

Warszawa, 13.04.2021 r.

**ZNAK: OIGWM/74/21**

Sz.P.

**Roman Topór-Mądry**

**Prezes Agencji Oceny Technologii  
Medycznych i Taryfikacji**

Do wiadomości:

Sz.P.

**Dominik Dziurda**

**Dyrektor Wydziału Świadczeń Opieki  
Zdrowotnej Agencji Oceny Technologii  
Medycznych i Taryfikacji**

**Dotyczy:** Stanowisko Izby POLMED do opracowywanych przez AOTMiT Wytycznych HTA dla wyrobów medycznych.

Szanowny Panie Prezesie,

W odpowiedzi na pismo AOTMiT z dnia 30 marca 2021 niniejszym przesyłamy stanowisko Izby POLMED do opracowywanych przez AOTMiT wytycznych HTA dla wyrobów medycznych.

**Przed wszystkim chcielibyśmy podziękować za włączenie naszej Izby w prace nad tym niezwykle ważnym dla nas dokumentem. Doceniamy Państwa otwartość oraz zrozumienie istotnych różnic pomiędzy wyrobami medycznymi a produktami leczniczymi.**

**Ze względu na to, że wiele zgłoszonych przez Izbę uwag nie zostało uwzględnionych w ostatecznej wersji dokumentu, Izba POLMED nie akceptuje wytycznych HTA dla wyrobów medycznych w takim brzmieniu. Jednak z przyjemnością zaakceptujemy dokument pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w poniższym piśmie.**

Uzasadnienie:

W toku prac nad wytycznymi POLMED wielokrotnie zwracał uwagę na nieakceptowalne zapisy znajdujące się w wytycznych, które są niezgodne z ustawą refundacyjną, minimalnymi wymaganiami stawianymi analizom HTA oraz niezgodne z obowiązującą międzynarodową praktyką i wytycznymi przeprowadzania oceny technologii medycznych.

Niestety AOTMiT w toku prac nad wytycznymi przychyliła się do niewielu naszych uwag, większość z nich przekazanych pismem z dnia 26 stycznia 2021 roku, nie została uwzględniona w ostatecznej wersji wytycznych HTA dla wyrobów medycznych. Uprzejmie informujemy, że podtrzymujemy nasze uwagi z pisma z dnia 26 stycznia 2021 roku i uważamy, że powinny być one uwzględnione w ostatecznej wersji wytycznych HTA dla wyrobów medycznych.

Poniżej prezentujemy najistotniejsze zapisy, które w naszej opinii nie pozwalają na pozytywne stanowisko Izby POLMED w odniesieniu do ostatecznej wersji wytycznych HTA dla wyrobów medycznych.

1. Izba POLMED popiera włączenie analizy efektów pozaklinicznych. Jednak ze względu na brak definicji efektów pozaklinicznych i różnorodność takich efektów wnosimy o uproszczenie metodyki tej analizy. Aktualnie ta metodyka jest praktycznie tożsama z metodyką analizy efektów klinicznych, co znacząco zwiększa pracochłonność oceny tych efektów.
2. W analizie ekonomicznej wprowadzona jest perspektywa pacjenta, która nie jest uzasadniona zapisami ustawy refundacyjnej. Perspektywa pacjenta nie jest stosowana w kontekście oceny efektywności kosztowej w piśmiennictwie. Proponujemy wprowadzenie tej perspektywy jako opcjonalnej.
3. Zapisy dotyczące horyzontu analizy ekonomicznej są niespójne i w nieuzasadniony sposób różnicują wyroby i leki, na niekorzyść tych pierwszych. Proponujemy usunięcie zapisu: *„Ze względu na szybki rozwój technologii wyrobów medycznych nie zaleca się stosowania horyzontu czasowego dłuższego niż 20 lat”*. Jest on niespójny z poprzedzającym go fragmentem: *„W przypadku technologii medycznych, których wyniki lub koszty różniące ujawniają się w ciągu całego życia chorego, horyzont czasowy powinien być dożywotni (np. interwencja jednorazowa dająca długotrwały efekt).”*
4. Proponujemy usunięcie zapisu: *„Stosowanie tej metodologii ma jednak dużo ograniczeń i niewłaściwe zastosowanie i interpretowanie wyników może być źródłem dezinformacji.”* w rozdziale dotyczącym analizy ekonomicznej. W sposób nieuzasadniony i niezgodny z ustawą refundacyjną umniejsza się wartość analizy efektywności i użyteczności kosztów.
5. W sposób niezgodny z definicją analizy wydajności kosztów, sprowadza się tę analizę do analizy zużycia zasobów, co sprawia, że wykonywanie tego typu analizy traci sens. Analiza wydajności kosztów wprowadza również pojęcie rentowności, które nie jest stosowane w analizach farmakoekonomicznych.
6. Proponujemy usunięcie zdania: *„Zaleca się odstąpić od modelowania w ramach CUA, jeżeli dla wyników analizy klinicznej w zakresie kluczowych danych wejściowych modelu nie wykazano istotności statystycznej różnic w zakresie efektywności klinicznej lub efektów poza zdrowotnych.”*. Zdanie to w sposób niezasadny ogranicza modelowanie w analizach do efektów, które wykazują w badaniach istotne statystycznie różnice w stosunku do technologii opcjonalnych.
7. Wprowadza się do analizy ekonomicznej założenia, które stoją w sprzeczności z praktyką oraz uznaną na świecie metodyką takich analiz (m.in. modelowanie wszystkich parametrów, analiza elastyczności). Proponujemy usunięcie zdań: *„W przypadku podjęcia decyzji o modelowaniu wyników nieistotnych statystycznie, należy do modelu włączyć wszystkie wyniki.”* oraz *„Badanie elastyczności polega na badaniu zmiany wpływu parametrów wejściowych do modelu na wynik końcowy. Zakłada się 1-procentową zmianę każdego parametru wejściowego, badając o ile procent zmieni się wynik końcowy.”*
8. Proponujemy zamianę fragmentu: *„wskazanie stosunku kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotychczas refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, w porównaniu z wnioskowanym.”* na *„wskazanie wartości inkrementalnego współczynnika efektywności lub użyteczności kosztów (ICER lub ICUR)”*. Obecny zapis utrwała w sposób niezgodny z wiedzą farmakoekonomiczną pojęcia CUR i CER, oraz nie znajduje uzasadnienia w ustawie refundacyjnej.
9. W analizie wpływu na budżet nie doprecyzowuje się zakresu analizy w perspektywy pacjenta, która może ograniczać się jedynie do jednostkowej analizy dopłat. Szczegóły uwagi w załączniku do pisma.
10. W analizie wpływu na budżet wprowadza się dodatkową, nieusankcjonowaną ustawą refundacyjną i metodyką analiz wpływu na budżet, analizę ceny progowej. Proponujemy usunięcie zapisu: *„W ramach analizy wrażliwości powinno się oszacować cenę, przy której wydatki budżetu nie wzrosną (analiza progowa).”*

**Uprzejmie informujemy, że powyżej wymienione kluczowe elementy, a także szereg innych zapisów, na które zwracano uwagę w toku prac, uniemożliwiają Izbie POLMED pozytywne odniesienie się do zaproponowanej ostatecznej wersji wytycznych HTA dla wyrobów medycznych. W związku z powyższym ponownie wysyłamy propozycję zmian (tą która była przekazywana Państwu w styczniu).**

Z wyrazami szacunku,

W imieniu Izby POLMED:

---

**Arkadiusz Grądkowski**

Dyrektor Generalny

Załączniki:

1) Propozycja zmian poszczególnych zapisów wytycznych (zgłaszana również w styczniu, numeracja stron i wierszy zachowana dla wersji wytycznych ze stycznia)

## Propozycja zmian do poszczególnych zapisów wytycznych

### Rozdział 1 – Informacje wstępne- uwaga nieuwzględniona

Jest:

*Celem niniejszych wytycznych jest wskazanie zasad i akceptowalnych metod przeprowadzania procesu HTA w zakresie wyrobów medycznych, zapewniających wysoką jakość analiz i wiarygodność ich wyników.*

*Wytyczne odnoszą się do wyrobów medycznych wnioskowanych do objęcia statusem świadczenia gwarantowanego określonego w art. 15 ust. 2 pkt. 14 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. 2020 poz. 1398 z późn. zm.), a procedowanych zgodnie z art. 25 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2020 poz. 357 z późn. zm.) oraz spełniających łącznie poniższe kryteria:*

- a) są produkowane seryjnie;*
- b) ich zastosowanie jest adresowane do indywidualnego pacjenta;*
- c) są w istotnym zakresie lepsze niż wyroby aktualnie objęte finansowaniem ze środków publicznych, przy czym obowiązek wykazania postulowanej przewagi jest po stronie wnioskodawcy;*
- d) stanowią grupę wyrobów medycznych terapeutycznych lub stosowanych w profilaktyce (nie stanowią wyrobów stosowanych w diagnostyce).*

Propozycja zmiany:

Celem niniejszych wytycznych jest wskazanie zasad i akceptowalnych metod przeprowadzania procesu HTA w zakresie wyrobów medycznych, zapewniających wysoką jakość analiz i wiarygodność ich wyników.

Wytyczne odnoszą się do wyrobów medycznych wnioskowanych do objęcia statusem świadczenia gwarantowanego określonego w art. 15 ust. 2 pkt 14 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. 2020 poz. 1398 z późn. zm.), a procedowanych zgodnie z art. 25 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2020 poz. 357 z późn. zm.) oraz spełniających łącznie poniższe kryteria:

- a) są produkowane seryjnie;
- b) ich zastosowanie jest adresowane do indywidualnego pacjenta;
- c) są w istotnym zakresie lepsze niż wyroby aktualnie objęte finansowaniem ze środków publicznych [PRZYPIIS\*], ~~przy czym obowiązek wykazania postulowanej przewagi jest po stronie wnioskodawcy;~~
- d) stanowią grupę wyrobów medycznych terapeutycznych lub stosowanych w profilaktyce (nie stanowią wyrobów stosowanych w diagnostyce).

PRZYPIIS\* Nie dotyczy wyrobów, które były wcześniej refundowane, lokalizowanych w innej grupie limitowej, jeżeli zmiana nie wiąże się z różnicą w deklarowanych korzyściach zdrowotnych, wskazaniach ani poziomie odpłatności.

#### **Rozdział 4 - uwaga nieuwzględniona**

Proponujemy uprościć metodykę.

Uzasadnienie: przypisywanie metodyki analizy klinicznej dla efektów poza klinicznych (np. zużycia prądu)

#### **Str. 44, wiersz 19-20 - uwaga nieuwzględniona**

Jest: *Analizę należy wykonać z perspektyw płatnika publicznego i pacjenta , a także z perspektywy wspólnej.*

Propozycja zmiany: *Analizę należy wykonać z perspektyw płatnika publicznego i z perspektywy wspólnej: płatnika publicznego i pacjenta.*

Uzasadnienie: analiza z perspektywy pacjenta (jako płatnika) nic nie wnosi do analizy w kontekście wymogów ustawy refundacyjnej.

#### **Str. 45, wiersz 6-7 - uwaga nieuwzględniona**

Jest: *Ze względu na szybki rozwój technologii wyrobów medycznych nie zaleca się stosowania horyzontu czasowego dłuższego niż 20 lat.*

Propozycja zmiany: *wykasować*

Uzasadnienie: stoi w sprzeczności z zapisem wcześniejszym: „W przypadku technologii medycznych, których wyniki lub koszty różniące ujawniają się w ciągu całego życia chorego, horyzont czasowy powinien być dożywotni (np. interwencja jednorazowa dająca długotrwały efekt)”.

#### **Str. 46, wiersz 18-19 - uwaga nieuwzględniona**

Jest: *Stosowanie tej metodologii ma jednak dużo ograniczeń i niewłaściwe zastosowanie i interpretowanie wyników może być źródłem dezinformacji.*

Propozycja zmiany: *wykasować*

Uzasadnienie: Stwierdzenie nieprawdziwe, nieuzasadnione piśmiennictwem (brak referencji) i nic nie wnoszące do wytycznych. Szczególnie, że jest to metodologia wymagana przez ustawę.

#### **Str. 46, wiersz 41 do str. 47 wiersz 2 - uwaga nieuwzględniona**

Jest: *Ze względu na ograniczenie wiarygodności oszacowań korzyści zdrowotnych wyrażonych*

w jednostkach monetarnych (ang. Willingness to Pay, WTP) nie zaleca się szacowania wartości korzyści zdrowotnych w ramach analizy wydajności kosztów.

Propozycja zmiany: *wykasować*

Uzasadnienie: Zalecenie wypaczające sens analizy wydajności kosztów, nieuzasadnione piśmiennictwem (*brak referencji*).

#### **Str. 47. Wiersz 5-7. – uwaga częściowo uwzględniona**

Jest: *Założenia analizy użyteczności kosztów uniemożliwiają wykazanie uzasadnienia nowej technologii ze względu na opłacalność, która może być jednym z kryteriów wprowadzania nowych technologii.*

Propozycja zmiany: *wykasować*

Uzasadnienie: *Opłacalność jest pojęciem względnym. W przypadku zdrowia analiza efektywności kosztów (czy też użyteczności kosztów) wskazuje cenę progową, która z kolei jest odpowiedzią na pytanie o opłacalność technologii w kontekście uzyskiwanych efektów zdrowotnych. Ten typ opłacalności (efektywności kosztów) jest preferowany i obowiązujący w analizach HTA przygotowywanych w związku z refundacją. Wprowadzanie dodatkowego kryterium opłacalności wiąże się z koniecznością zmiany ustawy.*

#### **Str. 48, wiersz 5-8 - uwaga nieuwzględniona**

Jest: *Jeżeli wyrób medyczny jest stosowany w tych samych wskazaniach lub przeznaczeniach, w których są refundowane inne wyroby oraz wykazuje podobną skuteczność, jest kwalifikowany do tej samej grupy limitowej. W takich sytuacjach analizy HTA nie są wymagane.*

Propozycja zmiany: *wykasować (tylko w przypadku akceptacji zmiany proponowanej przez POLMED w Informacjach wstępnych).*

#### **Str. 49, wiersz 1-4 - uwaga nieuwzględniona**

Jest: *Zaleca się odstąpić od modelowania w ramach CUA, jeżeli dla wyników analizy klinicznej w zakresie kluczowych danych wejściowych modelu nie wykazano istotności statystycznej różnic w zakresie efektywności klinicznej lub efektów poza zdrowotnych.*

Propozycja zmiany: *wykasować*

Uzasadnienie: *To sprzeczne z zaleceniami ISPOR (Weinstein MC, O'Brien B, Hornberger J, et al. Principles of good practice for decision analytic modeling in health-care evaluation: report of the ISPOR Task Force on Good Research Practices--Modeling Studies. Value Health. 2003;6(1):9-17. doi:10.1046/j.1524-4733.2003.00234.x). Przykład: czy należy odstąpić od modelowania jeśli OR dla odpowiedzi na leczenie = 0,3 a 95% przedział ufności to 0,1-1,1? Jeśli jest efekt numerycznie korzystny dla ocenianej technologii, to fakt braku istotności statystycznej nie wyklucza możliwości modelowania, szczególnie że niepewność tego modelowania jest testowana i uwzględniona w ramach analizy probabilistycznej.*

#### **Str. 49, wiersz 4-5 - uwaga nieuwzględniona**

Jest: *W przypadku podjęcia decyzji o modelowaniu wyników nieistotnych statystycznie, należy do modelu włączyć wszystkie wyniki.*

Propozycja zmiany: *wykasować*

Uzasadnienie: *Jest to najczęściej niemożliwe technicznie. Brak uzasadnienia w piśmiennictwie do takiego podejścia. Pozostaje to w sprzeczności z wcześniejszym zdaniem: „Zaleca się, aby model był możliwie prosty i przejrzysty, umożliwiając jednak wiarygodne oszacowanie parametrów mających na celu wspieranie procesu podejmowania decyzji”.*

**Str. 53, wiersz 21-23 - uwaga nieuwzględniona**

Jest: *Badanie elastyczności polega na badaniu zmiany wpływu parametrów wejściowych do modelu na wynik końcowy. Zakłada się 1-procentową zmianę każdego parametru wejściowego, badając o ile procent zmieni się wynik końcowy.*

Propozycja zmiany: *wykasować*

Uzasadnienie: *Brak uzasadnienia w piśmiennictwie do takiego podejścia. Interpretacja takiej analizy jest niewiarygodna (np. w przypadku parametru, którego pewność oszacowania jest wysoka (np. +/- 5%), zmiana o 1% waży znacznie bardziej niż w przypadku parametru, którego pewność oszacowania jest niska (np. 50%). Tym samym nie można porównywać wiarygodnie wpływu zmian względnych parametrów.*

**Str. 56, wiersz 16-18 - uwaga nieuwzględniona**

Jest: *wskazanie stosunku kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotychczas refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, w porównaniu z wnioskowanym,*

Propozycja zmiany: *wskazanie wartości inkrementalnego współczynnika efektywności lub użyteczności kosztów (ICER lub ICUR)*

Uzasadnienie: *W ustawie refundacyjnej zapis jest nieprecyzyjny i sugeruje (co znajduje odzwierciedlenie w minimalnych wymaganiach) konieczność szacowania wskaźnika CER lub CUR, które z punktu widzenia farmakoekonomii są wskaźnikami niezalecanymi. Powtarzanie tych zapisów w wytycznych utrwala tą błędną praktykę.*

**Str. 57, wiersz 16-17 - uwaga nieuwzględniona.**

Jest: *Zalecane jest wykonanie dodatkowo analizy z perspektywy pacjenta.*

Propozycja zmiany: *Zalecane jest wykonanie dodatkowo analizy z perspektywy pacjenta w postaci analizy dopłat pacjenta przed i po refundacji wnioskowanego wyrobu.*

*Ewentualnie do rozważenie usunięcie całości informacji o innym budżecie niż płatnika publicznego (co*

gwarantuje zgodność z minimalnymi wymaganiami, które w tym zakresie są precyzyjne i właściwie skonstruowane).

Uzasadnienie: *Doprecyzowanie co rozumiemy pod pojęciem perspektywy pacjenta i zwrócenie uwagi że perspektywa pacjenta może odnosić się jedynie do analizy dopłat (nie istnieje pojęcie budżetu pacjentów a budżet pacjenta jest tworem czysto teoretycznym, ponieważ nie znamy budżetów pojedynczych pacjentów).*

**Str. 60, wiersz 27-29 - uwaga nieuwzględniona**

Jest: *W ramach analizy wrażliwości powinno się oszacować cenę, przy której wydatki budżetu nie wzrosną (analiza progowa).*

Propozycja zmiany: *wykasować*

Uzasadnienie: *Do analizy HTA wprowadza się dwa jednobrzmiące pojęcia ceny progowej o całkowicie innej interpretacji. Ta w analizie ekonomicznej wynika z wymogów ustawy refundacyjnej. Ta szacowana w analizie wpływu na budżet ma wskazać, jaki poziom ceny wnioskowanej technologii nie zmieni wydatków płatnika publicznego. Zwracamy uwagę, że ten koncept nie ma umocowania w kryteriach refundacyjnych zdefiniowanych w ustawie refundacyjnej. Dodatkowo, analiza wpływu na budżet jest analizą przepływów finansowych a proponowane rozwiązanie jest zbliżone lub jednoznaczne z analizą minimalizacji kosztów. Celem analizy wpływu na budżet jest określenie konsekwencji finansowych wprowadzenia, zaprzestania refundacji lub innej zmiany warunków finansowania ocenianej technologii medycznej w polskim systemie opieki zdrowotnej. Proponowana analiza progowa nie wpisuje się w tak zdefiniowany cel. W skrajnych przypadkach (np. w przypadku braku technologii opcjonalnych i porównaniu z placebo), cena progowa może przyjąć wartości zerowe (lub ujemne w przypadku wydłużenia przeżycia, czasu opieki, etc.).*

**Aneks 4 i 5 – uwaga uwzględniona**

*Proponujemy usunąć. Szczególnie aneks 5 wprowadza nieznanne w piśmiennictwie pojęcia, które nie mają uzasadnienia merytorycznego.*