

Mgr Aneta Mela-Kalicka

Rekomendacje AOTMiT w poszczególnych obszarach terapeutycznych na tle innych agencji HTA

STRESZCZENIE W JEZYKU POLSKIM

Wprowadzenie: *W roku 2005 Polska, idąc w ślady licznych innych krajów rozwiniętych, włączyła do procesu refundacji leków system oceny technologii medycznych (ang. *health technology assessment*, HTA). Powołana została Agencja Oceny Technologii Medycznych, która w 2009 r. otrzymała upoważnienie ustawowe i nową nazwę – Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT). AOTMiT to niezależna jednostka gromadząca dane, opracowująca analizy i wydająca rekomendacje odnośnie do zasadności publicznego finansowania leków, wyrobów medycznych, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego i świadczeń opieki zdrowotnej. Dane analityczne AOTMiT i rekomendacje Agencji wspierają Ministerstwo Zdrowia w procesie podejmowania decyzji refundacyjnych. W agencjach HTA w Europie i na świecie stosuje się różne modele zarządzania, a wydawane rekomendacje mogą być pozytywne, negatywne lub warunkowe. W związku z powyższym sformułowano następujące pytania badawcze: Czy różnice w rekomendacjach wydawanych przez agencje HTA w poszczególnych obszarach terapeutycznych dla tych samych leków są znaczne, czy raczej pomijalnie małe? Z czego wynikają różnice w rekomendacjach agencji HTA w konkretnych obszarach terapeutycznych – czy decydują tu inna interpretacja i odmienne wartościowanie danych klinicznych, czy względy ekonomiczne? Odpowiedzi postanowiono udzielić na podstawie kompleksowej analizy rekomendacji agencji HTA, zarówno europejskich, jak i pozaeuropejskich.*

Cele pracy: Głównym celem pracy doktorskiej była analiza rekomendacji AOTMiT w porównaniu z innymi agencjami HTA w poszczególnych obszarach terapeutycznych.

Celami dodatkowymi były analiza i porównanie systemów refundacyjnych w krajach objętych badaniem ze szczególnym uwzględnieniem agencji HTA, a także analiza czasu od rejestracji leków i nowych wskazań do wydania rekomendacji refundacyjnych przez agencje HTA w różnych obszarach terapeutycznych.

Materiał i metody: W pierwszym etapie pracy doktorskiej dokonano przeglądu piśmiennictwa krajowego i zagranicznego, by precyzyjnie scharakteryzować systemy refundacyjne funkcjonujące w Polsce oraz Anglii, Szkocji, Walii, Irlandii, Francji, Holandii, Niemczech, Szwecji, Norwegii, Kanadzie, Australii i Nowej Zelandii. W oparciu o praktykę formułowania rekomendacji przez

AOTMiT skoncentrowano się na wymienionych krajach (uwzględniono te kraje, do rekomendacji których odnosi się AOTMiT). Przedmiotem szczególnego zainteresowania była rola agencji HTA w procesie podejmowania decyzji refundacyjnych.

W ramach drugiego etapu stworzono ustrukturyzowaną bazę danych, by wyodrębnić dane z rekomendacji refundacyjnych wydanych przez analizowane agencje HTA dla nowych cząsteczek lub nowych wskazań, które Europejska Agencja Leków zarejestrowała w latach 2014–2019.

Zgromadziwszy niezbędne dane, dokonano oceny spójności badanych agencji HTA w zakresie wydawanych rekomendacji. Analiza dotyczyła dwóch kluczowych obszarów:

1. Analiza odniesień służyła ustaleniu, jak często poszczególne agencje, uzasadniając własne rekomendacje, odwołują się do następujących kryteriów: korzyści klinicznej, profilu bezpieczeństwa, efektywności kosztowej i wpływu na budżet płatnika.
2. W analizie oceny/wartościowania sprawdzano wpływ ww. kryteriów na charakter wydawanych rekomendacji (pozytywne/negatywne).

Wreszcie w trzecim etapie, uzupełniającym badania z etapu drugiego, przeprowadzono analizę czasu upływającego między rejestracją nowych leków czy wskazań a publikacją rekomendacji przez agencje HTA w konkretnych obszarach terapeutycznych. Celem było zidentyfikowanie potencjalnych dysproporcji między Polską a innymi krajami.

Wyniki: Wszystkie analizowane agencje zajmują się ocenami krajowymi, a część z nich przygotowuje również oceny regionalne. Agencje to podmioty niezależne, w wybranych krajach (Anglii, Australii, Norwegii, Szkocji) podejmują decyzje o zasadności refundacji, pozostawiając kwestie finansowania innym instytucjom publicznym. W większości państw do kryteriów oceny HTA należą: skuteczność kliniczna, profil bezpieczeństwa, potrzeby medyczne oraz stopień innowacyjności. Z wyjątkiem agencji francuskiej i niemieckiej podmioty zajmujące się HTA biorą pod uwagę także wpływ na budżet płatnika i kosztową efektywność. Analizowane agencje różnicuje głównie przyjęty próg opłacalności, przy czym w połowie badanych krajów nie został on oficjalnie ustalony.

Analizą objęto rekomendacje wydane przez 12 agencji HTA – w sumie 2496 zaleceń refundacyjnych dla 464 produktów leczniczych i 525 wskazań.

W niemal wszystkich krajach – poza Walią i Irlandią – wskaźnik rekomendacji pozytywnych był wyższy niż wskaźnik rekomendacji negatywnych (w Polsce, Australii i Niemczech jedynie nieznacznie). Określono obszary terapeutyczne, w których rekomendacje pozytywne publikowano znacznie częściej niż w innych. Stopień zgodności w zakresie typu rekomendacji refundacyjnych dla danych wskazań w porównywanych parach agencji HTA okazał się umiarkowany.

Porównania par agencji pod względem wykorzystania oceny skuteczności klinicznej w formułowaniu rekomendacji wykazały zgodność polskiej agencji z sześcioma innymi: angielską, szkocką, irlandzką, francuską, niemiecką i kanadyjską.

Jeśli chodzi o odniesienia do efektywności kosztowej pojawiające się w rekomendacjach, Polska okazała się umiarkowanie zgodna z Anglią, Szkocją, Irlandią, Australią i Kanadą. Natomiast pod kątem wartościowania efektywności kosztowej polska agencja przejawiała zgodność jedynie z agencjami irlandzką i kanadyjską.

Podobnie jak w przypadku efektywności kosztowej, w Polsce, Australii i Szkocji wykazanie pozytywnego wpływu na budżet sprzyjało wydawaniu pozytywnych rekomendacji, przy czym samo odniesienie w Szkocji częściej wykorzystywano przy uzasadnianiu pozytywnych rekomendacji, a w przypadku Polski i Australii negatywnych.

Stwierdzono różnice między krajami dotyczące czasu od rejestracji leku do opublikowania rekomendacji. W Walii, Niemczech, Australii, Francji, Szkocji i Norwegii średnia wartość nie przekraczała roku. Jeżeli zaś uwzględnić medianę, to czas między rejestracją a wydaniem rekomendacji wynosił ponad rok jedynie w Irlandii, Nowej Zelandii i Polsce.

Wnioski: Mimo iż przedmiot i zakres HTA jest precyzyjnie określony to jednak umiejscowienie właściwych agencji HTA i wpływ ich rekomendacji na system refundacyjny jest odmienny. Polski system rekomendacji refundacyjnych wykazuje pewne podobieństwa do systemów stosowanych w Kanadzie i Nowej Zelandii, szczególnie pod względem charakteru wydawanych rekomendacji (pozytywne/negatywne), w większym stopniu niż do systemów innych krajów europejskich. W zakresie wzorca uzasadniania rekomendacji największe podobieństwo stwierdzono między Agencją Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) a agencją irlandzką.

Formułując ostateczne zalecenia, polska agencja uwzględnia cztery kluczowe aspekty: skuteczność kliniczną, profil bezpieczeństwa, efektywność kosztową oraz wpływ na budżet płatnika. W porównaniu z innymi krajami schemat uzasadniania rekomendacji w Polsce różni się przede wszystkim w zakresie analizy wpływu na budżet oraz – w mniejszym stopniu – efektywności kosztowej.

Czas oczekiwania od rejestracji leku do opublikowania rekomendacji przez AOTMiT należy do najdłuższych spośród analizowanych agencji. Jednak od 2017 roku obserwuje się systematyczne skracanie tego okresu.