



BP.425.3.2023.MWJ

Warszawa, 19 czerwca 2023 r.

Sz. P.

Marzanna Bieńkowska

Zastępca Dyrektora

Departament Współpracy

Biuro Rzecznika Praw Pacjenta

Szanowna Pani Dyrektor,

w odpowiedzi na pismo z 26 maja 2023 r. (znak: RzPP-DWS.072.63.2023) w sprawie wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności z dnia 15 marca 2023 r., przekazanego Ministrowi Zdrowia, uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji.

Wykaz technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, dalej jako „wykaz TLI”, jest opracowywany i publikowany na podstawie art. 40a ust. 2 i 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555 z późn. zm.), określane są w nim także dane gromadzone w rejestrze medycznym, w tym między innymi wskaźniki oceny efektywności terapii, oczekiwane korzyści zdrowotne, populacja docelowa oraz szczegółowe warunki stosowania technologii lekowych umieszczonych w wykazie.

Wykaz TLI jest rozwiązaniem systemowym, którego celem jest wsparcie działań zmierzających do poprawy zdrowia i jakości życia w Polsce. Ścieżka dostępu do tych technologii opiera się przede wszystkim na działaniach podejmowanych przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, dalej jako „Agencja”, która przynajmniej raz w roku przygotowuje dla Ministra Zdrowia wykazu TLI. Agencja ustala poziom innowacyjności oraz warunki tworzenia tego wykazu z uwzględnieniem w szczególności oczekiwanych efektów zdrowotnych, biorąc pod uwagę m.in. siłę interwencji, jakość danych naukowych, niezaspokojoną potrzebę zdrowotną, wielkość populacji docelowej oraz priorytety zdrowotne. Zakres tych danych jest niezwykle istotny ponieważ leki o wysokim poziomie

innowacyjności, które miałyby podlegać finansowaniu, są stosunkowo krótko dostępne na rynku, a to wiąże się z dużą niepewnością wnioskowania. Podkreślić należy, że technologie te skupiają się na chorobach rzadkich i onkologicznych, a utworzenie wykazu TLI, koncentruje się na obiecujących terapiach oferowanych dla tych schorzeń.

Proces tworzenia wykazu TLI składa się z trzech etapów: identyfikacji technologii lekowych do szczegółowej oceny, analizy zgodnie z wiedzą z zakresu HTA oraz przygotowanie i publikacja wykazu TLI. W tym roku w oparciu o przeprowadzoną analizę, zdefiniowano 33 technologie lekowe (substancje czynne stosowane w określonym wskazaniu), które włączono do oceny. Większość z tych technologii 19 (57,58%) to leki ze wskazaniem wyłącznie w chorobach rzadkich natomiast pozostałe 14 (42,42%) to leki ze wskazaniem onkologicznym (11 leków wyłącznie wskazanie onkologiczne, a 3 onkologiczne i rzadkie).

Na podstawie przeprowadzonej oceny technologii medycznych, przeanalizowano i oceniono spełnienie przez poszczególne technologie lekowe następujących kryteriów wynikających z ustawy: istotność schorzenia (lub wskazania szczegółowego), na które składają się: ciężkość skutków choroby i występowanie w Polsce; zaspokojenie potrzeby zdrowotnej - dostępność w Polsce i skuteczność dostępnych technologii lekowych w tym schorzeniu; siła wnioskowanej interwencji, uwzględniając jej skuteczność i bezpieczeństwo (działania niepożądane) w rozpatrywanym wskazaniu; istotność najważniejszego punktu końcowego oraz jakość dostępnych dowodów naukowych. Technologie lekowe zostały wyłonione w etapach, które obejmowały szczegółową ocenę oraz dyskusję poszczególnych technologii lekowych na podstawie przygotowanych opracowań analitycznych Agencji, dyskusję z ekspertami klinicznymi oraz finalną weryfikację, zakończoną utworzeniem wykazu TLI w którym znalazło się ostatecznie 8 z 33 technologii lekowych.

Odnosząc się natomiast do poruszonej w piśmie kwestii uwzględnienia w wykazie tylko 2 terapii stosowanych w onkologii, należy zauważyć, że spośród ocenianych technologii lekowych we wskazaniach onkologicznych, które nie zostały zakwalifikowane dla:

- 9 technologii dostępne były wyłącznie badania jednoramienne, w których ze względu na brak grupy kontrolnej nie dokonano porównania względem istniejących skutecznych opcji terapeutycznych, które są refundowane także w Polsce. W przypadku tych technologii nie udowodniono także wpływu na przeżycie całkowite pacjentów objętych badaniem oraz na przeżycie wolne od progresji. Średni czas obserwacji w pacjentolatach w badaniach wyniósł 280, co stanowi relatywnie krótki czas obserwacji;

- 2 technologii przedstawiono badania porównawcze z grupą kontrolną, ale nie udowodniono, że zastosowanie tych technologii wpływa na przeżycie całkowite pacjentów objętych badaniem oraz na przeżycie wolne od progresji, ani że są lepsze niż istniejące opcje terapeutyczne;
- 1 technologii udowodniono wpływ na przeżycie całkowite, natomiast wniesiono istotne zastrzeżenia metodyczne do badania dotyczące wyboru komparatora, gdyż w badaniu nie przedstawiono porównania względem najskuteczniejszej opcji terapeutycznej dostępnej w leczeniu tej choroby.

Jednocześnie uprzejmie wyjaśniam, że w Biuletynie Informacji Publicznej Agencji obok opublikowanego wykazu TLI znajdują się także opracowania przygotowane w związku z utworzeniem tego wykazu tj. *Zasady tworzenia wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności; Podsumowanie wyników dla technologii lekowych zakwalifikowanych do oceny w ramach opracowania wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności*, a także raporty analityczne dla wszystkich 33 włączonych do oceny technologii (link: <https://bipold.aotm.gov.pl/index.php/tli/8010-wykaz-tli-2023>).

Z wyrazami szacunku,

PREZES

dr n. med. Roman Topór-Mądry

/dokument podpisany elektronicznie/