

redakcja naukowa
Elżbieta Nowakowska

Farmakoekonomika w zarządzaniu zasobami ochrony zdrowia



Wolters Kluwer

AUTORZY

Elżbieta Nowakowska
Aleksandra Baran-Kooiker
Tomasz Bochenek
Lidia Bernadeta Brydak
Wiesław Bryl
Marcin Czech
Mariola Drozd
Dominik Golicki
Karina Jahnz-Różyk
Michał Jakubczyk
Paweł Kawalec
Dorota Kopciuch
Krzysztof Kus
Iga Lipska
Maciej Niewada
Ewa Orlewska
Anna Paczkowska
Paweł Petryszyn
Piotr Ratajczak
Monika Szkultecka-Dębek
Anna Wiela-Hojeńska
Wojciech Wysoczański
Tomasz Zaprutko
Wojciech Zawalski

redakcja naukowa
Elżbieta Nowakowska

Farmakoekonomika w zarządzaniu zasobami ochrony zdrowia

Recenzent
Prof. dr hab. Henryk Mruk

Wydawca
Izabella Małecka

Redaktor prowadzący
Adam Choiński

Opracowanie redakcyjne
Anna Krzesz

Łamanie
Marek Lisiowski

Ta książka jest wspólnym dziełem twórcy i wydawcy. Prosimy, byś przestrzegał przysługujących im praw. Książkę możesz udostępnić osobom bliskim lub osobiście znanym, ale nie publikuj jej w internecie. Jeśli cytujesz fragmenty, nie zmieniaj ich treści i koniecznie zaznacz, czyje to dzieło. A jeśli musisz skopiować część, rób to jedynie na użytek osobisty.

prawolubni

SZANUJMY PRAWO I WŁASNOŚĆ
Więcej na www.legalnakultura.pl
POLSKA IZBA KSIĄŻKI

© Copyright by
Wolters Kluwer Polska Sp. z o.o., 2018

ISBN 978-83-8124-538-8

Dział Praw Autorskich
01-208 Warszawa, ul. Przyokopowa 33
tel. 22 535 82 19
e-mail: ksiazki@wolterskluwer.pl
www.wolterskluwer.pl
księgarnia internetowa www.profinfo.pl

SPIS TREŚCI

WYKAZ NAJWAŻNIEJSZYCH SKRÓTÓW	11
-------------------------------------	----

PRZEDMOWA	13
-----------------	----

Część I

WYTTCZNE OCENY TECHNOLOGII MEDYCZNYCH – *HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT* (HTA)

1. Dziesięć lat funkcjonowania polskiej agencji HTA	17
2. AOTMiT – podstawy prawne, rola i zadania	23
3. Przyszłość HTA w Europie	25

Część II

OCENA TECHNOLOGII MEDYCZNYCH

ROZDZIAŁ 1

ANALIZA PROBLEMU DECYZYJNEGO (<i>SCOPING</i>)	33
1.1. Populacja docelowa	36
1.2. Interwencja	36
1.3. Interwencja alternatywna – komparatory	37
1.4. Wyniki (efekty) zdrowotne	37
1.5. Rodzaj włączonych badań	38
1.6. Podsumowanie	38

ROZDZIAŁ 2

ANALIZA KLINICZNA	40
2.1. Porównawcza ocena efektywności eksperymentalnej (<i>efficacy</i>) i praktycznej (<i>effectiveness</i>) – wiarygodność dowodów efektywności klinicznej	40
2.2. Strategie wyszukiwania danych naukowych w dostępnych bazach danych	50
2.2.1. Założenia odnośnie do wyszukiwania danych	50
2.2.2. Źródła informacji medycznej	54
2.2.3. Medyczne bazy danych	55
2.2.4. Selekcja informacji	59

2.2.5. Ocena jakości informacji	63
2.2.6. Podsumowanie	63
2.3. Rola <i>real world evidence</i> (RWE) w nowoczesnej medycynie – różne perspektywy	64
2.3.1. Wstęp	64
2.3.2. Definicje	65
2.3.3. Źródła danych	66
2.3.4. Rejestry	68
2.3.5. Wytyczne RWE i udział w procesie decyzyjnym. Praktyka w Polsce i innych krajach	69
2.3.6. Zastosowanie RWE	72
2.3.7. Przykłady zastosowania RWD pochodzących z różnych źródeł	75
2.3.8. Istotne czynniki wpływające na wykorzystanie RWD w praktyce	76
2.3.9. Podsumowanie i wnioski	76
2.4. Dostępność farmakoterapii w ujęciu społecznym i ekonomicznym	78
2.5. Elementy medycyny opartej na dowodach naukowych (EBM)	86
2.6. Ocena niepewności – znaczenie w HTA	95
2.6.1. Wstęp	95
2.6.2. Zarządzanie ryzykiem	96
2.6.2.1. Poszukiwanie obszarów, w których możemy się spodziewać zagrożeń ...	97
2.6.2.2. Analizy jakościowe i ilościowe zidentyfikowanych obszarów krytycznych	99
2.6.2.3. Planowanie reakcji na wystąpienie zjawisk niechcianych	101
2.6.3. Przykład: inhibitory COX-2	101
2.6.4. Wnioski	103
2.6.5. Ustalenie systemu monitorowania i wdrożenie systemu reakcji	103
2.6.6. Podsumowanie	106
2.7. Wielokryterialna analiza decyzyjna	108
2.7.1. Wstęp	108
2.7.2. Metodologia oraz charakterystyka modeli MCDA	110
2.7.2.1. Modele pomiarów wartości	113
2.7.2.2. Modele przewyższające	116
2.7.2.3. Modele programowania celów	117
2.7.3. Projektowanie modelu MCDA	120
2.8. Ocena bezpieczeństwa technologii medycznej	129
2.8.1. Wprowadzenie	129
2.8.2. Nadzór nad bezpieczeństwem farmakoterapii	129
2.8.3. Monitorowanie działań niepożądanych	130
2.8.3.1. Rodzaje raportów dotyczących bezpieczeństwa stosowania produktów leczniczych	130
2.8.3.1.1. Okresowe raporty o bezpieczeństwie stosowania (PSUR)	130
2.8.3.1.2. Raporty o bezpieczeństwie stosowania produktów leczniczych w trakcie opracowania (DSUR)	131
2.8.3.1.3. Badania dotyczące bezpieczeństwa przeprowadzane po wydaniu pozwolenia (PASS)	131
2.8.4. Klasyfikacja działań niepożądanych	131
2.8.4.1. Ocena stosunku korzyści do ryzyka	131
2.8.4.2. Definicja działania niepożądanego	132

2.8.4.3. Typy działań niepożądanych	133
2.8.4.4. Zdarzenie niepożądane (<i>adverse event</i>)	133
2.8.4.5. Niespodziewane niepożądane działanie leku (<i>unexpected adverse drug reaction</i>)	133
2.8.4.6. Ciężkie niepożądane działanie produktu leczniczego (<i>serious adverse drug reaction</i>)	133
2.8.5. Ocena bezpieczeństwa produktu w badaniu klinicznym	134
2.8.6. Ocena bezpieczeństwa technologii medycznej według wytycznych HTA	135
2.8.7. Podsumowanie	136

ROZDZIAŁ 3

ANALIZA EKONOMICZNA	138
3.1. Perspektywa analizy ekonomicznej	138
3.2. Horyzont czasowy	139
3.3. Rodzaje analiz ekonomicznych	139
3.3.1. Analiza efektywności kosztów	140
3.3.2. Analiza użyteczności kosztów	142
3.3.3. Analiza minimalizacji kosztów	142
3.3.4. Analiza kosztów i konsekwencji	143
3.3.5. Analiza wydajności kosztów	143
3.3.5.1. Ocena wartości monetarnej korzyści w analizie wydajności kosztów ..	143
3.3.5.2. Zastosowanie analizy wydajności kosztów	144
3.3.6. Analiza kosztów choroby	145
3.4. Koszty w farmakoeconomie	146
3.4.1. Kategorie kosztów w analizach ekonomicznych	146
3.4.2. Specyfikacja kosztowa w praktyce farmakoeconomicznej	149
3.4.3. Inkrementalny współczynnik efektywności kosztów	157
3.5. Wynik w analizie ekonomicznej	161
3.5.1. Wpływ choroby na jakość życia – metody pomiaru	161
3.5.1.1. Pojęcie jakości życia (<i>quality of life</i> – QoL)	161
3.5.1.2. Jakość życia w medycynie	162
3.5.1.3. Jakość życia w ocenie technologii medycznych	164
3.5.1.4. Ocena jakości życia	165
3.5.1.5. Badanie jakości życia w praktyce	171
3.5.1.6. Podsumowanie	172
3.5.2. Subiektywna ocena jakości życia chorych – rola i znaczenie w analizie farmakoeconomicznej	174
3.5.3. <i>Quality-adjusted life years</i> (QALY) miarą wyników zdrowotnych w analizie użyteczności kosztów	180
3.5.4. Dyskontowanie w analizie ekonomicznej	191
3.5.4.1. Wprowadzenie	191
3.5.4.2. Stopy dyskontowe w wytycznych przeprowadzania analiz farmakoeconomicznych	192
3.5.4.3. Wielkość i różnicowane stóp dyskontowych	194
3.5.5. Praktyczne aspekty dyskontowania	196
3.5.5.1. Dyskontowanie zdrowia	197
3.5.5.2. Równe czy różne stopy dyskonta	198

3.5.5.3.	Dyskontowanie a oprocentowanie obligacji i inflacja	200
3.5.5.4.	Inne rodzaje dyskontowania	202
3.5.6.	Analiza wrażliwości w modelach ekonomicznych	204
3.5.6.1.	Zasada analizy wrażliwości	204
3.5.6.2.	Założenia wykorzystania analizy wrażliwości	204
3.5.6.3.	Sposoby wykonywania analizy wrażliwości	205
3.5.6.4.	Zasada działania w modelu	205
3.5.6.5.	Podstawowe pytania w krytycznej ocenie modelu	206
3.5.6.6.	Zastosowanie analizy wrażliwości w modelach <i>Budget Impact Analyses</i> (BIA)	206
3.5.6.7.	Podsumowanie	207

ROZDZIAŁ 4

WPŁYW NARZĘDZI STOSOWANYCH W OCENIE TECHNOLOGII MEDYCZNYCH NA EFEKTYWNOŚĆ SYSTEMU OCHRONY ZDROWIA

4.1.	Analiza wpływu na budżet	208
4.1.1.	Definicja analizy wpływu na budżet	208
4.1.2.	Historia	209
4.1.3.	Rekomendacje	210
4.1.3.1.	Model analityczny	211
4.1.3.2.	Źródła danych dla oszacowania parametrów wejściowych do modelu analizy wpływu na budżet	213
4.1.3.3.	Prezentacja wyników	214
4.1.4.	Miejsce analizy wpływu na budżet w procesie podejmowania decyzji refundacyjnych	215
4.2.	Granica opłacalności leczenia – sposoby wyznaczania i interpretacja	216
4.2.1.	Definicja granicy opłacalności leczenia	216
4.2.2.	Czym jest granica opłacalności?	219
4.2.3.	Różne granice opłacalności w zależności od sytuacji	220
4.2.4.	Argumenty przeciwko granicy opłacalności	220
4.2.5.	Wartość granicy opłacalności i sposoby jej wyznaczania	220
4.2.5.1.	Granica opłacalności leczenia jako społeczna WTP za QALY (lub LYG)	221
4.2.5.2.	Granica opłacalności leczenia na podstawie PKB	223
4.2.5.3.	Koszt „utraconej okazji” jako alternatywa dla granicy opłacalności leczenia	223
4.2.6.	Podsumowanie	224
4.3.	Wycena świadczeń opieki koordynowanej	227
4.3.1.	Etapy projektowania opieki koordynowanej	228
4.3.1.1.	Określenie populacji objętej opieką koordynowaną	228
4.3.1.2.	Definicja problemu zdrowotnego	229
4.3.1.3.	Ścieżki pacjenta	230
4.3.1.4.	Kalkulacja kosztów opieki	231
4.3.1.5.	Przykłady obliczania budżetu różnych rodzajów opieki koordynowanej	233
4.3.2.	Wskaźniki jakościowe	233
4.3.3.	Podsumowanie	234

4.4. Refundacja i ustalanie cen leków. Współczesne zastosowania farmakoekonomiki i oceny technologii medycznych w polityce lekowej	235
4.4.1. Polityka lekowa oraz ustalanie cen i refundacja leków	235
4.4.2. Farmakoekonomika i ocena technologii medycznych w lekowej polityce cenowo-refundacyjnej	240
4.4.3. Proces podejmowania decyzji refundacyjnych w Polsce w kontekście wykorzystania analiz HTA	244
4.5. Ocena ekonomiczna testów diagnostycznych	249
4.5.1. Wprowadzenie	249
4.5.2. Rodzaje i zastosowanie testów diagnostycznych	249
4.5.2.1. Rodzaje testów diagnostycznych	249
4.5.2.2. Zastosowanie testów diagnostycznych	250
4.5.3. Czułość, swoistość, wartość predykcyjna dodatnia i ujemna	250
4.5.4. Wyniki	252
4.5.5. Analiza problemu decyzyjnego	253
4.5.6. Dowody	254
4.5.7. Identyfikacja i synteza dowodów na temat dokładności diagnostycznej testu	256
4.5.8. Identyfikacja i synteza dowodów na temat efektów zdrowotnych oraz efektów ubocznych testu	261
4.5.9. Identyfikacja dowodów na temat efektywności kosztowej	261
4.5.10. Modelowanie	262
4.5.11. Niepewność	264
4.5.12. Prezentacja wyników	264
4.6. Ocena ekonomiczna usług farmaceutycznych świadczonych w aptekach ogólnodostępnych i szpitalnych	265
4.6.1. Wprowadzenie	265
4.6.2. Co to jest usługa farmaceutyczna?	265
4.6.3. Rodzaje usług farmaceutycznych	266
4.6.4. Ocena ekonomiczna usług farmaceutycznych świadczonych w aptece ogólnodostępnej	267
4.6.5. Ocena ekonomiczna usług farmaceutycznych świadczonych w aptece szpitalnej ...	268
4.6.6. Podsumowanie	272
4.7. Skutki zdrowotne i ekonomiczne zakażeń grypą w aspekcie zdrowia publicznego w Polsce	274
4.8. Zdrowotne, społeczne i ekonomiczne skutki otyłości	284
4.8.1. Epidemiologia nadwagi i otyłości	285
4.8.2. Powikłania zdrowotne wynikające z nadmiernej masy ciała	286
4.8.3. Ekonomiczne aspekty otyłości	287
4.8.4. Podsumowanie	290

ROZDZIAŁ 5

BADANIA KLINICZNE W FARMAKOEKONOMICE	293
5.1. Wstęp	293
5.2. Standardy prowadzenia badań klinicznych w Polsce	294
5.3. Wyjaśniające a pragmatyczne badania kliniczne	296
5.4. Badania adaptacyjne – nowe podejście do badań klinicznych	297

O AUTORACH	301
-------------------------	------------

WYKAZ NAJWAŻNIEJSZYCH SKRÓTÓW

AOTMiT	– Agencja Oceny Technologii Medycznej i Taryfikacji
EBM	– <i>evidence-based medicine</i> , medycyna oparta na dowodach naukowych
HRQoL	– <i>health-related quality of life</i> , jakość życia uwarunkowana stanem zdrowia
HTA	– <i>health technology assessment</i> , ocena technologii medycznych
MBD	– medyczne bazy danych
MZ	– Ministerstwo Zdrowia
NFZ	– Narodowy Fundusz Zdrowia
NICE	– National Institute for Health and Care Excellence, angielska agencja HTA
PBM	– Pharmacy Benefit Management
QALY	– <i>quality-adjusted life year</i> , liczba lat przeżytych przez leczonego pacjenta, skorygowanych o jego jakość
QoL	– <i>quality of life</i> , jakość życia
r.ż.	– rok życia
u.r.l., ustawa refundacyjna	– ustawa z 12.05.2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2017 r. poz. 1844 ze zm.)
u.ś.o.z., ustawa koszykowa	– ustawa z 27.08.2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. z 2017 r. poz. 1938 ze zm.)
URPL	– Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych
WHO	– World Health Organization, Światowa Organizacja Zdrowia

PRZEDMOWA

Mam przyjemność rekomendować Państwu pozycję zatytułowaną *Farmakoekonomika w zarządzaniu zasobami ochrony zdrowia*.

Książka ta ma stanowić odpowiedź na pytanie, jak efektywnie wykorzystać dostępne środki przeznaczone na leczenie oraz jak lepiej zarządzać zasobami służby zdrowia, które są ograniczone i muszą być pod kontrolą rządów, nawet najbogatszych krajów. Pomiar jakości opieki zdrowotnej musi być powiązany z mierzalnymi wskaźnikami świadczącymi o zaspokojeniu potrzeb pacjenta.

Niniejsza publikacja ma przybliżyć Czytelnikowi zagadnienia związane z wytycznymi *health technology assessment* (HTA) dotyczącymi oceny technologii medycznej, wskazać rolę i zadania Agencji Oceny Technologii Medycznej i Taryfikacji (AOTMiT) w procesie decyzyjnym związanym z finansowaniem technologii lekowych i nielekowych w Polsce. Zawarto w niej informacje z zakresu efektywności ekonomicznej w ochronie zdrowia, ze wskazaniem roli analizy ekonomicznej i klinicznej, które zgodnie z wytycznymi AOTMiT są podstawą procesu wyceny. Przedstawione są również dane dotyczące strategii wyszukiwania informacji w dostępnych bazach danych oraz rola *real world evidence* (RWE) w nowoczesnej medycynie, a także informacje na temat jakości życia i sposobu jej pomiaru jako ważnego elementu postępowania terapeutycznego.

Ważne spostrzeżenia zawarto w rozdziałach 4 i 5 dotyczących wyceny świadczeń opieki skoordynowanej, procesu podejmowania decyzji refundacyjnych w Polsce oraz standardów prowadzenia badań klinicznych w naszym kraju.

Cennym uzupełnieniem są rozważania na temat skutków zdrowotnych i ekonomicznych zakażeń grypą w aspekcie zdrowia publicznego w Polsce oraz negatywnych konsekwencji zdrowotnych i ekonomicznych, do których prowadzi otyłość.

Autorzy poszczególnych rozdziałów reprezentują różne dziedziny wiedzy: nauki ekonomiczne, medyczne, farmaceutyczne. Wielodyscyplinarność autorów i wyrażone przez nich opinie wskazują, jak ważne jest doskonalenie narzędzi usprawniających zarządzanie służbą zdrowia.

Mając na uwadze szerokie grono odbiorców (decydenci dysponującymi publicznymi środkami na ochronę zdrowia, menadżerowie zakładów opieki społecznej, praktycy, którzy zaangażowali się w zarządzanie służbą zdrowia, lekarze oraz studenci szkół wyższych, którzy chcą poszerzyć wiedzę z zakresu analizy ekonomicznej), pragniemy przedstawić im ważne zagadnienia, które mogą być pomocne przy dokonywaniu między innymi wyborów właściwych programów w ochronie zdrowia.

Autorzy i redaktor wydania wyrażają nadzieję, że informacje zawarte w tej książce okażą się przydatne i wskażą na ważną rolę farmakoekonomiki w zarządzaniu zasobami ochrony zdrowia.

Elżbieta Nowakowska

Część I

**WYTYCZNE OCENY TECHNOLOGII
MEDYCZNYCH – *HEALTH TECHNOLOGY
ASSESSMENT* (HTA)**

1. DZIESIĘĆ LAT FUNKCJONOWANIA POLSKIEJ AGENCJI HTA

Z uwagi na rosnące koszty opieki zdrowotnej ocena technologii medycznych (*health technology assessment* – HTA) jest coraz ważniejszym narzędziem stosowanym w polityce zdrowotnej w celu zapewnienia racjonalnego wydatkowania ograniczonych środków finansowych [1].

HTA jest stosunkowo nową, wielodyscyplinarną dziedziną, wykorzystywaną w szczególności w procesie podejmowania decyzji odnośnie do finansowania technologii medycznych, zarówno lekowych [2], jak i nielekowych [3].

HTA jest definiowana jako „systematyczna ocena właściwości i skutków technologii medycznej, uwzględniająca bezpośrednie i zamierzone skutki tej technologii, a także jej pośrednie i niezamierzone konsekwencje, i ukierunkowana głównie na dostarczanie informacji do podejmowania decyzji dotyczących finansowania technologii medycznych” (definicja opracowana przez międzynarodowe stowarzyszenie Health Technology Assessment international (HTAi) we współpracy z Międzynarodową Siecią Agencji Oceny Technologii Medycznych (The International Network of Agencies for Health Technology Assessment – INAHTA) [4]. Używane są także inne definicje HTA, jak na przykład ta opracowana przez Europejską Federację Przemysłu Farmaceutycznego i Stowarzyszeń (European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations – EFPIA), według której HTA jest wielodyscyplinarnym procesem, który podsumowuje informacje o medycznych, społecznych, ekonomicznych i etycznych kwestiach związanych ze stosowaniem technologii medycznej w sposób systematyczny, przejrzysty, bezstronny i solidny [5].

Co ważne, wszystkie definicje podkreślają wielodyscyplinarny charakter HTA, a większość z nich wskazuje również na związek HTA z procesami decyzyjnymi w opiece zdrowotnej, np. dotyczącymi finansowania. HTA jest zatem narzędziem wspierającym racjonalne wydatkowanie ograniczonych środków publicznych przeznaczonych na ochronę zdrowia w oparciu o dowody naukowe.

Rola HTA na świecie i w Europie znacząco wzrosła w ciągu ostatnich kilkunastu lat [1], choć w zasadzie pierwsza organizacja na świecie zajmująca się HTA powstała

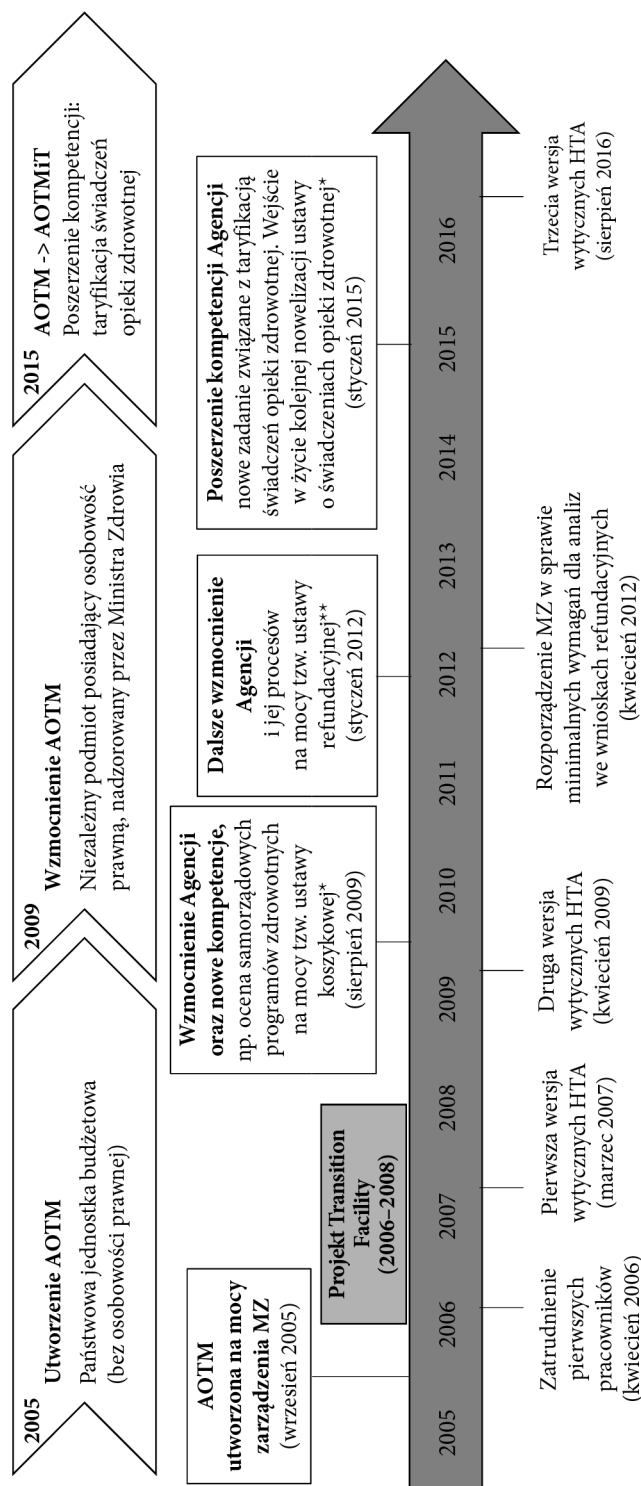
w Stanach Zjednoczonych w 1972 roku (Biuro ds. Oceny Technologii, Office for Technology Assessment), a w Europie pierwsza organizacja zajmująca się HTA powstała w roku 1987 (znana jako SBU – The Swedish Council on Technology Assessment in Health Care) [6].

W Polsce proces podejmowania decyzji w dziedzinie ochrony zdrowia w oparciu o dowody naukowe (*evidence-based decision making in healthcare*) został w zasadzie zapoczątkowany ponad dekadę temu wraz z utworzeniem w 2005 roku Agencji Oceny Technologii Medycznych (obecnie Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji – AOTMiT). Co ciekawe, rola AOTMiT wzrosła znacząco w ciągu dekady jej funkcjonowania. Poszczególne etapy ewolucji AOTMiT zostały przedstawione na rysunku 1.

Pierwotnie Agencja została utworzona na mocy zarządzenia Ministra Zdrowia [7], czyli uregulowania stojącego najniżej w hierarchii aktów prawnych w polskim ustawodawstwie. Z czasem jej rola wzrosła, w dużej mierze dzięki wsparciu ekspertów zagranicznych oraz rozwiniętej współpracy międzynarodowej, do czego przyczynił się projekt współfinansowany ze środków unijnych w ramach Transition Facility „Przejrzystość decyzji państwowego systemu opieki zdrowotnej w sprawie zwrotu kosztów lekarstw” [8]. Pozytywny wpływ na zmiany systemowe, w tym na motywację polskich decydentów, miało bez wątpienia postępowanie prowadzone wobec Polski przez Komisję Europejską odnośnie do nieprzestrzegania przez Polskę tzw. dyrektywy przejrzystości (dyrektywa Rady [89/105/EWG] z 21.12.1988 r. dotycząca przejrzystości środków regulujących ustalanie cen na produkty lecznicze przeznaczone do użytku przez człowieka oraz włączenia ich w zakres krajowego systemu ubezpieczeń zdrowotnych [9]), a także skutek braku zaimplementowania tej dyrektywy do polskiego porządku prawnego, co powinno było nastąpić od momentu wejścia Polski do Unii Europejskiej, tj. od maja 2004 roku. Najważniejsze kwestie związane z tą dyrektywą dotyczą trzech obszarów: 1) decyzje refundacyjne i cenowe są podejmowane w ustalonych ramach czasowych (180/90 dni na decyzje refundacyjne/cenowe), 2) na podstawie obiektywnych i weryfikowalnych kryteriów, 3) istnieją środki odwoławcze.

Projekt „Przejrzystość decyzji państwowego systemu opieki zdrowotnej w sprawie zwrotu kosztów lekarstw” miał na celu wzmocnienie zdolności instytucjonalnej Ministerstwa Zdrowia, a także nowo utworzonej Agencji Oceny Technologii Medycznych oraz przygotowanie rozwiązań mających na celu zaimplementowanie dyrektywy przejrzystości, co zresztą nastąpiło na mocy tzw. ustawy refundacyjnej z maja 2011 roku [10]. Ważnym momentem dla wzmocnienia roli Agencji był rok 2009 (rysunek 1), w którym nastąpiła nowelizacja ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (tzw. ustawa koszykowa [11]). Agencja zyskała osobowość prawną i stała się państwową jednostką organizacyjną. Zyskała też nowe zadania, m.in. wydawanie oceny świadczeń gwarantowanych oraz oceny programów polityki zdrowotnej.

Rysunek 1. Ewolucja AOTMiT – najważniejsze wydarzenia



* Ustawa z 27.08.2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych

** Ustawa z 12.05.2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych

Źródło: opracowanie własne.

Kluczowymi czynnikami sukcesu AOTMiT było zbudowanie zdolności instytucjonalnej Agencji przy wykorzystaniu ekspertyzy międzynarodowej (w tym wsparcia ekspertów zagranicznych w ramach projektu „Przejrzystość decyzji”), opracowanie i wdrożenie przejrzystych kryteriów stosowanych do procesu podejmowania decyzji odnośnie do świadczeń zdrowotnych (początkowo tylko do refundacji leków), a także wybiórcze podejście do finansowania innowacyjnych terapii w oparciu o ustalone kryteria, w tym o kryterium dotyczące efektywności kosztowej, której próg został określony na poziomie trzykrotności Produktu Krajowego Brutto na głowę mieszkańca (PKB *per capita*) [12].

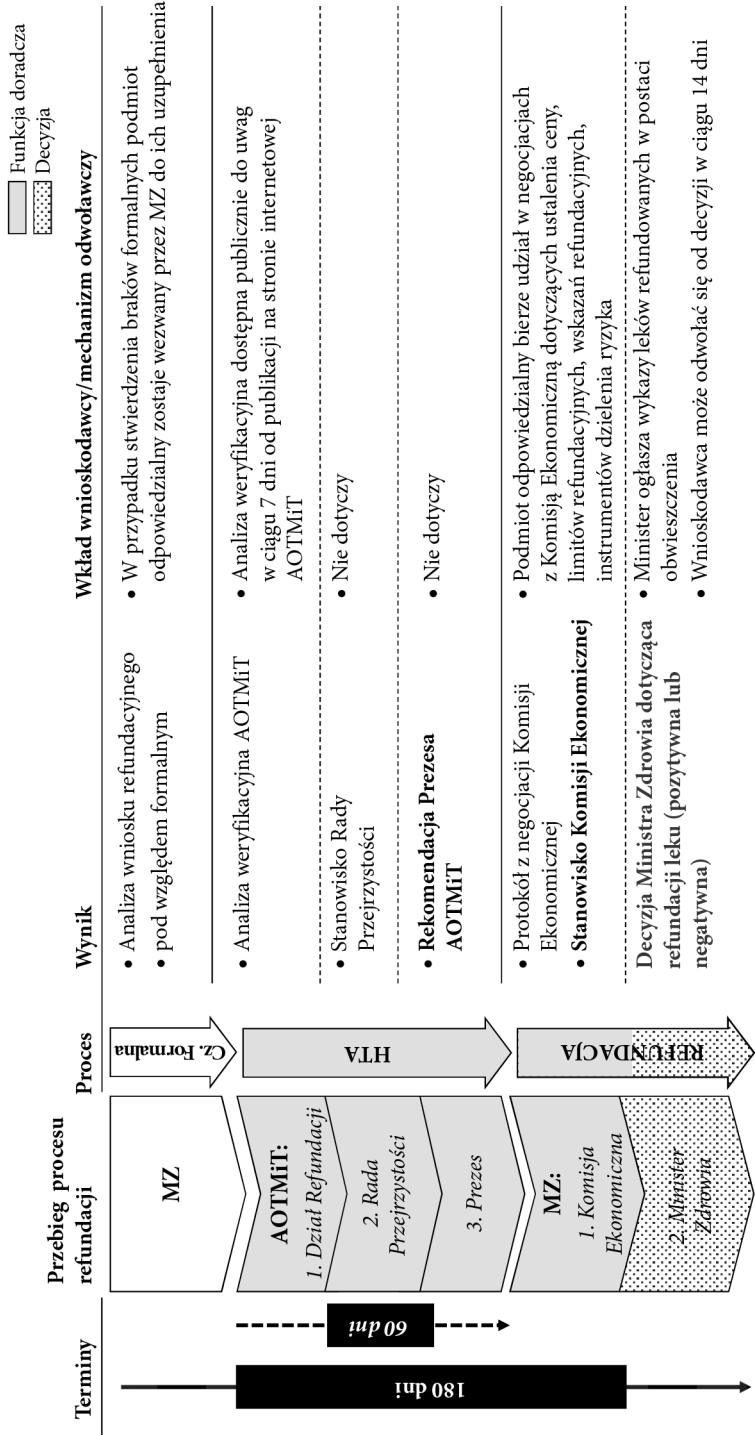
Kolejne zadania i wzmocnienie roli Agencji nastąpiło na mocy tzw. ustawy refundacyjnej, której założenia, jak wspomniano wyżej, zostały opracowane dzięki współpracy z ekspertami zagranicznymi w ramach projektu „Przejrzystość decyzji”. Ustawa refundacyjna z maja 2011 roku weszła w życie w styczniu 2012 roku [10].

Dzięki odpowiedniemu umocowaniu ustawowemu rola AOTMiT jest niepodważalna w procesie decyzyjnym związanym z finansowaniem technologii lekowych (zarówno w zakresie refundacji otwartej, jak i programów terapeutycznych, zwanych później lekowymi) i nielekowych. Proces podejmowania decyzji odnośnie do nowych leków przedstawiono na rysunku 2.

W swoim funkcjonowaniu AOTMiT działa w oparciu o opracowane wytyczne oceny technologii medycznych (HTA), które stanowią swoisty zbiór zasad oraz metod przeprowadzania oceny technologii medycznych, zapewniający wysoką jakość analiz oraz wiarygodność ich wyników. Wytyczne HTA są podstawowym narzędziem podczas opracowywania raportów HTA zarówno przez pracowników AOTMiT (przy opracowywaniu raportów HTA pełnych lub skróconych), jak i przez podmioty zewnętrzne (np. we wnioskach o objęcie refundacją leków) oraz podczas krytycznej oceny raportów HTA (np. podczas tzw. analizy weryfikacyjnej opracowywanej w AOTMiT). Polskie wytyczne HTA oparte są w zdecydowanej mierze na doświadczeniach międzynarodowych w tym zakresie, w tym na opracowaniach europejskiego projektu European network for HTA (EUnetHTA) [13] z uwzględnieniem lokalnych polskich uwarunkowań i specyfiki (np. odpowiednich rozwiązań legislacyjnych).

Wytyczne skierowane są do wszystkich stron zainteresowanych HTA, w tym w szczególności do pracowników Ministerstwa Zdrowia, AOTMiT, Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ), członków Rady Przejrzystości działającej przy AOTMiT, Komisji Ekonomicznej, firm farmaceutycznych, firm konsultingowych czy analitycznych opracowujących raporty HTA, jak również do szeroko pojętego środowiska akademickiego. Są skierowane także do pacjentów czy pracowników medycznych, w tym lekarzy i farmaceutów zainteresowanych tematyką HTA.

Rysunek 2. Proces refundacji nowych leków w Polsce



Źródło: opracowano na podstawie: ustawy refundacyjnej (zwłaszcza art. 12, 18, 24, 25, 35) oraz ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej (zwłaszcza art. 31c) oraz I. Lipska, N. McAuslane, H. Leufkens, A. Hövels, *A Decade of Health Technology Assessment in Poland*, International Journal of Technology Assessment Health Care 2017, s. 1–8.

Polskie wytyczne HTA odnoszą się do poszczególnych części raportu HTA:

- analizy problemu decyzyjnego,
- analizy efektywności klinicznej,
- analizy ekonomicznej,
- analizy wpływu na budżet (podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń opieki zdrowotnej ze środków publicznych, czyli płatnika publicznego, jakim obecnie jest NFZ).

Wytyczne HTA zostały po raz pierwszy opracowane w Polsce w 2007 roku przez AOTMiT przy współpracy zespołu ekspertów zewnętrznych [14]. Ich nowelizacja miała miejsce w 2009 roku (opracowane również przez AOTMiT przy współpracy zespołu ekspertów zewnętrznych) [15]. Aktualna wersja wytycznych została opracowana w 2016 roku [16].

W przyjętym w Polsce modelu agencji, który można określić jako pragmatyczny [12], to firma farmaceutyczna jest odpowiedzialna za przygotowanie całej dokumentacji refundacyjnej (wniosku o objęcie refundacją), w tym pełnego raportu HTA (złożonego z analizy problemu decyzyjnego, analizy klinicznej, analizy ekonomicznej, analizy wpływu na budżet płatnika oraz ewentualnie tzw. analizy racjonalizacyjnej). Raport HTA w agencji podlega krytycznej ocenie – tzw. analizie weryfikacyjnej, za którą jest pobierana opłata (obecnie w wysokości 101 574 zł) [17]. Problemem jednak jest wciąż przebieg czasowy podejmowanych decyzji, co niewątpliwie ma wpływ na ograniczoną dostępność pacjentów do nowych leków, w tym leków onkologicznych [18]. Jednocześnie ustawa refundacyjna jednoznacznie określa czas na przebieg tego procesu wewnątrz Agencji, ograniczając go do 60 dni [10].

Polska jest uznawana za lidera w Europie Środkowo-Wschodniej w zakresie wprowadzania do systemu podejmowania decyzji refundacyjnych odnośnie do nowych leków przejrzystych, opartych na dowodach naukowych, kryteriów [19]. Pozostaje jeszcze wiele do zrobienia w zakresie wdrożenia takich kryteriów do podejmowania decyzji odnośnie do finansowania technologii nielekowych (tzw. świadczeń gwarantowanych finansowanych ze środków publicznych). Można uznać, że AOTMiT rozwija swoje działania w tym kierunku, jednak następuje to niewspółmiernie wolniej niż w przypadku technologii lekowych. Jednakże obiektywnie należy stwierdzić, że ocena technologii nielekowych stanowi zdecydowanie większe wyzwanie z uwagi na ogromną różnorodność ocenianych technologii.

Kolejne zadania przypisane AOTMiT spowodowały, że jej rola w ciągu dekady znacząco wzrosła. Jednak nowe, bardzo ważne zadania realizowane przez Agencję (jak np. taryfikacja) mogą spowodować spadek znaczenia już wcześniej realizowanych zadań związanych *stricte* z HTA (jak np. prowadzenie oceny nowych leków refundowanych ze środków publicznych). Stale rośnie liczba osób zatrudnionych w Agencji (docelowo agencja ma zatrudniać 160 osób, w chwili obecnej jest ich niewiele ponad 100), choć

nie zapobiega to rotacji personelu, który po nabyciu odpowiednich kwalifikacji i wiedzy praktycznej w trakcie pracy w agencji stanowi bardzo atrakcyjny zasób na rynku pracy (np. dla przemysłu farmaceutycznego czy firm konsultingowych i analitycznych).

2. AOTMiT – podstawy prawne, rola i zadania

Rola AOTMiT w polskim systemie opieki zdrowotnej zdecydowanie się zwiększyła w ciągu ostatnich ponad 10 lat [12], a obecnie główne zadania Agencji skoncentrowane są wokół trzech obszarów:

- kwalifikowanie świadczeń opieki zdrowotnej jako gwarantowanych (zarówno lekowych, jak i nielekowych),
- ocena programów polityki zdrowotnej,
- taryfikacja świadczeń opieki zdrowotnej.

Kwalifikowanie świadczeń opieki zdrowotnej jako gwarantowanych nadal można uznać za główne i priorytetowe zadanie Agencji. Na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia Prezes Agencji wydaje rekomendacje w sprawie kwalifikowania lub niezasadności kwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczeń gwarantowanych na podstawie stanowiska Rady Przejrzystości. Rekomendacje Prezesa dotyczą wszystkich zakresów świadczeń (wymienionych w art. 15 ust. 2 u.ś.o.z.). Obecnie w wyniku kolejnej nowelizacji ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej Agencja na zlecenie Ministra Zdrowia ocenia także leki stosowane w ramach tzw. Programu Szczepień Ochronnych (na podstawie analiz otrzymanych od podmiotu odpowiedzialnego).

W początkowym okresie swojej działalności Agencja oceniała głównie technologie lekowe, z biegiem czasu bardzo powoli i stopniowo zwiększał się udział technologii nielekowych w ogólnej liczbie technologii ocenianych przez AOTMiT [12]. Kwalifikacji świadczeń opieki zdrowotnej jako gwarantowanych dokonuje Minister Zdrowia po uzyskaniu rekomendacji Prezesa Agencji i na podstawie kryteriów określonych w ustawie o świadczeniach opieki zdrowotnej (art. 31a ust. 1). Prezes Agencji, biorąc pod uwagę stanowisko Rady Przejrzystości oraz kryteria ustawowe (dla świadczeń nielekowych określone w ustawie o świadczeniach opieki zdrowotnej, a dla świadczeń lekowych – w ustawie refundacyjnej), wydaje rekomendacje w sprawie zakwalifikowania lub niezasadności zakwalifikowania danego świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego.

Dla zapewnienia przejrzystości procesu podejmowania decyzji odnośnie do finansowania świadczeń (w tym leków) ze środków publicznych poszczególne jego etapy są publikowane na stronie internetowej Agencji (w Biuletynie Informacji Publicznej na zasadach określonych w odpowiednich aktach prawnych). Publikacji na stronie internetowej AOTMiT podlegają m.in. zlecenia Ministra Zdrowia, stanowiska Rady Przejrzystości i rekomendacje Prezesa Agencji, a także raporty czy analizy weryfikacyjne opracowane przez zespoły analityczne Agencji.

Agencja ocenia także programy polityki zdrowotnej (art. 48a ust. 1 u.ś.o.z.) ministerialne i jednostek samorządu terytorialnego, choć jej opinia początkowo nie była wiążąca dla jednostek realizujących te programy (umocowanie to zostało zmienione niedawną nowelizacją ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej [20], która stanowi, że za wdrożenie programu polityki zdrowotnej, który uzyskał negatywną opinię Agencji, grozi sankcja jak za naruszenie dyscypliny finansów publicznych). Nowelizacja ta nakłada również na Agencję obowiązek przygotowania wytycznych i standardów dotyczących programów polityki zdrowotnej.

Nowym zadaniem AOTMiT na mocy nowelizacji ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej z 2015 roku stała się tzw. taryfikacja świadczeń opieki zdrowotnej, czyli ustalanie taryfy świadczeń (zestawienie świadczeń gwarantowanych wraz z przypisanymi im wartościami względnymi, z wyłączeniem świadczeń gwarantowanych, których zasady finansowania określa ustawa o refundacji). Taryfikacja jest przeprowadzana na podstawie rocznego planu taryfikacji, który jest opracowywany przez Prezesa Agencji, a zatwierdzany przez Ministra Zdrowia. Prezes Agencji określa taryfę świadczeń na podstawie opracowanych w Agencji analiz danych i publikuje taryfę w postaci obwieszczenia (jednak po wcześniejszym zatwierdzeniu przez Ministra Zdrowia). Wcześniej AOTMiT opracowuje raport w sprawie ustalenia taryfy świadczeń, którego składowe określone są w ustawie o świadczeniach opieki zdrowotnej (art. 31lb ust. 3). Raport jest następnie przedstawiany Radzie ds. Taryfikacji, która pełni rolę doradczą w tym procesie i wydaje stanowisko w sprawie taryfy świadczeń. Na podstawie ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej [21] do zadań Rady do spraw Taryfikacji należy: opiniowanie planu taryfikacji Agencji i metodyki taryfikacji świadczeń, prowadzenie konsultacji, wydawanie stanowisk, a także realizacja innych zadań zleconych przez Prezesa Agencji.

We wszelkich rozważaniach dotyczących roli i zadań Agencji należy także zwrócić uwagę na niedawną zmianę modelu finansowania agencji. Obecnie na mocy nowelizacji ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej [21] przychodami Agencji są: przychody z tytułu opłat za przygotowywanie analiz weryfikacyjnych Agencji, odpis dla Agencji, dotacje celowe na finansowanie lub dofinansowanie kosztów realizacji inwestycji oraz inne (w tym darowizny i zapisy, przychody z lokat, inne przychody). Zmiana dotyczy zatem głównie tzw. odpisu dla Agencji (a nie, jak poprzednio, odpisu na taryfikację oraz dodatkowo dotacji podmiotowej), który jest odpisem ze składki zdrowotnej w wysokości do 0,06% przychodów ze składki (przy czym w 2017 roku było to dokładnie 0,06%, co stanowi kwotę ok. 25 mln zł). Przychodami Agencji są nadal opłaty za przygotowanie analizy weryfikacyjnej, która na podstawie ustawy refundacyjnej (art. 35 ust. 3) nie może być wyższa niż 150 000 zł [10]. Natomiast szczegółowa wysokość jest ustalana na podstawie rozporządzenia Ministra Zdrowia i obecnie wynosi 101 574 zł [17].

3. Przyszłość HTA w Europie

Z uwagi na stale rosnące koszty opieki zdrowotnej na świecie i w Europie HTA stało się bardzo istotnym narzędziem służącym do podejmowania racjonalnych, opartych na dowodach naukowych decyzji odnośnie do finansowania świadczeń opieki zdrowotnej [1].

Podejmowanie decyzji odnośnie do finansowania technologii medycznych nie należy w żaden sposób do kompetencji Unii Europejskiej, leży tylko i wyłącznie w kompetencji poszczególnych krajów członkowskich. W przypadku Polski są to tzw. świadczenia gwarantowane finansowane w ramach „koszyka” świadczeń gwarantowanych na podstawie ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej [11].

Jednak kraje europejskie podjęły współpracę dotyczącą opracowania i stosowania wspólnych narzędzi dotyczących oceny technologii medycznych (HTA). Współpraca polega głównie na wypracowaniu wspólnej metodyki dotyczącej HTA, wspólnych narzędzi (w tym informatycznych), co ma zapobiegać powielaniu prac wykonywanych na poziomie poszczególnych krajów. Taka współpraca została rozpoczęta wiele lat temu w ramach projektów współfinansowanych ze środków unijnych [6]. Projektem, który ma największy wpływ na implementację narzędzi HTA w krajach unijnych, jest niewątpliwie projekt EUnetHTA (European network for HTA) [22, 23]. Początkowo w latach 2006–2008 znany był jako projekt EUnetHTA, w 2009 roku przekształcił się w projekt EUnetHTA Collaboration, następnie zaś w latach 2010–2012 – w EUnetHTA Joint Action 1 (JA1), kontynuowany w latach 2012–2015 jako EUnetHTA JA2, a obecnie EUnetHTA JA3 na lata 2016–2020 z budżetem w wysokości 20 mln euro. W tym ostatnim projekcie mogą brać udział krajowe oraz regionalne organizacje zajmujące się HTA ze wszystkich krajów członkowskich, Norwegii oraz Szwajcarii. Łącznie bierze w nim udział ponad 70 organizacji. Głównym celem jest współpraca naukowa i techniczna, opracowanie wspólnych metodologii, przeprowadzenie pilotaży wspólnych ocen dotyczących względnej efektywności klinicznej (REA – *relative effectiveness assessment*) oraz pełnych raportów HTA, a także opracowanie i utrzymanie wspólnych systemów informatycznych. Współpraca ta dotyczy także tzw. wczesnego dialogu (*early scientific advice*), czyli rodzaju współpracy regulatora z przemysłem polegającej na wymianie informacji naukowej we wczesnej fazie rozwoju produktu (technologii), w której biorą udział organizacje HTA oraz Europejska Agencja Leków (European Medicines Agency – EMA).

Przeprowadzanie wspólnych ocen dotyczących tylko efektywności klinicznej czy pełnych raportów HTA powinno skutkować ich wykorzystaniem w trakcie dalszych krajowych procesów decyzyjnych odnośnie do finansowania danej technologii (tzw. *national uptake*). Jest to najważniejsze i jednocześnie najtrudniejsze zadanie EUnetHTA JA3.

Podstawy prawne dla stabilnej i długotrwałej współpracy w zakresie HTA w Unii Europejskiej stworzyła dyrektywa Parlamentu Europejskiego i Rady 2011/24/UE z 9.03.2011 r. w sprawie stosowania praw pacjentów w transgranicznej opiece zdrowotnej [24]. Na podstawie

art. 15 dyrektywy 2011/24/UE utworzono sieć do spraw oceny technologii medycznych (HTA network), która ma następujące cele: wspieranie współpracy pomiędzy organami lub podmiotami krajowymi; wspieranie państw członkowskich w zapewnieniu obiektywnych, rzetelnych, terminowych, przejrzystych, porównywalnych i możliwych do przekazania informacji na temat względnej skuteczności, jak również, w stosownym przypadku, krótko- i długoterminowej skuteczności technologii medycznych, a także umożliwianie efektywnej wymiany tych informacji między podmiotami lub organami krajowymi; wspieranie analizy charakteru i rodzaju informacji, które mogą być wymieniane; unikanie powielania ocen.

Chociaż uczestnictwo w sieci HTA jest dobrowolne, to biorą w niej udział wszystkie kraje członkowskie, Norwegia i Islandia. Sieć HTA opracowała dokument dotyczący konieczności wzmocnienia współpracy europejskiej w zakresie HTA, który został przyjęty oficjalnie przez przedstawicieli państw członkowskich w październiku 2014 roku [25]. W tym dokumencie sieć HTA wezwała Komisję Europejską do zabezpieczenia tej współpracy w perspektywie długookresowej.

Wsparcie naukowe i techniczne sieci zapewnia projekt EUnetHTA JA3. W ramach tego projektu EUnetHTA opracowywane są wspólne narzędzia, na przykład model raportu HTA z dziewięcioma domenami (tzw. EUnetHTA core model) [26].

Dalsze kierunki rozwoju HTA w Europie w odniesieniu do leków będą zapewne dotyczyły powiązania procesów związanych z rejestracją leków (dopuszczeniem do obrotu) z procesami dotyczącymi oceny technologii medycznych (które odgrywają ogromną rolę w refundacji leków w poszczególnych państwach członkowskich).

Współpraca Europejskiej Agencji Leków (EMA) i EUnetHTA rozpoczęła się w 2010 roku i była wynikiem rekomendacji Forum Farmaceutycznego Wysokiego Szczebla (High Level Pharmaceutical Forum) [27]. Początkowo współpraca ta dotyczyła głównie możliwości wykorzystania przez agencje HTA dostępnych publicznie raportów opracowywanych przez EMA w trakcie prowadzonej oceny korzyści w stosunku do ryzyka produktów leczniczych (European Public Assessment Report – EPAR) [28]. W wyniku tej współpracy dostosowano raporty EPAR w taki sposób, aby były w jak największym stopniu przydatne dla instytucji zajmujących się HTA, czyli zazwyczaj w procesie podejmowania decyzji odnośnie do refundacji nowych leków [29]. Współpraca pomiędzy EMA a EUnetHTA zaowocowała zwiększeniem synergii pomiędzy oceną przeprowadzaną w trakcie cyklu życia produktu, w tym przypadku leków, zarówno przez agencję regulatorową (analiza korzyści do ryzyka związana z dopuszczeniem do obrotu) a oceną przeprowadzaną przez organizacje zajmujące się HTA [30].

Na bazie dotychczasowych rozwiązań Komisja Europejska podjęła inicjatywę związaną ze wzmocnieniem europejskiej współpracy w zakresie HTA. Dokument został opublikowany we wrześniu 2016 i przedstawiony do konsultacji publicznych [31]. Komisja Europejska rozważyła możliwe opcje współpracy i zaproponowała pięć możliwych opcji dalszej współpracy w zakresie HTA (tabela 1).

Tabela 1. Możliwe opcje współpracy europejskiej w zakresie HTA

Wyszczególnienie	Opcja 1	Opcja 2	Opcja 3	Opcja 4	Opcja 5
Główne aspekty	Utrzymanie obecnego stanu – dobrowolna współpraca w zakresie HTA (do 2020 roku)	Długoterminowa dobrowolna współpraca w zakresie HTA (po roku 2020)	Współpraca w zakresie zbierania, udostępniania i używania wspólnych narzędzi i danych	Współpraca w zakresie opracowywania wspólnych raportów dotyczących efektywności klinicznej (REA)	Współpraca w zakresie opracowywania wspólnych pełnych raportów HTA
Rozwiązania legislacyjne	Nowe rozwiązania legislacyjne nie są potrzebne	Nowe rozwiązania legislacyjne nie są potrzebne	Konieczne jest wypracowanie nowych rozwiązań legislacyjnych	Konieczne jest wypracowanie nowych rozwiązań legislacyjnych	Konieczne jest wypracowanie nowych rozwiązań legislacyjnych
Uczestnictwo instytucji HTA i przemysłu	Dobrowolne	Dobrowolne	Obowiązkowe w odniesieniu do wspólnych narzędzi Dobrowolne w odniesieniu do HTA	Obowiązkowe w odniesieniu do wspólnych narzędzi Dobrowolne/obowiązkowe w odniesieniu do HTA	Obowiązkowe w odniesieniu do wspólnych narzędzi Dobrowolne/obowiązkowe w odniesieniu do HTA
Używanie wspólnych narzędzi i ocen	Dobrowolne	Dobrowolne	Obowiązkowe w odniesieniu do wspólnych narzędzi	Obowiązkowe w odniesieniu do wspólnych narzędzi i REA	Obowiązkowe
Finansowanie	Zależne od budżetu Unii Europejskiej	Zależne od budżetu Unii Europejskiej	Model mieszański (budżet Unii Europejskiej + państwa członkowskie + wkład przemysłu)	Model mieszański (budżet Unii Europejskiej + państwa członkowskie + wkład przemysłu)	Model mieszański (budżet Unii Europejskiej + państwa członkowskie + wkład przemysłu)
Perspektywa czasowa	Do 2020 roku	Długookresowa (po 2020 roku)	Długookresowa (po 2020 roku)	Długookresowa (po 2020 roku)	Długookresowa (po 2020 roku)

Źródło: opracowano na podstawie dokumentu Komisji Europejskiej [31].

W chwili obecnej najbardziej prawdopodobny scenariusz dotyczący przyszłości HTA w Europie to opracowywanie wspólnych narzędzi dotyczących HTA (zatem standaryzacja, a nie harmonizacja), tworzenie wspólnych narzędzi informatycznych w celu wymiany informacji i zapobiegania powielania prac oraz wykonywanie wspólnych ocen względnej efektywności klinicznej (REA). Na podstawie wspólnych REA państwa członkowskie przeprowadzają dalsze własne analizy efektywności ekonomicznej i wpływu na budżet oraz podejmują decyzje w ramach swoich kompetencji. Rzeczywiste wykorzystanie wspólnych REA w dalszych procesach decyzyjnych w poszczególnych krajach stanowi w tej chwili największe wyzwanie. Opisany wyżej scenariusz stanowi jedną z możliwych opcji [31]. Powyższe scenariusze rozważane są także w kontekście używania przez kraje unijne wspólnie wypracowanych narzędzi HTA, wzorów dokumentów, wspólnych ocen dotyczących względnej efektywności klinicznej (REA), wspólnych pełnych raportów HTA, a także tzw. wczesnego dialogu. Szczegóły zostały przedstawione w tabeli 2.

Tabela 2. Możliwe wyniki współpracy w odniesieniu do wspólnych narzędzi HTA

Wyszczególnienie	Opcja 1	Opcja 2	Opcja 3	Opcja 4	Opcja 5
Wynik współpracy	Utrzymanie obecnego stanu – dobrowolna współpraca w zakresie HTA (do 2020 roku)	Długoterminowa dobrowolna współpraca w zakresie HTA (po 2020 roku)	Współpraca w zakresie zbierania, udostępniania i używania wspólnych narzędzi i danych	Współpraca w zakresie opracowywania wspólnych raportów dotyczących efektywności klinicznej (REA)	Współpraca w zakresie opracowywania wspólnych pełnych raportów HTA
Wspólne narzędzia/wzory dokumentów	Stosowane częściowo	Stosowane częściowo	Stosowane w pełni (obowiązkowe)	Stosowane w pełni (obowiązkowe)	Stosowane w pełni (obowiązkowe)
Wspólne oceny REA*	Stosowane częściowo	Stosowane częściowo	Stosowane częściowo	Stosowane w pełni (obowiązkowe)	Stosowane w pełni (obowiązkowe)
Wspólne pełne raporty HTA	Stosowane częściowo	Stosowane częściowo	Stosowane częściowo	Stosowane częściowo	Stosowane w pełni (obowiązkowe)
Wczesny dialog**	Stosowane częściowo	Stosowane częściowo	Stosowane w pełni (obowiązkowe)	Stosowane w pełni (obowiązkowe)	Stosowane w pełni (obowiązkowe)

Uwagi:

* REA (*relative effectiveness assessment*) – ocena względnej efektywności klinicznej.

** *Early dialogue* – rodzaj współpracy (dialogu) regulatora z przemysłem polegający na wymianie informacji naukowej w wczesnej fazie rozwoju produktu (technologii).

Źródło: opracowano na podstawie dokumentu Komisji Europejskiej [31].

W 2018 roku spodziewane jest przedstawienie dalszych planów Komisji Europejskiej dotyczących przyszłości HTA w Europie po 2020 roku, tj. po zakończeniu obecnego projektu EUnetHTA JA3. Przedstawione wyżej opcje 1–5 prezentują szeroki wachlarz możliwych rozwiązań: od utrzymania obecnego *status quo* i braku współpracy po 2020 roku (opcja 1) aż do obowiązkowej współpracy krajów członkowskich w zakresie HTA i obowiązkowej implementacji wspólnych pełnych raportów HTA (opcja 5), poprzez rozwiązania pośrednie polegające na obowiązkowej współpracy w zakresie opracowywania wspólnych narzędzi i dobrowolnego wykorzystania wspólnych raportów REA i HTA (opcje 2–4).

W chwili obecnej wydaje się, że najbardziej prawdopodobny scenariusz obejmowałby opcję 3 lub 4. Przewaga opcji 4 polega na obowiązkowym stosowaniu wspólnych ocen efektywności klinicznej REA (co jest przynajmniej częściowo realizowane w ramach obecnego projektu EUnetHTA JA3). Także przemysł farmaceutyczny dostrzega przewagę właśnie tej opcji [32]. Należy jednak podkreślić, że część krajów członkowskich opowiada się za opcją 2, która zakłada długoterminową dobrowolną współpracę w zakresie HTA (po 2020 roku) oraz tylko częściowe (dobrowolne) stosowanie wyników wspólnych prac (np. w zakresie REA).

Referencje

1. Garrido M.V. et al., *Health technology assessment and health policy-making in Europe. Current status, challenges and potential*, European Observatory of Health Systems and Policies 2008
2. Oortwijn W., Mathijssen J., Banta D., *The role of health technology assessment on pharmaceutical reimbursement in selected middle-income countries*, Health Policy 2010/95, s. 174–184
3. Fuchs S. et al., *HTA of medical devices: Challenges and ideas for the future from a European perspective*, Health Policy 2017/121, s. 215–229
4. INAHTA and HTAi, *HTA Glossary Net*, <http://htaglossary.net/health+technology+assessment+%28HTA%29> (dostęp: 18.12.2017)
5. EFPIA, <http://efpia.eu/relative-efficacy-assessment> (dostęp: 12.05.2017)
6. Banta D., Kristensen F.B., Jonsson E., *A history of health technology assessment at the European level*, International Journal of Technology Assessment Health Care 2009/25, Suppl. 1, s. 68–73
7. Zarządzenie Ministra Zdrowia z 1.09.2005 r. w sprawie utworzenia Agencji Oceny Technologii Medycznych (Dz.Urz. MZ Nr 13, poz. 56), uchylone
8. Zagorska A. et al., *Case 1 implementation of transparent process of drug reimbursement decisions in Poland*, Value in Health 2008/11, s. A348–A349
9. Dyrektywa Rady [89/105/EWG] z 21.12.1988 r. dotycząca przejrzystości środków regulujących ustalanie cen na produkty lecznicze przeznaczone do użytku przez człowieka oraz włączenia ich w zakres krajowego systemu ubezpieczeń zdrowotnych (Dz.Urz. EWG L 40, s. 8)
10. Ustawa z 12.05.2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2017 r. poz. 1844 ze zm.)
11. Ustawa z 25.06.2009 r. o zmianie ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych oraz ustawy o cenach (Dz.U. Nr 118, poz. 989), uchylona

12. Lipska I. et al., *A decade of health technology assessment in Poland*, International Journal of Technology Assessment in Health Care 2017, s. 1–8
13. Kristensen F.B. et al., *Practical tools and methods for health technology assessment in Europe: Structures, methodologies, and tools developed by the European network for Health Technology Assessment, EUnetHTA*, International Journal of Technology Assessment in Health Care 2009/25, Suppl. 2, s. 1–8
14. Wytyczne przeprowadzania Oceny Technologii Medycznych (HTA), Kraków–Warszawa, marzec 2007, Agencja Oceny Technologii Medycznych http://www.aotm.gov.pl/www/wp-content/uploads/wytyczne_hta/2007/Wytyczne_HTA_w_AOTM_03_2007.pdf (dostęp: 2.01.2018)
15. Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA), wersja 2.1, Warszawa, kwiecień 2009, http://www.aotm.gov.pl/www/wp-content/uploads/wytyczne_hta/2009/Wytyczne_HTA_pl_MS_29052009.pdf (dostęp: 2.01.2018)
16. Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA, ang. *health technology assessment*), wersja 3.0, Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Warszawa, sierpień 2016, http://www.aotm.gov.pl/www/wp-content/uploads/wytyczne_hta/2016/20160913_Wytyczne_AOTMiT.pdf (dostęp: 2.01.2018)
17. Rozporządzenie Ministra Zdrowia z 18.12.2013 r. w sprawie sposobu i procedur przygotowania analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych oraz wysokości opłaty za tę analizę (Dz.U. z 2014 r. poz. 4)
18. Lipska I., *Variation in Health Technology Assessment of new medicines: processes and outcomes*, Utrecht 2017
19. Nizankowski R., Wilk N., *From idealistic rookies to a regional leader: the history of health technology assessment in Poland*, International Journal of Technology Assessment Health Care 2009/25, Suppl. 1, s. 156–162
20. Ustawa z 29.09.2017 r. o zmianie ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych oraz niektórych innych ustaw (Dz.U. poz. 2110)
21. Ustawa z 25.05.2017 r. o zmianie ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych oraz niektórych innych ustaw (Dz.U. poz. 1200)
22. Kristensen F.B. et al., *European network for health technology assessment, EUnetHTA: planning, development, and implementation of a sustainable European network for health technology assessment*, International Journal of Technology Assessment Health Care 2009/25, Suppl. 2, s. 107–116
23. Kristensen F.B., *Development of European HTA: from Vision to EUnetHTA*, The Norwegian Medical Society 2012/9, s. 147–156
24. Dyrektywa Parlamentu Europejskiego i Rady 2011/24/UE z 9.03.2011 r. w sprawie stosowania praw pacjentów w transgranicznej opiece zdrowotnej (Dz.Urz. UE L 88, s. 45)
25. European network for HTA, *Strategy for EU Cooperation on Health Technology Assessment*, 2014
26. Lampe K. et al., *The HTA core model: a novel method for producing and reporting health technology assessments*, International Journal of Technology Assessment Health Care 2009/25, Suppl. 2, s. 9–20
27. High Level Pharmaceutical Forum, *High Level Pharmaceutical Forum Final Conclusions*, 2008
28. EMA and EUnetHTA, *Collaboration on European Public Assessment Report EPAR*, 2011
29. Berntgen M. et al., *Improving the Contribution of Regulatory Assessment Reports to Health Technology Assessments – A Collaboration between the European Medicines Agency and the European network for Health Technology Assessment*, Value in Health 2014
30. EUnetHTA and EMA, *Cooperation between regulators and HTA bodies creates synergies*, 2016
31. European Commission and DG SANCO, *Strengthening of the EU cooperation on Health Technology Assessment (HTA)*, 2016
32. Charles River and Associates, *Assessing the wider benefits of the EU's proposal on strengthening cooperation on health technology assessment from the industry perspective. Final draft report*, June 2017

Część II

OCENA TECHNOLOGII MEDYCZNYCH