



**Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji**

**Zasady i proces tworzenia  
wykazu technologii lekowych  
o wysokim poziomie innowacyjności**

Wersja 1.0

Warszawa, 19 lutego 2021 r.

## 1. INFORMACJE PODSTAWOWE

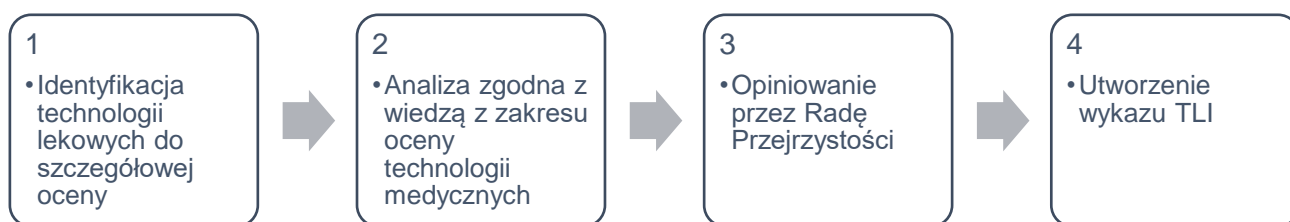
Działając na podstawie art. 40a ust. 4 ustawy o refundacji (u o ref) Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (zwana dalej „Agencją”) ustala zasady tworzenia wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (zwany dalej „wykazem TLI”), uwzględniając wiedzę z zakresu oceny technologii medycznych, w szczególności oczekiwane efekty zdrowotne, biorąc pod uwagę między innymi siłę interwencji, jakość danych naukowych, niezaspokojoną potrzebę zdrowotną, wielkość populacji docelowej oraz priorytety zdrowotne.

Proces tworzenia wykazu TLI uwzględnia:

1. Identyfikację technologii lekowych do szczegółowej oceny,
2. Analizę zgodnie z oceną technologii medycznych:
  - o ocenę charakterystyki ewaluowanej technologii lekowej,
  - o ocenę niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej, w kontekście priorytetów zdrowotnych,
  - o ocenę kliniczną, w tym ocenę oczekiwanych efektów zdrowotnych i siły interwencji,
  - o ocenę ekonomiczną oraz ocenę wpływu na budżet płatnika;
3. Opiniowanie przez Radę Przejrzystości,
4. Utworzenie wykazu TLI.

Schemat procesu tworzenia wykazu TLI z uwzględnieniem poszczególnych etapów jest przedstawiony poniżej.

Schemat 1. Proces tworzenia wykazu TLI



## 2. IDENTYFIKACJA TECHNOLOGII LEKOWYCH

Zasady tworzenia pierwszego wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (zwanym dalej „wykazem TLI”), o którym mowa w art. 40a ust. 2 o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, wprowadzone ustawą o Funduszu Medycznym.

- ocenie zostały poddane leki, dla których decyzja o pozwoleniu na dopuszczenie do obrotu w procedurze centralnej w Unii Europejskiej została wydana od dnia 1 stycznia 2020 r. do dnia 26 listopada 2020 r. (w celu zachowania ciągłości oceny, leki dopuszczone do obrotu po dniu 26 listopada 2020 r. będą przedmiotem oceny zasadności umieszczenia ich w drugim wykazie TLI; kolejne wykazy TLI będą publikowane, zgodnie z art. 40a ust. 2 ustawy o refundacji, nie rzadziej niż raz do roku;
- ocenie zostały poddane leki, dla których decyzja o pozwoleniu na dopuszczenie do obrotu w procedurze centralnej w Unii Europejskiej obejmuje zastosowanie w onkologii lub w chorobach rzadkich;
- ocenie zostały poddane leki we wskazaniach, dla których do dnia opublikowania wykazu TLI nie został złożony wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu;
- z procesu oceny wykluczono leki, które uzyskały pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na podstawie dokumentacji biorównoważności lub biopodobności;



- z procesu oceny wykluczono leki, względem których Agencja otrzymała informację, że wnioskodawca złożył wnioski o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla danego leku w tym wskazaniu.

### 3. ANALIZA ZGODNIE Z OCENĄ TECHNOLOGII MEDYCZNYCH

#### 3.1 Ocena charakterystyki ewaluowanej technologii lekowej

Opis ocenianej technologii lekowej obejmuje m.in. nazwę handlową, postać i dawkę oraz opakowanie, nazwę substancji czynnej, oceniane wskazanie, pozostałe zarejestrowane wskazania, warunki dopuszczenia do obrotu, dawkowanie, drogę podania, mechanizm działania, grupę ATC, status leku sierocego, datę dopuszczenia do obrotu na podstawie art. 11 ustawy Prawo Farmaceutyczne.

#### 3.2 Ocena niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej

Ocena potrzeb zdrowotnych, w tym ocena niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej obejmuje charakterystykę choroby, włączając ocenę konsekwencji zdrowotnych, skutki ich nieleczenia oraz efekty podjętych działań terapeutycznych, ocenę populacji docelowej (w tym ocenę indywidualnych i społecznych potrzeb zdrowotnych oraz ocenę wielkości populacji docelowej w celu określenia m. in. skali potrzeb zdrowotnych oraz oszacowania kosztów terapii), a także ocenę dostępności alternatywnych technologii medycznych. W oparciu o przegląd wytycznych praktyki klinicznej zweryfikowano czy w wytycznych są określone rekomendowane opcje terapeutyczne; czy opcje terapeutyczne, które są rekomendowane są dostępne; czy istnieją ewentualne różnice w zakresie wskazań rejestracyjnych i wskazań objętych finansowaniem oraz wskazań off-label objętych finansowaniem. Wnioski z wytycznych wskazują, które z wytycznych uwzględniają zastosowanie nowej technologii, czy opcje terapeutyczne są zgodne z opcjami w badaniach klinicznych. W oparciu o przegląd wcześniejszych ocen Agencji przedstawiono oceny wydane przez Agencję w danym wskazaniu. Dokonano także analizy dostępności opcji terapeutycznych oraz sprawdzenia dostępności opcji niepodlegających przepisom ustawy refundacyjnej lub nieobjętych refundacją, np. dostępność leków OTC, leków przeznaczonych do leczenia zamkniętego (LZ) i innych wykorzystywanych rutynowo w ramach praktyki szpitalnej. W przypadkach braku komparatora weryfikowana jest informacja czy brak komparatora może być uzasadniony.

W ocenie oparto się także na Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. w sprawie priorytetów zdrowotnych.

#### 3.3 Ocena kliniczna, w tym ocena oczekiwanych efektów zdrowotnych i siły interwencji

Ocena skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa oparto na wynikach badań rejestracyjnych. Przedstawiono kluczowe wyniki odnoszące się do skuteczności analizowanej technologii w zakresie wpływu na przeżycie; jakość życia, w tym punkty odnoszące się do postulowanego zatrzymania progresji choroby, np. PFS; jakość życia, w tym punkty końcowe odnoszące się do przebiegu/nasilenia choroby; wyleczenie; inne, zastępcze punkty końcowe, jeżeli nie odnaleziono danych w odniesieniu do ww. kategorii punktów końcowych. W ocenie bezpieczeństwa uwzględniono kluczowe zdarzenia niepożądane, które mogą mieć znaczenie przy całościowej ocenie technologii lekowej. Ocenę jakości badań przeprowadzono z wykorzystaniem Risk of Bias Tool 1.0 The Cochrane Collaboration lub z wykorzystaniem skali NICE do oceny badań jednoramiennych. Ocena siły interwencji została zmierzona wielkością efektu zdrowotnego ocenionego w badaniu klinicznym.

#### 3.4 Ocena ekonomiczna oraz ocena wpływu na budżet płatnika

W ocenie ekonomicznej zawarto przegląd opublikowanych na świecie analiz HTA lub analiz ekonomicznych (Wielka Brytania – <http://www.nice.org.uk/> oraz walijska i irlandzka Agencja, Szkocja –



<http://www.scottishmedicines.org.uk/>, Kanada – <http://www.cadth.ca/> oraz <http://www.pcodr.ca/>, Ontario – <http://www.health.gov.on.ca/en/>, Francja – <http://www.has-sante.fr/>, Holandia – <http://www.zorginstituutnederland.nl/>, Niemcy – <https://www.g-ba.de/> oraz <https://www.iqwig.de/>, Australia – <http://www.health.gov.au/>, Szwecja – <https://www.tlv.se/>, oszacowanie kosztów terapii i komparatora, a w uzasadnionych przypadkach wyniki modelowania. Koszty terapii i komparatora oparto na danych o cenach zbytu netto otrzymanych do hurtowni farmaceutycznych prowadzących działalność na terenie RP oraz informacjach o cenach dostępnych w [REDACTED]. W oparciu o dane cenowe i dotyczące dawkowania przedstawiono jednostkowe koszty terapii oraz koszty leczenia populacji docelowej.

Ocenę niepewności wnioskowania przeprowadzono w oparciu o niepewność metodyki materiału dowodowego oraz w oparciu o ocenę możliwości przeniesienia wyników badania do warunków polskich (*transferability*).

#### 4. Opiniowanie przez Radę Przejrzystości<sup>1</sup>

Rada Przejrzystości obradująca w pełnym składzie dokonując wskazania spośród technologii spełniających kryteria wskazane w rozdziale 2 powyżej, technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, przeprowadzała ocenę istotności schorzenia (lub wskazania szczegółowego), na które składają się ciężkość skutków i występowanie w Polsce; zaspokojenia potrzeby zdrowotnej dostępność w Polsce i skuteczność technologii leczniczej w tym schorzeniu: siły wnioskowanej interwencji, uwzględniając jej skuteczność i bezpieczeństwo (działania niepożądane) w rozpatrywanym wskazaniu; istotności najważniejszego punktu końcowego; dystansu innowacyjnego, tj. różnicy pomiędzy siłą wnioskowanej technologii a aktualnym zaspokojeniem potrzeb zdrowotnych w danym wskazaniu – rozumianej jako sumaryczny miernik innowacji wynikowej, czyli jakości dowodów naukowych; innowacyjności procesowej technologii (czy jej działanie jest innowacyjne biorąc pod uwagę punkt uchwytu i mechanizm działania; kosztów terapii; kosztów efektu zdrowotnego (preferencyjnie LYG)); wpływu na budżet, przy uwzględnieniu wielkości populacji docelowej.

#### 5. Utworzenie wykazu TLI<sup>2</sup>

Na podstawie wyników raportów oraz opinii Rady Przejrzystości, biorąc pod uwagę wymagane ustawowo dane gromadzone w rejestrze medycznym, w tym między innymi wskaźniki oceny efektywności terapii i oczekiwane korzyści zdrowotne oraz kryteria opisujące populację docelową oraz szczegółowe warunki stosowania technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, opracowano wykaz TLI, który został opublikowany w Biuletynie Informacji Publicznej Agencji.

<sup>1</sup> Opinia Rady Przejrzystości nr 35/2021 z dnia 22 lutego 2021 roku w sprawie technologii lekowych ocenianych pod kątem uwzględnienia na wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności [https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/wykaz\\_tli/GRP.pdf](https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/wykaz_tli/GRP.pdf)

<sup>2</sup> Wykaz TLI [https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/wykaz\\_tli/wykaz\\_tli.pdf](https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/wykaz_tli/wykaz_tli.pdf)