Saint Petersburg, Russia

Corresponding author:

Vasichkina Elena S.,
Almazov National Medical Research
Centre,
Akkuratova str., 2, Saint Petersburg,
Russia, 197341.
E-mail: vasichkinalena@mail.ru

Received 14 October 2024; accepted
31 October 2024

ABSTRACT

Background. Hypertrophic cardiomyopathy (HCM) is one of the most common form of cardiomyopathy in children, with an estimated annual incidence of 2.9 per 100,000 children. The management of patients with HCM requires high healthcare costs. Registry-based medical research is an important tool in assessing health care decision making. **Objective.** To analyze the costs of the state for the management of pediatric HCM based on the data of the pediatric patient registry. **Materials and methods.** The study was performed on the

basis of the Department of Pediatric Cardiology and Medical Rehabilitation of the Almazov National Medical Research Centre. Currently, the electronic database includes information on 159 children with HCM, including 52 (34 %) girls. The mean age of onset of HCM was 5 years [0; 11], and 68 (44.4 %) children had the onset of myocardial hypertrophy before the age of 1 year. Medical costs included direct medical costs of drug therapy, surgical treatments (implantation of a cardioverter-defibrillator and myectomy) and hospitalization, and indirect costs which included the costs of family caregiving; social benefits due to disability, and death impact on the gross domestic product. **Results.** The total economic impact of HCM in the context of government spending, is RUB 107.8 million, including medical costs of RUB 27.96 million, direct nonmedical costs of RUB 13.17 million, and indirect costs of RUB 66.7 million. Indirect costs accounted for the lion's share (61.8 %) of economic impact. Direct medical costs were 26 % of economic impact. The average impact of family caregiving accounted to RUB 11,263.89, and total value were RUB 1.04 million. **Conclusion.** The intermediate results of our study allow to estimate the economic impact of pediatric HCM to the state. Optimization of financial resource use will help reduce the economic impact on the state to the healthcare sector in the future.

Key words: economic costs, economic damage, gross domestic product, hypertrophic cardiomyopathy, patient registry, sudden cardiac death

For citation: Alekseeva DYU, Fetisova SG, Pervunina TM, et al. Registry as a tool for assessing economic costs of managing pediatric patients with hypertrophic cardiomyopathy. Russian Journal for Personalized Medicine. 2024;4(6):464-476. (In Russ.) DOI: 10.18705/2782-3806-2024-4-6-464-476. EDN: GJAFJE

Список сокращений: ВВП — внутренний валовой продукт, ВСС — внезапная сердечная смерть, ГКМП — гипертрофическая кардиомиопатия, ЖТ — желудочковая тахикардия, ЖЭ — желудочковая экстрасистолия, ИКД — имплантируемый кардиовертер-дефибриллятор, КМП — кардиомиопатия, ЛЖ — левый желудочек, ТС — трансплантация сердца, ХСН — хроническая сердечная недостаточность, ЭКГ — электрокардиография.

ВВЕДЕНИЕ

Тенденции современной медицины — это повышение эффективности и безопасности лечения, стандартизация предоставляемых услуг и систем здравоохранения в целом [1]. Одним из инструментов реализации данных задач являются создание и ведение регистров пациентов с разными нозологиями [1].

Регистр пациентов — это организованная система сбора, анализа и хранения информации о пациентах, имеющих конкретное заболевание, находящихся в определенном клиническом состоянии

или получающих/получивших конкретное лечение, которые взяты на учет в системе здравоохранения [1, 2].

Ведение регистров позволяет получить демографические и клинические данные, данные о течении заболевания, эффективности различных медикаментозных и немедикаментозных схем лечения (влияние на продолжительность и качество жизни, «затраты-эффективность» и т. д.), их безопасности (частота осложнений и нежелательных явлений), а также статистику исходов. Данная информация может быть использована для усовершенствования алгоритмов диагностики, лечения и профилактики неблагоприятных исходов.

Немаловажным является использование полученных результатов для оценки экономических затрат на ведение данной патологии, решения ряда организационных вопросов (оценки потребности и обеспеченности лекарственной и высокотехнологической медицинской помощью) и научно-исследовательских задач (клинические рекомендации, публикации и т. д.) [1].

С целью изучения всех затрат, связанных с ведением пациентов с определенным заболеванием на всех этапах оказания медицинской помощи, а также с нетрудоспособностью и преждевременной смертностью, используется метод анализа «стоимости болезни» [1]. Анализ «стоимости болезни» учитывает как затраты, которые были непосредственно понесены в связи с терапией заболевания, так и упущенный доход государства, связанный с временной или постоянной потерей трудоспособности пациентов, выраженный через потери ВВП, выплаты больничных листов, пособий по инвалидности и др. [1].

В ФГБУ «НМИЦ им. В. А. Алмазова» Минздрава России с 2020 года ведется регистр кардиомиопатий у детей. В 2021 году была получена государственная регистрация базы данных «Регистр пациентов детского возраста с гипертрофической кардиомиопатией (ГКМП)», номер свидетельства: 2021621296, дата регистрации: 18.06.2021 [3].

ГКМП является одной из самых распространенных кардиомиопатий в педиатрической популяции [4]. По данным литературы, ее распространенность составляет 2,9 на 100 000 детей, а ежегодная заболеваемость — 0,3–0,5 на 100 000 детей [5–7].

Причины ГКМП в педиатрической группе разнообразны. В большинстве случаев гипертрофическая кардиомиопатия связана с мутациями 23 генов, кодирующих саркомерные белки, преимущественно тяжелую цепь β -миозина (MYH7) и миозин-связывающий белок C (MYBPC3) [8]. Однако около 30 % случаев гипертрофии миокарда у детей ассоциировано с системными расстройствами, такими как РАСопатии (генетические состояния,

вызванные мутациями в генах пути RAS/митоген-активируемой протеинкиназы), метаболическими, нервно-мышечными и митохондриальными заболеваниями [9]. Клинические проявления, течение, ответ на терапию и прогноз заболевания существенно различаются в этих группах, требуя от нас персонифицированного подхода к формированию стратегии ведения пациентов в зависимости от этиологии гипертрофии миокарда [7, 14–17].

Известно, что неблагоприятный прогноз ГКМП обусловлен двумя основными причинами: ВСС и смертью от прогрессирующей сердечной недостаточности (СН) [12, 13, 18, 19].

Застойная сердечная недостаточность (СН) на фоне прогрессирующей гипертрофии миокарда становится причиной частых госпитализаций ребенка, инвалидизации и ухудшает прогноз заболевания [14, 17].

Смертность при данной патологии у детей, вне зависимости от этиологии гипертрофии, достигает 1–2,5 % в год [5, 15, 19, 20].

Применение бета-блокаторов и имплантация кардиовертера-дефибриллятора помогают снизить риск ВСС у педиатрических пациентов с ГКМП, но при этом прогнозирование ВСС остается сложной задачей [10, 13, 15, 17, 19, 22].

Для лиц с тяжелым фенотипом заболевания становятся необходимы инвазивные и, следовательно, дорогостоящие методы лечения, такие как миозектомия и трансплантация сердца (ТС).

В целом ведение пациентов с ГКМП требует высоких затрат здравоохранения [19, 23].

Следует отметить, что исследования на основе регистров, которые активно внедряются в по-



Рис. 1. Дизайн анализа «стоимости болезни»

Figure 1. Design of the “cost of disease” analysis

следнее десятилетие, играют все большую роль в принятии решений в области здравоохранения [24, 25]. Так, в последние годы в зарубежной литературе представлены результаты анализа нескольких регистров и многоцентровых исследований у пациентов с ГКМП, в том числе с оценкой экономического бремени для экономики страны [19, 23, 27]. К сожалению, в отечественной литературе мы не встретили данных о ведении подобных регистров в педиатрической популяции, в том числе с оценкой экономического бремени.

В связи с этим целью настоящего исследования стал анализ экономических затрат со стороны государства на ведение пациентов детского возраста с ГКМП по данным регистра пациентов детского возраста с ГКМП № 2021621296.

Нами были рассчитаны медицинские затраты, которые включали прямые затраты на лекарственную терапию, хирургические методы лечения (имплантация кардиовертера-дефибриллятора и миоэктомия) и госпитализацию, а также не прямые затраты — стоимость родственного ухода; выплаты пенсий по инвалидности, ущерб по показателю внутреннего валового продукта (ВВП), возникающий в связи со смертью пациентов в течение периода наблюдения (рис. 1).

МАТЕРИАЛЫ И МЕТОДЫ

В настоящий момент в электронный регистр ГКМП у детей внесены данные о 159 пациентах, среди них 52 (34 %) девочки. Средний возраст дебюта заболевания составил 5 лет [0; 11], также 68 (44,4 %) детей имели дебют гипертрофии миокарда в возрасте до 1 года жизни. Обструктивная форма ГКМП выявлена у 54 (35,3 %) детей.

Наиболее частыми структурными изменениями сердца, кроме утолщения стенок миокарда левого и правого желудочков, стало наличие дилатации левого предсердия: у 35 (22,9 %) пациентов. Бивентрикулярная гипертрофия диагностирована у 35 (22,9 %) пациентов с ГКМП, и преимущественно встречалась у детей с дебютом заболевания на первом году жизни по сравнению с более поздней манифестацией (соотношение 5:1).

По данным ЭКГ и суточного мониторирования ЭКГ желудочковая экстрасистолия была зарегистрирована у 65 детей (42,8 %), в том числе у 11 из них — парная ЖЭ. Желудочковая тахикардия была зарегистрирована у 12 (7,6 %) пациентов, медиана возраста выявления ЖТ составила 14,5 [13,0; 16,0] года. Синкопальные состояния отмечались у 11 (6,9 %) детей.

В исследуемой популяции преобладали первый и второй классы хронической сердечной недостаточности (ХСН) — 43 (28,1 %) и 96 (62,8 %) пациентов соответственно. В 9,1 % случаев (n = 14) имелись тяжелые проявления сердечной недостаточности, что соответствовало третьему и четвертому классам ХСН.

Молекулярно-генетическое исследование проведено у 120 детей. У 108 (70,6 %) обнаружены причинные мутации, в 12 (7,8 %) случаях по результатам молекулярно-генетического исследования вариантов, которые могут быть ассоциированы с ГКМП, обнаружено не было.

В группе с обнаруженными мутациями (n = 108) была выявлена большая представленность мутаций в генах саркомерных белков — 70 (64,8 %), РАСопатии — 17 (15,8 %), в остальном 21 (19,4 %) случае — другие мутации.

Терапию бета-блокаторами получали 117 (73,6 %) пациентов, 19 (12 %) — терапию ХСН (табл. 1).

Таблица 1. Основные изучаемые параметры пациентов с ГКМП (n = 159)

Table 1. The main studied parameters of patients with HCM (n = 159)

Данные регистра	Количество	%
Терапия бета-блокаторами	117	73,6 %
Терапия ХСН	19	12 %
ИКД-терапия	18	11,7 %
Миоэктомия	12	7,5 %
Статус «ребенок-инвалид»	53	33 %
Летальный исход	14	8,9 %

В связи с выраженной обструкцией выходного тракта ЛЖ 12 (7,5 %) детям с ГКМП проведено оперативное лечение в виде иссечения гипертрофированных мышц выходного отдела ЛЖ по Морроу, средний возраст на момент миоэктомии составил 13 лет [7,3; 13,8]. У двоих (1,25 %) детей ранний послеоперационный период осложнился миокардиальной слабостью, а также рефрактерными желудочковыми нарушениями ритма, что и послужило причинами летального исхода в обоих случаях.

Имплантация кардиовертера-дефибриллятора (ИКД) была проведена 18 (11,7 %) детям с саркомерными мутациями, средний возраст на момент операции составил 15 лет [13; 16]. Во всех случаях имплантацию проводили в качестве первичной профилактики ВСС в соответствии с расчетом риска ВСС при ГКМП у детей. Для детей от 16 до 18 лет использовали калькулятор HCM-Risk SCD calculator, от 1 до 16 лет — HCM-risk-Kids SCD calculator.

За время наблюдения летальный исход зафиксирован у 14 (8,9 %) пациентов, средний возраст на момент летального исхода составил 5 [0,8; 12] лет.

Детей-инвалидов было 53 (33 %) (табл. 1).

Величина экономических затрат оценивалась на уровне 2023 года, условно предполагали, что в течение всего периода, для которого проводится оценка ущерба, затраты будут аналогичными 2023 году.

При экономическом анализе расчет затрат на лекарственную терапию основывался на сведениях о частоте назначения групп препаратов, определенных в соответствии с используемыми схемами лечения пациентов, и данных на основе результатов анализа государственных закупок за 2023 г.

Стоимость одной госпитализации была рассчитана на основании базового норматива финансирования на одну госпитализацию в рамках программы обязательного медицинского страхования в 2023 г. Также были рассчитаны затраты по программе госгарантий за 2023 г. для пациентов, которым были имплантированы ИКД (1 149 018,00 руб.) и выполнена миоэктомия (539 303,00 руб.).

Оценка прямых немедицинских затрат была проведена на основании размера ежемесячной выплаты на ребенка-инвалида. Размер пенсии определяли на основании открытых данных Пенсионного фонда РФ о величине социальной пенсии на ребенка-инвалида в 2023 г. — 17 167, 83 руб., а также ежемесячной денежной выплаты — 3540,76 руб.

Нам не удалось найти данные о методологии расчета стоимости родственного ухода. В связи с этим стоимость 1 ч. родственного ухода была принята равной стоимости 1 ч. работы социального работника в 2023 г. — 192,76 руб., рассчитанной на основании данных Росстата о средней заработ-

ной плате социальных работников — 31 693 руб. и среднем числе рабочих часов в год (в 2023 г. — 1973 рабочих часа при 40-часовой рабочей неделе).

Оценку выплат по причине временной нетрудоспособности осуществляли на основании данных о среднемесячной заработной плате в 2023 г. (73 709 руб.) по информации Росстата. Дневной заработок исходя из числа рабочих дней в месяце составил 3586,81 руб. Оценку недополученного ВВП проводили на основании данных о доле оплаты труда наемных работников в составе ВВП — 40,3 % по состоянию на 2023 г., по информации Росстата. Для определения потери ВВП за 1 день временной нетрудоспособности значение дневной заработной платы умножали на 40,3 %.

Для расчета экономического ущерба от смертности человека были определены упущенная выгода в связи с недопроизводством ВВП в результате выбытия работника из производственного процесса, а также оценка стоимости потерянных лет жизни.

Так как с точки зрения экономики население представляет собой трудовые ресурсы, а экономическая выгода связана только с действительными и потенциальными производителями ВВП, используется такой показатель при расчете затрат, как оценка стоимости потерянных лет жизни.

Следует отметить, что данный показатель отражает ценность каждой жизни вне зависимости от того, занят человек в экономике, является ли он производителем товара или нет. Стоимость лет, потерянных в результате смерти, показывает, какие экономические потери несет общество в результате смерти человека, не дожившего до возраста средней продолжительности жизни [28].

При вычислении затрат, обусловленных смертностью работающего населения, учитывается как упущенная выгода в производстве ВВП, так и оценка стоимости потерянных лет жизни [28].

Учитывая демографическое старение населения и прогнозируемое уменьшение в будущем трудоспособного населения, вклад труда инвалидов в экономику страны становится наиболее актуальным [29]. Современное развитие технологий и части производства позволяет данной категории лиц вносить полноценный вклад в рост ВВП. В связи с этим мы рассчитали экономические потери в результате смерти пациентов с ГКМП моложе трудоспособного возраста.

Так, величина экономического ущерба в результате смерти пациентов моложе трудоспособного возраста определяется по формуле [28].

$$M_{nit} = P_{nit} + nit \times \text{ВВП} / t \times S, 0 \leq i < 16,$$

где M_{nit} — экономический ущерб в результате смерти n числа людей в возрасте i в году t (причем

$i < 16$ лет); $Pnit$ — стоимость лет, потерянных в результате смерти n числа людей в возрасте i в году t ; $ВВП_t$ — валовой внутренний продукт на одного занятого в экономике в году t ; S — средний трудовой стаж.

Величина ВВП на душу населения для расчета экономического ущерба в результате недопроизводства ВВП по причине смерти лиц, не достигших трудоспособного возраста, была принята, как указывалось ранее, за 2023 г. и составила по данным Росстата 36 250,00 доллара.

СТАТИСТИЧЕСКИЙ АНАЛИЗ

Анализ выживаемости проводили методом Каплана-Мейера. Относительный риск рассчитывался для оценки влияния определенных факторов на выживаемость. Различия считали значимыми при $p < 0,05$. Количественные данные были представлены в виде медианы и интерквартильного размаха, при этом в качестве меры дисперсии были выбраны 25-й и 75-й процентиля.

РЕЗУЛЬТАТЫ

За время наблюдения летальный исход был у 14 (8,9 %) пациентов, средний возраст на момент ле-

тального исхода составил 5 [0,8; 12] лет. Основными причинами смерти были прогрессирование сердечной недостаточности в 10 (6,3 %) случаях, у 4 (2,5 %) пациентов — ВСС. Трансплантация сердца была проведена двум пациентам (1,25 %) в возрасте 16 и 20 лет соответственно. Пациент 20 лет скончался через несколько дней в результате острого отторжения трансплантата.

Медиана возраста летального исхода вследствие прогрессирования сердечной недостаточности составила 1,5 [0,7; 6,0] года, ВСС — 12 [12,0; 13,5] лет ($p < 0,05$). Общая выживаемость к 5 годам жизни среди всех детей составила 95,4 % [95ДИ 97,2–93,7 %], к 10 годам жизни — 93,8 % [95ДИ 95,8–91,8 %] (рис. 2).

Принимая во внимание, что продолжительность жизни детей с ГКМП определяется этиологией гипертрофии, мы рассчитали ее в разных группах; была получена достоверная разница по уровню выживаемости и медиане летального исхода (рис. 3).

Так, дети с саркомерными мутациями имели более благоприятный прогноз, в настоящий момент живы 64 (92,8 %) ребенка. Выживаемость у пациентов из группы РАСопатий составила 76,5 % ($n = 13$), а у лиц с врожденными нарушениями метаболизма — 71,5 % ($n = 10$). Пятилетняя выживаемость в группе детей с саркомерными мутациями соста-

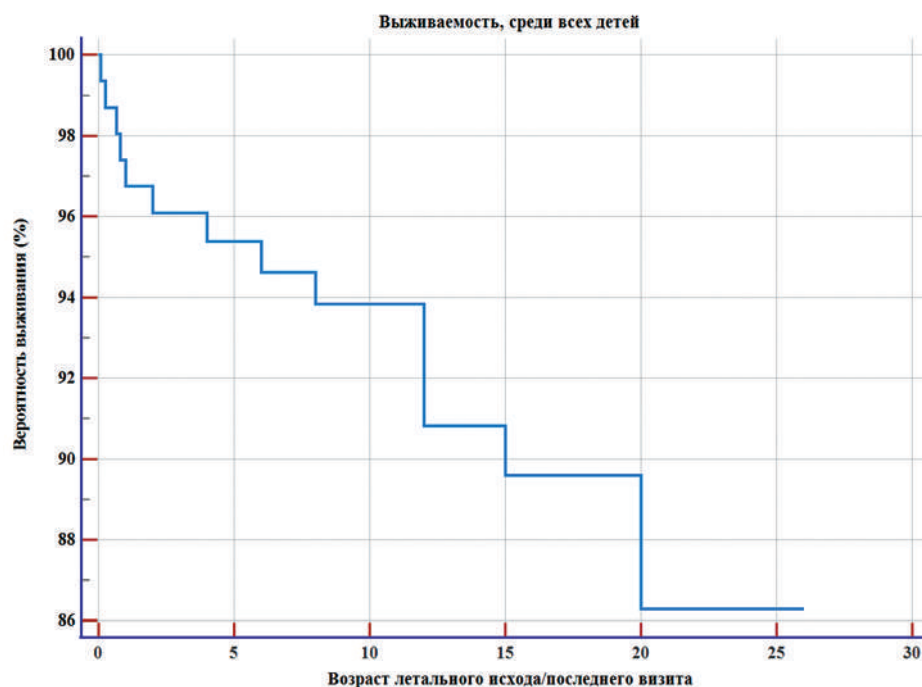


Рис. 2. Общая выживаемость пациентов с ГКМП

Figure 2. Overall survival of patients with HCM

вила 100 % и 98,4 % [95ДИ 99,5–96,7 %] — в течение 10 лет. Медиана летального исхода в данной группе — 12 [10,5; 16,3] лет.

Среди детей с РАСопатиями выживаемость в течение первых 5 лет жизни составила 75 % [95ДИ 85,0–64,9 %], после 5 лет жизни, по данным нашего исследования, неблагоприятных событий зарегистрировано не было. Возраст летального исхода у пациентов из группы РАСопатий в среднем составлял 0,8 [0,6; 1,7] года. Для детей с метаболическими нарушениями 5-летняя выживаемость составила 85,7 % [95ДИ 95,1–76,3 %], а к 10-летнему возрасту — 77,9 % [95ДИ 89,1–66,2 %]. Медиана летального исхода в группе детей с метаболическими нарушениями — 1,5 [0,9; 9,4] года.

РЕЗУЛЬТАТЫ РАСЧЕТА ЭКОНОМИЧЕСКИХ ЗАТРАТ

В структуре медицинских затрат основные расходы были связаны с госпитализациями (27,9 млн руб., или 99,9 %). При этом прямые медицинские затраты составили только 26 % от всех экономических затрат, обусловленных ГКМП у пациентов детского возраста, по данным регистра, за одну госпитализацию за 2023 г. Следует отметить, что при оценке стоимости госпитализации

по группе пациентов были учтены все варианты терапии, в том числе медикаментозная, миоэктомия и имплантация ИКД в течение одного эпизода госпитализации за 2023 г. (табл. 2).

Экономические затраты в связи с временной нетрудоспособностью лиц трудоспособного возраста (родители) в связи с уходом за больным ребенком в год составили 1 932 606,76 руб. из расчета на один эпизод госпитализации в 2023 г.

Стоимость лет, потерянных в результате смерти, составила — 42,15 млн руб.

Экономический ущерб от смертности в возрасте до 16 лет был равен 66,72 млн руб.

Таким образом, общая величина экономических затрат в течение года, обусловленных ГКМП, с позиции государства составила 107,8 млн руб., из них прямые медицинские затраты — 27,96 млн руб., прямые немедицинские затраты — 13,17 млн руб. и косвенные (непрямые) затраты — 66,7 млн руб. (табл. 3).

Основная доля экономического бремени — 61,8 % — была обусловлена косвенными затратами (рис. 3, 4).

Следует отметить, что, по нашим данным, средние затраты на одного пациента на родственный уход были относительно невелики и составили 11 263,89 руб., а их общая величина на всю группу пациентов с ГКМП была равна 1,04 млн руб.

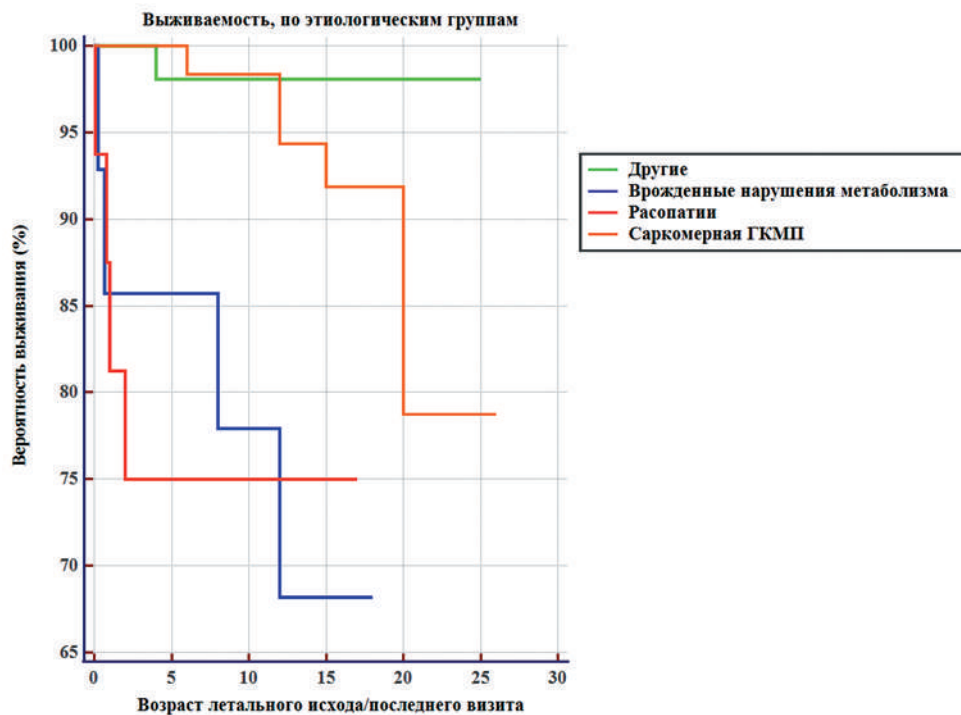


Рис. 3. Выживаемость в зависимости от этиологии ГКМП у детей

Figure 3. Survival rate by etiology of HCM in children

Таблица 2. Прямые затраты на одного пациента, связанные с видами лечения

Table 2. Direct costs per patient associated with types of treatment

Параметры	Медикаментозная терапия	ИКД-терапия	Миоэктомия
Прямые затраты на одного пациента (руб.)	88 488,61	1 149 018,00	539 303,00

Таблица 3. Результаты экономических затрат из расчета одной госпитализации в 2023 г. с позиции государства

Table 3. Results of state-level economic costs for one hospitalization in 2023

Виды затрат	Величина затрат, руб.
	В среднем на одного пациента
Прямые медицинские затраты	175 832,45
в т. ч. на лекарства	41,86
на госпитализацию	314 055,00
Косвенные затраты	419 184,088
Прямые немедицинские затраты (инвалидность)	248 503,08
Итого	677 849,15
Затраты на родственный уход	11 263,89



Рис. 4. Структура экономических затрат с позиции государства, обусловленных ГКМП у пациентов детского возраста по данным регистра за одну госпитализацию за 2023 г.

Figure 4. The structure of state-level economic costs for one hospitalization in 2023, according to the HCM registry

ОБСУЖДЕНИЕ

Целью исследований в области здравоохранения являются получение знаний о диагностической и терапевтической помощи при конкретных заболеваниях, а также научная оценка методов лечения и выработка рекомендаций по улучшению алгоритмов ведения определенных групп населения [30].

В зависимости от количества использованных переменных регистры пациентов по конкретным заболеваниям, например регистр детей с ГКМП, предоставляют важную информацию о практике применения высокотехнологичных методов обследования и высокоспециализированной помощи [15, 16, 19, 23, 25–27].

Превалирующая часть пациентов в нашем исследовании получала консервативную терапию (более 70 %), одна десятая — такие высокотехнологичные методы лечения, как миоэктомия и/или ИКД.

Летальный исход был зарегистрирован у 9 % пациентов с ГКМП, а треть детей была признана инвалидами. Безусловно, и смерть в детском возрасте, и инвалидизация населения представляют серьезную проблему как общественного здравоохранения, так и государства в целом. Срочность выявления эффективных механизмов снижения риска инвалидизации и летального исхода является актуальной проблемой для страны.

Следует отметить, что данные об экономических последствиях той или иной нозологии критически важны в современном мире для надлежащего использования ресурсов здравоохранения при предоставлении оптимальной терапии. Анализ совокупных затрат на ведение конкретного заболевания является достаточно гибким методом [1].

Нами была предпринята попытка оценить стоимость совокупных затрат на ведение 1 среднестатистического пациента детского возраста с ГКМП.

Полученные в нашем исследовании результаты продемонстрировали, что экономические затраты со стороны государства на группу детей с ГКМП, по данным регистра, из расчета одной госпитализации за 2023 г. составили 107,8 млн руб. При этом из них 27,95 млн руб. было потрачено на госпитализацию и принятые схемы лечения пациентов с ГКМП согласно тарифам 2023 г., 13,17 млн руб. приходится на выплаты пенсий детям-инвалидам.

Как отмечали в своем исследовании О. М. Драпкина с соавторами, оценка не прямых экономических затрат в связи с заболеваниями ограничивается лишь оценкой ущерба ВВП [18]. При грубом

подсчете ущерб ВВП для государства из расчета одного эпизода госпитализации за 2023 г. составил 66,7 млн руб.

По мере дальнейшего развития медицинской помощи, включая открытие новых терапевтических средств (генная терапия, блокаторы миозина), будут происходить дальнейшие изменения функционального статуса, исходов заболевания, качества жизни у пациентов с ГКМП, что безусловно окажет влияние на «стоимость заболевания».

ЗАКЛЮЧЕНИЕ

Наше исследование проведено на небольшой когорте больных детского возраста с ГКМП, но, тем не менее, в регистр были включены пациенты, которые получили все виды современной терапии, а также имели все возможные сценарии развития заболевания.

Полученные в нашем исследовании промежуточные результаты позволяют оценить экономические затраты на ведение пациентов с ГКМП.

В целом, потенциал высококачественного анализа на основании регистра является перспективным инструментом управления как научными исследованиями, так и здравоохранением страны в целом. Оптимизация использования ресурсов поможет сократить будущие расходы государства на здравоохранение.

Ограничения исследования

Это исследование имеет несколько важных ограничений. Во-первых, размер когорты пациентов был относительно небольшим. Во-вторых, мы анализировали только данные об одном стационарном эпизоде, без расчета затрат на диагностику, без расчета использования ресурсов в амбулаторных условиях. В-третьих, нами не проводилась оценка качества жизни.

Конфликт интересов / Conflict of interest

Авторы заявили об отсутствии потенциального конфликта интересов. / The authors stated no conflict of interest.

Финансирование / Funding

Исследование выполнено при финансовой поддержке Министерства науки и высшего образования Российской Федерации (Соглашение № 075-15-2022-301 от 20.04.2022). / The research was carried out with the financial support of the Ministry of Science and Higher Education of the Russian Federation (Agreement No. 075-15-2022-301 dated 04/20/2022).

СПИСОК ЛИТЕРАТУРЫ / REFERENCES

1. Yagudina RI, Litvinenko MM, Sorokovikov IV. Patient registers: structure, functions, possibilities of use // *Pharmacoeconomics. Modern pharmacoeconomics and pharmacoepidemiology*. 2011. No. 4. In Russian [Ягудина Р.И., Литвиненко М.М., Сорокиков И.В. Регистры пациентов: структура, функции, возможности использования // *Фармакоэкономика. Современная фармакоэкономика и фармакоэпидемиология*. 2011. № 4]. URL: <https://cyberleninka.ru/article/n/registry-patsientov-struktura-funktsii-vozmozhnosti-ispolzovaniya> (дата обращения: 26.10.2024).
2. Gliklich RE, Dreyer NA, eds. *Registries for Evaluating Patient Outcomes: A User's Guide*. (Prepared by Outcome DEClDE Center [Outcome Sciences, Inc. dba Outcome] under Contract No. HNSA290200500351TO1.) AHRQ Publication No. 07-ENC001-1. Rockville, MD: Agency for Healthcare Research and Quality. April 2007.
3. Свидетельство о государственной регистрации базы данных № 2021621296 Российская Федерация. Регистр пациентов детского возраста с гипертрофической кардиомиопатией: № 2021621146: заявл. 07.06.2021; опублик. 18.06.2021 / Е. С. Васичкина, Т. С. Ковальчук, С. Г. Фетисова и др.; заявитель — Федеральное государственное бюджетное учреждение «Национальный медицинский исследовательский центр имени В. А. Алмазова» Министерства здравоохранения Российской Федерации. — EDN MCYMEQ.
4. Chan W, Yang S, Wang J, et al. Clinical characteristics and survival of children with hypertrophic cardiomyopathy in China: A multicentre retrospective cohort study. *EClinicalMedicine*. 2022;49:101466. Published 2022 May 27. DOI:10.1016/j.eclinm.2022.101466.
5. Arola A, Jokinen E, Ruuskanen O, et al. Epidemiology of idiopathic cardiomyopathies in children and adolescents: A nationwide study in Finland. *Am. J. Epidemiol.* 1997; 146:385–393. DOI: 10.1093/oxfordjournals.aje.a009291.
6. Lipshultz SE, Sleeper LA, Towbin JA, et al. The Incidence of Pediatric Cardiomyopathy in Two Regions of the United States. *N. Engl. J. Med.* 2003;348:1647–1655. DOI: 10.1056/NEJMoa021715.
7. Nugent AW, Daubeney PE, Chondros P, et al. The epidemiology of childhood cardiomyopathy in Australia. *N. Engl. J. Med.* 2003;348:1639–1646. DOI: 10.1056/NEJMoa021737.
8. Seidman CE, Seidman JG. Identifying sarcomere gene mutations in hypertrophic cardiomyopathy: a personal history. *Circ Res* 2011;108:743–750. DOI: 10.1161/CIRCRESAHA.110.223834.
9. Mel'nik OV, Gudkova AY, Verzhinina TL, et al. Clinical polymorphism of rasopathies in the conditions of the pediatric cardiology department. *Consilium Medicum*. 2017; 19(12):100–104. In Russian [Мельник О.В., Гудкова А.Я., Вершинина Т.Л. и др. Клинический полиморфизм РАСопатий в условиях детского кардиологического отделения. *Consilium Medicum*. 2017. Т. 19, № 12. С. 100–104]. DOI 10.26442/2075-1753_19.12.100-104. — EDN LBERSX.
10. Östman-Smith I, Sjöberg G, Alenius Dahlqvist J, et al. Sudden cardiac death in childhood hypertrophic cardiomyopathy is best predicted by a combination of electrocardiogram risk-score and HCMRisk-Kids score. *Acta Paediatr.* 2021 Nov;110(11):3105–3115. DOI: 10.1111/apa.16045. Epub 2021 Aug 19. PMID: 34314540.
11. Chen H, Li X, Liu X, et al. Clinical and mutation profile of pediatric patients with RASopathy-associated hypertrophic cardiomyopathy: results from a Chinese cohort. *Orphanet J Rare Dis.* 2019 Feb 7;14(1):29. DOI: 10.1186/s13023-019-1010-z. PMID: 30732632; PMCID: PMC6367752.
12. Ostman-Smith I, Wettrell G, Keeton B, et al. Age- and gender-specific mortality rates in childhood hypertrophic cardiomyopathy. *Eur Heart J.* 2008 May;29(9):1160–7. DOI: 10.1093/eurheartj/ehn122. Epub 2008 Apr 2. PMID: 18385119.
13. Maurizi N, Passantino S, Spaziani G, et al. Long-term Outcomes of Pediatric-Onset Hypertrophic Cardiomyopathy and Age-Specific Risk Factors for Lethal Arrhythmic Events. *JAMA Cardiol.* 2018 Jun 1;3(6):520–525. DOI: 10.1001/jamacardio.2018.0789. PMID: 29710196; PMCID: PMC6128509.
14. Norrish G, Kolt G, Cervi E, et al. Clinical presentation and long-term outcomes of infantile hypertrophic cardiomyopathy: a European multicentre study. *ESC Heart Fail.* 2021;8(6):5057–5067. DOI:10.1002/ehf2.13573.
15. Marston NA, Han L, Olivotto I, et al. Clinical characteristics and outcomes in childhood-onset hypertrophic cardiomyopathy. *Eur Heart J.* 2021;42(20):1988–1996. DOI:10.1093/eurheartj/ehab148.
16. Ho CY, Day SM, Ashley EA, et al. Genotype and Lifetime Burden of Disease in Hypertrophic Cardiomyopathy: Insights from the Sarcomeric Human Cardiomyopathy Registry (SHaRe). *Circulation.* 2018;138(14):1387–1398. DOI:10.1161/CIRCULATIONAHA.117.033200.
17. Bogle C, Colan SD, Miyamoto SD, et al. American Heart Association Young Hearts Pediatric Heart Failure and Transplantation Committee of the Council on Lifelong Congenital Heart Disease and Heart Health in the Young (Young Hearts). Treatment Strategies for Cardiomyopathy in Children: A Scientific Statement From the American Heart Association. *Circulation.* 2023 Jul 11;148(2):174–195. DOI: 10.1161/CIR.0000000000001151.

18. Maron BJ, Spirito P, Ackerman MJ, et al. Prevention of sudden cardiac death with implantable cardioverter-defibrillators in children and adolescents with hypertrophic cardiomyopathy. *J Am Coll Cardiol.* 2013 Apr 9;61(14):1527–35. DOI: 10.1016/j.jacc.2013.01.037. PMID: 23500286.
19. Green N, Chen Ya, O'Mahony C, et al. A cost-effectiveness analysis of hypertrophic cardiomyopathy sudden cardiac death risk algorithms for implantable cardioverter defibrillator decision-making, *European Heart Journal — Quality of Care and Clinical Outcomes.* Vol. 10. Issue 4. June 2024. P. 285–293. <https://doi.org/10.1093/ehjqcco/qcad050>.
20. Norrish G, Ding T, Field E, et al. Development of a Novel Risk Prediction Model for Sudden Cardiac Death in Childhood Hypertrophic Cardiomyopathy (HCM Risk-Kids). *JAMA Cardiol.* 2019 Sep 1;4(9):918–927. DOI: 10.1001/jamacardio.2019.2861. PMID: 31411652; PMCID: PMC6694401.
21. Norrish G, Ding T, Field E, et al. A validation study of the European Society of Cardiology guidelines for risk stratification of sudden cardiac death in childhood hypertrophic cardiomyopathy *Europace.* 2019;21: 1559–1565.
22. Ito Y, Sakaguchi H, Tsuda E, Kurosaki K. Effect of beta-blockers and exercise restriction on the prevention of sudden cardiac death in pediatric hypertrophic cardiomyopathy. *J Cardiol.* 2024 Jun;83(6):407–414. DOI: 10.1016/j.jjcc.2023.11.009.
23. Jain SS, Li SS, Xie J, et al. Clinical and economic burden of obstructive hypertrophic cardiomyopathy in the United States, *Journal of Medical Economics.* 2021;24:1: 1115–1123. DOI: 10.1080/13696998.2021.1978242.
24. Schad F, Thronicke A. Real-World Evidence-Current Developments and Perspectives. *Int J Environ Res Public Health.* 2022 Aug 16;19(16):10159. DOI: 10.3390/ijerph191610159.
25. Leiz M, Knorr M, Moon K, et al. CEDATA GPGE Study Group. How can patient registries facilitate guideline-based healthcare? A retrospective analysis of the CEDATA-GPGE registry for pediatric inflammatory bowel disease. *BMC Health Serv Res.* 2023 Jun 17;23(1):648. DOI: 10.1186/s12913-023-09639-6.
26. Jan A, Shah SMA, Rehman S, et al. Hypertrophic obstructive cardiomyopathy and the cost of treatment. *J Updates Cardiovasc Med.* 2016 Jun;4(2):27–32. DOI:10.15511/ejcm.16.00231.
27. Yandrapalli S, Hari Krishnan P, Andries G, et al. Differences in Short-Term Outcomes and Hospital-Based Resource Utilization Between Septal Reduction Strategies for Hypertrophic Obstructive Cardiomyopathy. *The Journal of Invasive Cardiology.* 2022 Jan;34(1):E8–E13. DOI: 10.25270/jic/21.00097. PMID: 34919530.
28. Общественное здоровье и экономика: монография / Б. Б. Прохоров и др.; под ред. Б. Б. Прохорова; Российская академия наук, Ин-т народнохозяйственного прогнозирования. М.: Макспресс, 2007. 287 с.
29. Il'ina LA, Karimova LK, Shapoval IV. The role of medical digital services in reducing the mortality rate of the region's able-bodied population. *Aktual'ny'e voprosy e'konomicheskoy teorii: razvitie i primeneniye v praktike social'no-e'konomicheskikh preobrazovaniy = Current issues of economic theory: development and application in practice of socio-economic transformations.* In Russian [Ильина Л.А., Каримова Л.К., Шаповал И.В. Роль медицинских цифровых сервисов в снижении смертности трудоспособного населения региона // Актуальные вопросы экономической теории: развитие и применение в практике социально-экономических преобразований. 2022. С. 118].
30. Neugebauer EAM, Schrappe M, Pfaff H, Glaeske G. Versorgungsforschung. *Unfallchirurg.* 2018;121(12):940–948. DOI: 10.1007/s00113-018-0563-y.

Информация об авторах:

Алексеева Дарья Юрьевна, к.м.н., научный сотрудник НИО неизвестных, редких и генетически обусловленных заболеваний НЦМУ «Центр персонализированной медицины», ФГБУ «НМИЦ им. В. А. Алмазова» Минздрава России;

Фетисова Светлана Григорьевна, младший научный сотрудник НИЦ неизвестных, редких и генетически обусловленных заболеваний НЦМУ «Центр персонализированной медицины», врач — детский кардиолог отделения кардиологии и медицинской реабилитации Детского лечебно-реабилитационного комплекса Института перинатологии и педиатрии ФГБУ «НМИЦ им. В. А. Алмазова» Минздрава России;

Первунина Татьяна Михайловна, д.м.н., директор Института перинатологии и педиатрии, заведующий кафедрой перинатологии и педиатрии ФГБУ «НМИЦ им. В. А. Алмазова» Минздрава России;

Конради Александра Олеговна, д.м.н., профессор, академик РАН, заместитель генерального директора по научной работе ФГБУ «НМИЦ им. В. А. Алмазова» Минздрава России, заведующий НИО артериальной гипертензии, заведующий кафедрой организации управления и экономики здравоохранения Института медицинского образования ФГБУ «НМИЦ им. В. А. Алмазова» Минздрава России;

Вершинина Татьяна Леонидовна, детский кардиолог высшей категории, заведующий отделением детской кардиологии и медицинской реабилитации Детского лечебно-реабилитационного комплекса ФГБУ «НМИЦ им. В. А. Алмазова» Минздрава России;

Ситникова Ксения Алексеевна, клинический ординатор по специальности «Детская кардиология» ФГБУ «НМИЦ им. В. А. Алмазова» Минздрава России;

Васичкина Елена Сергеевна, д.м.н., руководитель НИЦ неизвестных, редких и генетически обусловленных заболеваний НЦМУ «Центр персонализированной медицины» ФГБУ «НМИЦ им. В. А. Алмазова», профессор кафедры перинатологии и педиатрии лечебного факультета Института медицинского образования ФГБУ «НМИЦ им. В. А. Алмазова» Минздрава России.

Authors information:

Alekseeva Darya Yu., CM, Researcher, Research Institute of Unknown, Rare and Genetically Caused Diseases, World-Class Research Centre for Personalized Medicine of the Almazov National Medical Research Centre;

Fetisova Svetlana G., Junior Researcher, Research Institute of Unknown, Rare and Genetically Caused Diseases, World-Class Research Centre for Personalized Medicine; Pediatric Cardiologist, Department of Pediatric Cardiology and Medical Rehabilitation of Perinatology and Pediatrics of the Almazov National Medical Research Centre;

Pervunina Tatyana M., MD, pediatrician, Director of the Institute of Perinatology and Pediatrics of the Almazov National Medical Research Centre;

Konradi Alexandra O., PhD, MD, Professor, Academician of the Russian Academy of Sciences, Deputy Director General for Research at the Almazov National Medical Research Centre; Head of the Research Institute of Arterial Hypertension, Head of the Department of Healthcare Management and Economics at the Institute of Medical Education at the Almazov National Medical Research Centre;

Vershinina Tatyana L., pediatric cardiologist of the highest category, Head of the Department of Pediatric Cardiology and Medical Rehabilitation of Perinatology and Pediatrics of the Almazov National Medical Research Centre;

Sitnikova Ksenia A., clinical resident in the specialty Pediatric Cardiology of the Medical Faculty of the Institute of Medical Education of the Almazov National Medical Research Centre;

Vasichkina Elena S., PhD, MD, Head of the Scientific Research Centre for Unknown, Rare and Genetically Caused Diseases of the World-Class Research Centre for Personalized Medicine; Professor of the Department of Pediatric Diseases of the Medical Faculty of the Institute of Medical Education of the Almazov National Medical Research Centre.