MATERIAŁY DODATKOWE

„SYSTEM FINANSOWANIA ZE ŚRODKÓW PUBLICZNYCH INNOWACYJNYCH WYROBÓW MEDYCZNYCH – OCENA I KIERUNKI ZMIAN”

RAPORT AGENCJI OCENY TECHNOLOGII MEDYCZNYCH I TARYFIKACJI

Warszawa, 01.08.2025 r.

Wykaz skrótów

AAC	Współpraca w Przyspieszonym Dostępie (ang. *Accelerated Access Collaborative*)
AI	Sztuczna Inteligencja (ang. *Artificial Intelligence*)
AIMDD	Dyrektywa w sprawie zbliżenia ustawodawstw państw członkowskich odnoszących się do wyrobów medycznych aktywnego osadzania (90/385/EWG) (ang. *Active Implantable Medical Devices Directive*)
AOTM/AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
AWA	Analiza weryfikacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
BfArM	Federalny Instytut Leków i Urządzeń Medycznych (niem. *Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte*)
BIP	Biuletyn Informacji Publicznej
BPMN	Notacja Modelowania Procesów Biznesowych (ang. *Business Process Modeling Notation*)
CE	Zgodność Europejska (fr. *Conformité Européenne*)
CED	Refundowanie za rozwój dowodów naukowych (ang. *coverage with evidence development*)
CMS	Centra Usług Medicare i Medicaid (ang. *Centers for Medicare and Medicaid Services*)
CNEDiMTS	Krajowy Komitet Oceny Wyrobów Medycznych i Technologii Medycznych (fr. *Comité National d'Évaluation des Dispositifs Médicaux et des Technologies de Santé*)
CPAF	Narodowa Komisja ds. Świadczeń, Ubezpieczeń i Finansowania
CTIIMH	Komitet ds. Refundacji Implantów i Inwazyjnych Urządzeń Medycznych (ang. *Commission for Transparency on Implants and Invasive and Human Material*)
DGPSPh	Dyrekcja Generalna wspólnego portfela usług Narodowego Systemu Zdrowia i Farmacji
DHT	Cyfrowe technologie zdrowotne (ang. *Digital Health Technologies*)
DiGA	Cyfrowe Aplikacje Zdrowotne (niem. *Digitale Gesundheitsanwendungen*)
DiHA	Cyfrowe Aplikacje Zdrowotne (ang. *Digital health applications*)
DTx	Terapie cyfrowe (ang. *Digital Therapeutics*)
EBM	Medycyna Oparta na Dowodach (ang. *Evidence-based Medicine*)
EMA	Europejska Agencja Leków (ang. *European Medicines Agency*)
ENISA	Europejska Agencja ds. Cyberbezpieczeństwa (ang. *European Union Agency for Cybersecurity*)
EUDAMED	Europejska baza danych wyrobów medycznych
EUSurvey	Narzędzie Komisji Europejskiej do zarządzania ankietami
FDA	Amerykańska Agencja ds. Żywności i Leków (ang. *US Food and Drug Administration*)
HaDEA	Agencja wykonawcza Komisji Europejskiej
HAS	Francuski Narodowy Urząd ds. Zdrowia (agencja oceny technologii medycznych, fr. *Haute Autorité de Santé*)
HTA	Ocena technologii medycznych (ang. *health technology assessment*)
HTA CG	Grupa koordynacyjna HTA (ang. *HTA Coordination Group*)
HTD	Podmioty opracowujące wyroby medyczne i wyroby medyczne do diagnostyki *in vitro* (ang. *Health Technology Developers*)
IDAP	Ścieżka dostępu dla innowacyjnych urządzeń (ang. *Innovation Device Access Pathway*)
ID NOW	Szybki system do jakościowego wykrywania chorób zakaźnych
IF	Finansowanie innowacji (ang. *Innovation Funding*)
IHTAT	Ścieżka oceny innowacyjnych technologii medycznych (ang. *Innovative Health Technology Assessment Track*)
IOWISZ	Instrument Oceny Wniosków Inwestycyjnych w Sektorze Zdrowia
IVD	Wyroby medyczne do diagnostyki in vitro (ang. *in vitro diagnostics*)
IVDR	Europejskie rozporządzenie dla wyrobów medycznych in vitro

IWM	Innowacyjny wyrób medyczny
LATM	Lista działań z zakresu telemonitoringu medycznego (fr. *Listes des Activités de Télésurveillance Médicale*)
LPPR	Lista produktów i usług podlegających zwrotowi (fr. *Liste Des Produits Et Prestations Remboursables*)
LPRR	Lista produktów i usług podlegających refundacji
LSz	Leczenie szpitalne
LVAD	Urządzenie wspomagające lewą komorę serca (ang. *Left Ventricular Assist Devices*)
MDD	Dyrektywa dotycząca wyrobów medycznych (93/42/EWG) (ang. *Medical Devices Directive*)
MDR	Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2017/745 z dnia 5 kwietnia 2017 r. w sprawie wyrobów medycznych (ang. *Medical Devices Regulation*)
MZ	Ministerstwo Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NHS	Narodowa Służba Zdrowia w Wielkiej Brytanii (ang. *National Health Service*)
NHSX	Jednostka ds. technologii, danych i cyfryzacji NHS
NICE	Agencja oceny technologii medycznych w Wielkiej Brytanii (ang. *National Institute for Health and Care Excellence*)
NIHR	National Institute for Health Research (ang. *Narodowy Instytut Badań nad Zdrowiem*)
NIS	Dyrektywa w sprawie bezpieczeństwa sieci i systemów informatycznych (ang. *Network and Information Systems Directive*)
PECAN	Przejściowe finansowanie dedykowane cyfrowym aplikacjom zdrowotnym (fr. *Prise en Charge Anticipée Numérique*)
PECT	Tymczasowa Opieka (fr. *Prise en Charge Transitoire*)
PFRON	Państwowy Fundusz Rehabilitacji Osób Niepełnosprawnych
PICOS	Populacja, Interwencja, Komparator, Punkty końcowe, Badania (ang. *Population, Intervention, Comparison, Outcome, Study design*)
PPZ	Program polityki zdrowotnej
PRM	Personalne Rejestry Medyczne (ang. *Personal Medical Records*)
QALY	Rok życia skorygowany o jakość (ang. *quality-adjusted life year*)
RCT	Randomizowane badanie kontrolowane (ang. *Randomized Controlled Trial*)
R&D	Działania badawczo-rozwojowe (ang. *Research and Development*)
RedETS	Hiszpańska Sieć Oceny Technologii Medycznych i Usług Narodowego Systemu Zdrowia
RIZIV	Belgijska Organizacja Weryfikacji Leków
RODO	Rozporządzenie o Ochronie Danych Osobowych
RWE	Dowody z rzeczywistego świata, rzeczywistej praktyki klinicznej (ang. *Real-World Evidence*)
RWD	Dane rzeczywiste (ang. *Real-World Data*)
SaMD	Oprogramowanie jako wyrób medyczny (ang. *Software as a Medical Device*)
SD	Odchylenie Standardowe (ang. *Standard Deviation*)
SiMD	Oprogramowanie w wyrobie medycznym (ang. *Software in a Medical Device*)
SLR	Przegląd systematyczny (ang. *systematic review*)
SOLR	System Obsługi List Refundacyjnych
SWD	Świadczeniodawca
TLI	Technologie lekowe o wysokim poziomie innowacyjności
UE	Unia Europejska
UR	Ustawa o refundacji
URPL	Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych
WM	Wyrób medyczny
WS	Wydział Świadczeń Opieki Zdrowotnej AOTMiT

Spis treści

1. Aktualny system finansowania wyrobów medycznych w Polsce ... 7
1.1. Uwarunkowania prawne ... 7
1.2. Ścieżki dostępu do wyrobów medycznych w Polsce ... 11
1.3. Finansowanie badań klinicznych innowacyjnych wyrobów medycznych w Polsce ... 16
1.4. Rola Agencji Oceny Technologii Medycznej i Taryfikacji w ocenie wyrobów medycznych ... 17
2. Opinie interesariuszy na temat innowacyjnych wyrobów medycznych ... 20
2.1. Metodyka ... 20
2.2. Struktura ankiety ... 20
2.3. Wyniki ankiety ... 20
2.3.1. Informacje ogólne ... 21
2.3.2. Ocena potrzeby wprowadzenia nowego procesu administracyjnego objęcia innowacyjnych wyrobów medycznych refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych ... 21
2.3.3. Aktualne procesy administracyjne dotyczące objęcia wyrobów medycznych refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych ... 25
2.4. Podsumowanie ... 30
3. Dowody naukowe dotyczące oceny klinicznej wyrobów medycznych ... 32
3.1. Wyszukiwanie systematyczne ... 32
3.2. Uzupełniające wyszukiwanie wolnotekstowe ... 35
3.3. Podsumowanie ... 36
3.4. Kluczowe wnioski ... 39
4. Dowody naukowe dotyczące procesów refundacji ... 40
4.1. Wyszukiwanie systematyczne ... 40
4.2. Charakterystyka publikacji włączonych do przeglądu ... 40
4.3. Wyniki ... 41
4.3.1. Innowacyjne wyroby medyczne ... 41
4.3.2. Cyfrowe technologie medyczne ... 46
4.3.3. Mechanizmy finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych, w tym cyfrowych ... 51
4.3.4. Ograniczenia ... 51
4.4. Podsumowanie ... 52
5. Modele refundacji w wybranych krajach ... 54
5.1. Niemcy ... 54
5.1.1. Nowe metody badania i leczenia (NUB) ... 55
5.1.2. Aplikacje e-Health (DiGA) ... 56
5.2. Wielka Brytania ... 61
5.2.1. Ocena technologii medycznych ... 62
5.2.2. Cyfrowe wyroby medyczne ... 62
5.2.3. Finansowanie nowych technologii ... 63

5.3. Francja ... 64
5.3.1. Program finansowania innowacji (FI) ... 66
5.3.2. Finansowanie przejściowe (PECT) ... 68
5.3.3. Finansowanie przejściowe aplikacji cyfrowych w ochronie zdrowia (PECAN) ... 70
5.4. Belgia ... 70
5.4.1. Czasowa refundacja innowacyjnych wyrobów medycznych (ACL) ... 71
5.4.2. Refundacja aplikacji cyfrowych ... 71
5.4.3. Tymczasowy zwrot kosztów aplikacji cyfrowych ... 72
5.5. Hiszpania ... 73
5.5.1. Badania monitorujące ... 73
5.6. Finlandia ... 74
5.6.1. Digi- HTA – model oceny cyfrowych technologii medycznych w ochronie zdrowia ... 75
5.6.2. Refundacji terapii cyfrowych – program pilotażowy ... 76
5.6.3. Program Hyteario ... 77
5.6.4. Technologie wspierające inteligentne starzenie się i opiekę domową (KATI) ... 77
5.7. Zestawienie informacji dotyczących finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych (w tym cyfrowych) w wybranych krajach ... 78
5.7.1. Podsumowanie ... 83
5.7.2. Kluczowe wnioski z przeglądu rozwiązań zagranicznych ... 84
6. Metody identyfikacji innowacyjnych wyrobów medycznych, w tym cyfrowych ... 85
7. Bibliografia ... 87
8. Spis tabel ... 93
9. Spis rysunków ... 94
10. Załączniki do „Materiałów dodatkowych” ... 95
10.1. Ankieta ... 95
10.2. Materiały w zakresie dowodów naukowych dotyczących procesów refundacyjnych ... 99
10.2.1. Strategia wyszukiwania badań ... 99
10.2.2. Diagram selekcji badań ... 101
10.2.3. Publikacje włączone do przeglądu systematycznego ... 102
10.3. Materiały w zakresie dowodów naukowych dotyczących oceny klinicznej wyrobów medycznych ... 104
10.3.1. Strategie wyszukiwania badań ... 104
10.3.2. Diagram selekcji badań ... 105
10.3.3. Wyniki przeglądu systematycznego ... 105
10.3.4. Wyniki wyszukiwania uzupełniającego ... 118
10.3.5. Regulacje zagranicznych instytucji rządowych i agencji HTA w zakresie oceny klinicznej wyrobów medycznych ... 122
10.3.6. Ograniczenia w ocenie klinicznej wyrobów medycznych ... 140
10.4. Charakterystyka ścieżek dostępu do wyrobów medycznych w Polsce ... 144
10.4.1. Ścieżka 1: Proces objęcia wyrobu medycznego refundacją w ramach refundacji aptecznej ... 144
10.4.2. Ścieżka 2: Proces objęcia wyrobu medycznego refundacją w ramach zlecenia ... 147

10.4.3. Ścieżka 3: Proces kwalifikacji świadczenia jako świadczenia gwarantowanego (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego) 148

10.4.4. Ścieżka 4: Proces zmiany technologii medycznej finansowanej ze środków publicznych (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego) 149

10.4.5. Ścieżka 5: Proces usunięcia świadczenia (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego) z wykazu świadczeń gwarantowanych 151

10.4.6. Ścieżka 6: Proces objęcia finansowaniem ze środków publicznych pilotażu (z zastosowaniem wyrobu medycznego) 151

10.4.7. Ścieżka 7: Proces objęcia finansowaniem ze środków publicznych programów polityki zdrowotnej (z zastosowaniem wyrobu medycznego) 153

10.5. Charakterystyka ścieżki dostępu do innowacyjnych technologii lekowych w Polsce 156

1. Aktualny system finansowania wyrobów medycznych w Polsce

1.1. Uwarunkowania prawne

Wprowadzenie wyrobu medycznego na rynek w Polsce wymaga spełnienia wymogów określonych w przepisach prawa unijnego i krajowego. Wyrób medyczny musi być zgodny z następującymi regulacjami prawnymi:

- Prawo unijne:
  1) Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2017/745 z dnia 5 kwietnia 2017 r. w sprawie wyrobów medycznych[1], w skrócie: **Rozporządzenie MDR (UE) 2017/745 – dla wyrobów medycznych**. Rozporządzenie to zastąpiło istniejące wcześniej akty prawne: dyrektywę dotyczącą wyrobów medycznych (93/42/EWG) (MDD) oraz dyrektywę w sprawie zbliżenia ustawodawstw państw członkowskich odnoszących się do wyrobów medycznych aktywnego osadzania (90/385/EWG) (AIMDD);
  2) Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2017/746 z dnia 5 kwietnia 2017 r. w sprawie wyrobów medycznych do diagnostyki *in vitro* oraz uchylenia dyrektywy 98/79/WE i decyzji Komisji 2010/227/UE, w skrócie: **Rozporządzenie IVDR (UE) 2017/746 – dla wyrobów medycznych in vitro**.
- Polskie krajowe:
  3) **Ustawa o wyrobach medycznych z dnia 7 kwietnia 2022 r. (Dz.U. z 2024 poz. 1620)**; polski akt prawny dostosowujący przepisy europejskie (Rozporządzenie MDR) do regulacji krajowych. Ustawa określa, m.in. obowiązki podmiotów gospodarczych, instytucji zdrowia publicznego, podmiotów wykonujących działalność leczniczą, osób wykonujących zawody medyczne oraz innych podmiotów, uprawnienia, obowiązki i zadania organów, a także zasady i tryb prowadzenia badania klinicznego wyrobu medycznego i badania działania wyrobu medycznego do diagnostyki *in vitro*;
  4) **Ustawa z dnia 18 marca 2011 r. o Urzędzie Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (Dz. U. z 2023 r., poz. 1223, z późn. zm.)**; URPL zgodnie z ustawą jest centralnym organem administracyjnym i sprawującym nadzór nad wyrobami medycznymi. Do zadań Prezesa URPL należy, m.in. nadzór nad wyrobami medycznymi, wyposażeniem wyrobów medycznych, systemami i zestawami zabiegowymi, w tym ich badaniami klinicznymi, bezpieczeństwem i wprowadzaniem do obrotu i do używania oraz nadzór nad nimi w zakresie rozporządzenia MDR;
  5) **Rozporządzenia wykonawcze Ministra Zdrowia**, w tym, m.in. Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 5 listopada 2010 r. w sprawie sposobu klasyfikowania wyrobów medycznych (Dz. U. z 2010 r., Nr 215, poz.1416).

Ocena zgodności, oznakowanie CE, ocena kliniczna

W Rozporządzeniu MDR (UE) 2017/745 określono definicje związane z certyfikacją wyrobów medycznych. „Oznakowanie zgodności CE" lub „oznakowanie CE" – oznacza oznakowanie, za pomocą którego producent wskazuje, że wyrób spełnia odpowiednie wymogi określone w Rozporządzeniu MDR i w pozostałych odpowiednich przepisach UE z zakresu harmonizacji przewidujących umieszczanie tego oznakowania.

Rozporządzenie określa również listę dokumentów podlegających ocenie w procesie certyfikacji wyrobów medycznych, która obejmuje:

- **dokumentację systemową** (odnoszącą się, m.in. do systemu zarządzania jakością, stosowanego przez producenta systemu nadzoru po wprowadzeniu do obrotu, planu oceny klinicznej, ogólnych wymogów dotyczących bezpieczeństwa),

[1] *Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2017/745 z dnia 5 kwietnia 2017 r. w sprawie wyrobów medycznych, zmiany dyrektywy 2001/83/WE, rozporządzenia (WE) nr 178/2002 i rozporządzenia (WE) nr 1223/2009 oraz uchylenia dyrektyw Rady 90/385/EWG i 93/42/EWG*

- **dokumentację techniczną** (odnoszącą się, m.in. do opisu wyrobu, w tym jego przewidziane zastosowanie i przewidziani użytkownicy, przewidziana populacja pacjentów oraz schorzenia, które mają zostać zdiagnozowane, być leczone lub monitorowane, kryteria doboru pacjentów, wskazania, przeciwwskazania, ostrzeżenia, zasady obsługi, klasa ryzyka wyrobu, instrukcje używania, ogólne wymogi dotyczące bezpieczeństwa i działania, wyniki badań, informacje dotyczące projektu badania, protokołów testów lub badania, metod analizy danych, w tym w szczególności dotyczące bezpieczeństwa elektrycznego i kompatybilności elektromagnetycznej, walidacji oprogramowania, podsumowanie wyników weryfikacji, walidacji i badań przeprowadzonych zarówno w zakładzie, jak i w symulowanych warunkach stosowania lub faktycznym środowisku użytkownika, przed ostatecznym wydaniem oprogramowania).

Nowe przepisy zaostrzają dotychczasowo obowiązujące regulacje prawne w zakresie badań klinicznych. Rozporządzenie MDR doprecyzowuje, w jaki sposób projektuje się, dopuszcza, prowadzi, rejestruje te badania, a także powiadamia oraz sprawozdaje w ich zakresie (patrz podrozdział 2.2.).

Regulacje dotyczące cyfrowych wyrobów medycznych i technologii medycznych

Poniżej wskazano kluczowe akty prawne regulujące obszar cyfrowych wyrobów medycznych i technologii medycznych, mających zastosowanie w warunkach polskich.

Tabela 1. Kluczowe regulacje dotyczące cyfrowych wyrobów medycznych i technologii medycznych

Lp.	Nazwa aktu prawnego	Opis	Data wejścia w życie / obowiązywania
1.	**Ustawa z dnia 5 lipca 2018 r. o krajowym systemie cyberbezpieczeństwa (KSC)** (Dz. U. z 2024 r. poz. 1077)	Regulacja ustanawia ramy prawne i organizacyjne mające na celu zapewnienie wysokiego poziomu cyberbezpieczeństwa w Polsce. Wdraża Dyrektywę NIS (*Network and Information Systems Directive*), która zobowiązuje państwa członkowskie UE do wzmocnienia ochrony systemów informatycznych kluczowych dla gospodarki i bezpieczeństwa publicznego	Weszła w życie: 28 sierpnia 2018 r.
2.	**Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2023/2854 z dnia 13 grudnia 2023 r. w sprawie zharmonizowanych przepisów dotyczących sprawiedliwego dostępu do danych i ich wykorzystywania**	Regulacja ustanawia jednolite zasady dotyczące sprawiedliwego dostępu do danych i ich wykorzystania w UE. Jest to kluczowy element unijnej strategii danych, mający na celu stworzenie jednolitego rynku danych oraz zwiększenie innowacyjności i konkurencyjności gospodarki cyfrowej	Wejście w życie: 11 stycznia 2024 r. Stosowanie przepisów: od 12 września 2025 r.
3.	**Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2019/881 z dnia 17 kwietnia 2019 r. w sprawie ENISA oraz certyfikacji cyberbezpieczeństwa w zakresie technologii informacyjno-komunikacyjnych**	Ustanawia ramy dla wzmocnienia cyberbezpieczeństwa w UE poprzez dwie kluczowe inicjatywy: (1) wzmocnienie roli ENISA, (2) Europejski system certyfikacji cyberbezpieczeństwa. Celem rozporządzenia jest zwiększenie zaufania do produktów i usług cyfrowych oraz zapewnienie wysokiego poziomu ochrony przed zagrożeniami cybernetycznymi w całej UE	Weszło w życie 27 czerwca 2019 r.
4.	**Dyrektywa Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2022/2555 z dnia 14 grudnia 2022 r. w sprawie środków na rzecz wysokiego wspólnego poziomu cyberbezpieczeństwa na terytorium Unii**	Dyrektywa NIS2, ma na celu: zwiększenie odporności i zdolności reagowania na incydenty cybernetyczne w państwach członkowskich, rozszerzenie zakresu podmiotów objętych regulacją, wprowadzenie obowiązków w zakresie zarządzania ryzykiem i sprawozdawczości, silniejszy nadzór i egzekwowanie przepisów (numer z wykazu: UC32)	Wejście w życie: 16 stycznia 2023 r. Termin transpozycji do prawa krajowego: do 17 października 2024 r.
5.	**Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2022/868 z dnia 30 maja 2022 r. w sprawie europejskiego zarządzania danymi i zmieniające rozporządzenie (UE) 2018/1724**	Akt w sprawie zarządzania danymi (Data Governance Act, DGA), ustanawia ramy prawne dla bezpiecznego i etycznego udostępniania danych w UE. Jego celem jest zwiększenie zaufania do wymiany danych oraz wspieranie innowacji i gospodarki opartej na danych	Wejście w życie: 23 czerwca 2022 r. Rozporządzenie stosuje się od dnia 24 września 2023 r.
6.	**Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2025/327 z dnia 11 lutego 2025 r. w sprawie europejskiej**	Umożliwia wymianę danych zdrowotnych między krajami UE, wspiera rozwój usług zdrowotnych i innowacji w medycynie. Inne cele to: zwiększenie kontroli pacjentów nad danymi,	Rozporządzenie będzie wdrażane stopniowo: od 26 marca 2029 r. – wymiana danych dla priorytetowych kategorii,

Lp.	Nazwa aktu prawnego	Opis	Data wejścia w życie / obowiązywania
	przestrzeni danych dotyczących zdrowia (EPDZ)	wspieranie badań naukowych i innowacji, bezpieczeństwo i interoperacyjność systemów	takich jak podsumowania pacjentów. od 26 marca 2031 r. – rozszerzenie regulacji na dodatkowe kategorie danych
7.	**Dyrektywa Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2024/2853 z dnia 23 października 2024 r. w sprawie odpowiedzialności za produkty wadliwe (*Product Liability Directive*)**	Dostosowuje zasady odpowiedzialności do rozwoju gospodarki cyrkularnej i cyfrowej, a także technologii sztucznej inteligencji, zapewniając odpowiednią ochronę konsumentów i użytkowników	Wejście w życie: 8 grudnia 2024 r. Stosowanie przepisów: od 9 grudnia 2026 r.
8.	**Ustawa o systemach sztucznej inteligencji**	Ustawa o systemach sztucznej inteligencji to projekt polskiego aktu prawnego mający na celu wdrożenie przepisów unijnego Rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2024/1689, znanego jako AI Act. AI Act, będący pierwszą na świecie regulacją dotyczącą sztucznej inteligencji, (Numer z wykazu: UC71).	Projekt ustawy (etap opiniowania)

Skróty: ENISA, European Union Agency for Cybersecurity, Europejska Agencja ds. Cyberbezpieczeństwa; Technologie Informacyjno-Komunikacyjne; UE, European Union, Unia Europejska

Unijne rozporządzenie w sprawie oceny technologii medycznych, HTAR

Niektóre wyroby medyczne oraz wyroby medyczne do diagnostyki *in vitro* będą podlegały wspólnej ocenie klinicznej przeprowadzanej przez organy do spraw HTA. Ramy wspierające współpracę państw członkowskich i środki niezbędne do wspólnej oceny klinicznej zostały przedstawione w Rozporządzeniu Parlamentu Europejskiego i Rady 2021/2282 z 15 grudnia 2021 r. w sprawie oceny technologii medycznych i zmian dyrektywy 2011/24/UE i obowiązują od 12 stycznia 2025 r.

Rozporządzenie definiuje wspólną ocenę kliniczną, jako naukowe zestawienie i opis analizy porównawczej dostępnych dowodów klinicznych dotyczących danej technologii medycznej w porównaniu z co najmniej jedną inną technologią medyczną lub istniejącymi procedurami i w oparciu o naukowe aspekty klinicznych domen HTA obejmujące: opis problemu zdrowotnego, do którego odnosi się dana technologia medyczna, i obecne zastosowanie innych technologii medycznych odnoszących się do tego problemu zdrowotnego, opis i charakterystykę techniczną technologii medycznej, względną skuteczność kliniczną i względne bezpieczeństwo technologii medycznej.

Wprowadzenie wspólnej oceny klinicznej ma na celu zapobieżenie kilkakrotnym ocenom danego wyrobu w różnych państwach członkowskich UE, tym samym jej ujednolicenie. Pomoże to organom krajowym w podejmowaniu bardziej terminowych i świadomych decyzji dotyczących ustalania cen i refundacji technologii medycznych oraz usprawni procedurę dla podmiotów opracowujących technologie medyczne.

Wspólnej ocenie klinicznej będą podlegały wyroby medyczne sklasyfikowane w klasach IIb lub III w odniesieniu, do których odpowiednie panele ekspertów przedstawiły opinię naukową w ramach konsultacji[2] oraz wyroby do diagnostyki *in vitro* sklasyfikowane w klasie D w odniesieniu do których odpowiednie panele ekspertów przedstawiły swoje uwagi[3]. Komisja, w drodze aktu wykonawczego będzie raz na dwa lata podejmować decyzje w sprawie wyboru do wspólnej oceny klinicznej wyrobów medycznych i wyrobów medycznych do diagnostyki *in vitro*, biorąc pod uwagę jedno z następujących kryteriów:

- niezaspokojone potrzeby medyczne;
- pierwszy wyrób w danej klasie;
- potencjalny wpływ z punktu widzenia pacjentów, zdrowia publicznego lub systemów opieki zdrowotnej;

[2] *Procedurę konsultacji przy ocenie klinicznej niektórych wyrobów klasy III i klasy IIb określa art. 54 Rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2017/745*

[3] *Procedurę składania uwag przy ocenie zgodności wyrobów do diagnostyki in vitro określa art. 47 Rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2017/746*

- włączenie oprogramowania wykorzystującego sztuczną inteligencję,
- technologie lub algorytmy uczenia maszynowego;
- istotny wymiar transgraniczny;
- znaczna ogólnounijna wartość dodana.

We wspólną ocenę kliniczną będzie zaangażowanych siedmiu kluczowych partnerów:

- Grupa koordynacyjna HTA (HTA CG),
- Podgrupa do spraw wspólnej oceny klinicznej wyrobów medycznych i wyrobów medycznych do diagnostyki *in vitro*,
- Podmioty opracowujące wyroby medyczne i wyroby medyczne do diagnostyki *in vitro* (HTD),
- Indywidualni eksperci (pacjenci, eksperci kliniczni i inni),
- Sekretariat HTA w Komisji Europejskiej,
- Europejska Agencja Leków.

Wsparcia w przygotowaniu wspólnej oceny klinicznej będzie udzielać międzynarodowe konsorcjum złożone z 21 krajów członkowskich, w którym stronę polską reprezentuje AOTMiT. Agencja wykonawcza Komisji Europejskiej (HaDEA) podpisała z konsorcjum umowę ramową, zapewniając finansowanie wspólnych prac. Zgodnie z HTAR grupa koordynacyjna upoważni organy do spraw HTA do oceny względnej skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa niektórych wyrobów medycznych wysokiego ryzyka i wyrobów do diagnostyki *in vitro*.

Umowa obejmuje również przeprowadzenie wspólnych konsultacji naukowych przed wspólną oceną kliniczną, o które zwracają się podmioty opracowujące technologie medyczne (*Joint Scientific Consultations*, JSC)[4]. Proces obejmuje konsultacje z organizacjami zainteresowanych stron oraz pacjentami, ekspertami klinicznymi i innymi odpowiednimi ekspertami, a także współpracę z Europejską Agencją Leków (EMA), w ramach której twórca wyrobu medycznego wnioskuje o przeprowadzenie wspólnych konsultacji naukowych równolegle z konsultacjami z panelem ekspertów.

Wspólne konsultacje naukowe będą umożliwiały podmiotom opracowującym technologie medyczne wymianę informacji z organami do spraw HTA na temat ich planów rozwoju wyrobu medycznego lub wyrobu medycznego do diagnostyki *in vitro* w zakresie rozporządzenia w sprawie HTA. Podmiot opracowujący technologię medyczną będzie mógł uzyskać wskazówki dotyczące opracowywania dowodów klinicznych, które mogą być wymagane do późniejszych wspólnych ocen klinicznych wyrobów medycznych i wyrobów medycznych do diagnostyki *in vitro*.

Ponadto Komisja będzie tworzyć i utrzymywać platformę informatyczną HTA obejmującą między innymi bezpieczny system wymiany informacji między grupą koordynacyjną i jej podgrupami, a podmiotami opracowującymi technologie medyczne i ekspertami uczestniczącymi we wspólnych pracach (przekazywanie wniosków, dokumentacji zawierającej informacje, dane, analizy i inne dowody na podstawie szablonów określonych przez grupę koordynacyjną). Dostęp do korzystania z platformy informatycznej HTA przydziela sekretariat HTA. Dostęp jest spersonalizowany i dostosowany do konkretnego produktu.

Obecnie trwają prace w ramach grupy koordynacyjnej i jej podgrup nad przygotowaniem wytycznych i wzorów dokumentów niezbędnych do przeprowadzenia procesu wspólnej oceny klinicznej oraz wspólnych konsultacji naukowych. Wszelkie zmiany są na bieżąco publikowane na stronach internetowych Komisji Europejskiej *Joint Clinical Assessment, Joint Scientific Consultation*.

[4] *Zasady stosowania Rozporządzenia (UE) 2021/2282 w odniesieniu do procedur przeprowadzania wspólnych konsultacji naukowych dotyczących wyrobów medycznych i wyrobów medycznych do diagnostyki in vitro określa Rozporządzenie wykonawcze Komisji (UE) 2025/117 z dnia 24 stycznia 2025 r.*

1.2. Ścieżki dostępu do wyrobów medycznych w Polsce

Podstawowe akty prawne regulujące system refundacji oraz finansowania wyrobów medycznych ze środków publicznych obejmują:

- Ustawę z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (zwaną dalej: *Ustawą refundacyjną*) (Dz. U. z 2024 r. poz. 930), która określa, m.in.:
  a) zasady, warunki i tryb podejmowania decyzji administracyjnej o objęciu refundacją wyrobu medycznego,
  b) zasady zaopatrzenia świadczeniobiorców w wyroby medyczne.
- Ustawę z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (zwaną dalej: *Ustawą o świadczeniach*), która określa warunki udzielania i zakres świadczeń opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, w tym:
  a) zasady kwalifikowania świadczeń opieki zdrowotnej jako świadczeń gwarantowanych,
  b) zasady zmiany technologii medycznych w zakresie świadczeń opieki zdrowotnej,
  c) zasady usuwania świadczeń opieki zdrowotnej z wykazu świadczeń gwarantowanych,
  d) zakres i rodzaj świadczeń opieki zdrowotnej realizowanych w ramach programów pilotażowych,
  e) zasady tworzenia programów zdrowotnych albo programów polityki zdrowotnej,
  - powyższe dotyczy świadczeń opieki zdrowotnej, w tym świadczeń realizowanych z wykorzystaniem wyrobów medycznych.

Na podstawie wskazanych powyżej aktów prawnych można wyróżnić klika, tzw. *mechanizmów finansowania* wyrobów medycznych w ramach refundacji lub ze środków publicznych w Polsce (Tabela 2).

Tabela 2. Schemat dostępnych w Polsce mechanizmów finansowania wyrobów medycznych ze środków publicznych

Podstawa prawna	Mechanizm finansowania WM	Administracyjna ścieżka dostępu do WM	Źródło prawa określające dostęp do WM	Przykłady WM
Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych	Refundacja wyrobów medycznych dostępnych w aptekach ogólnodostępnych	Ścieżka 1: Proces objęcia WM refundacją w ramach refundacji aptecznej	*Obwieszczenie MZ w sprawie wykazu refundowanych leków, ś.s.s.p.ż oraz wyrobów medycznych*	Opatrunki do ran (różnego rodzaju), igły do wstrzykiwaczy, paski diagnostyczne do oznaczania glukozy we krwi
	Refundacja wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie	Ścieżka 2: Proces objęcia WM refundacją w ramach zlecenia	*Rozporządzenie MZ z dnia 29 maja 2017 r. w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie*	Protezy, ortezy, obuwie ortopedyczne, odzież uciskowa, aparaty słuchowe, sensory do systemu ciągłego monitorowania glikemii, wózki inwalidzkie
Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych	Finansowanie wyrobów medycznych stanowiących element świadczenia gwarantowanego (diagnostycznego lub terapeutycznego), udzielanego w trybie ambulatoryjnym lub w ramach hospitalizacji	Ścieżka 3: Proces kwalifikacji świadczenia jako świadczenie gwarantowane (w tym z zastosowaniem WM)	*Rozporządzenia w różnych zakresach (m.in. Rozporządzenie MZ z dnia 22 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego, Rozporządzenie MZ z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, (…)*	Wszczepialne protezy słuchu, stenty, balon uwalniający lek do naczyń wieńcowych, pompa baklofenowa, stymulator nerwu błędnego, endoprotezy stawów, podskórny kardiowerter-defibrylator
		Ścieżka 4: Proces zmiany technologii medycznej finansowanej ze środków publicznych w tym z zastosowaniem WM)		
		Ścieżka 5: Proces usunięcia świadczenia (w tym z zastosowaniem WM) z wykazu świadczeń gwarantowanych		
	Finansowanie wyrobów medycznych w ramac	Ścieżka 6: Proces objęcia finansowaniem ze środków publicznych	*Rozporządzenia MZ dotyczące*	E-stetoskop, Telemonitoring

Podstawa prawna	Mechanizm finansowania WM	Administracyjna ścieżka dostępu do WM	Źródło prawa określające dostęp do WM	Przykłady WM
	h programu pilotażowego	pilotażu (z zastosowaniem WM)	*poszczególnych programów pilotażowych*	pacjentów z niewydolności ą serca
	Finansowanie wyrobów medycznych w ramac h programów zdrowotnych lub programów polityki zdrowotnej	Proces objęcia finansowaniem ze środków publicznych programu zdrowotnego lub programu polityki zdrowotnej (z zastosowaniem WM)	*Rozporządzenie MZ z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakres u programów zdrowotnych* *Rozporządzenie MZ w sprawie wzoru programu polityki zdrowotnej, wzoru raportu końcowego z realizacji programu polityki zdrowotnej oraz sposobu sporządzenia projektu programu polityki zdrowotnej i raportu końcowego z realizacji programu polityki zdrowotnej*	Zrobotyzowane systemy do rehabilitacji, lampy do światłolecznictwa, urządzenia do laseroterapii
	Finansowanie wyrobów medycznych w zakresie niezbędnym do wykonania świadczeń gwarantowanych	Proces w ramach przetargów medycznych na wyroby medyczne realizowany przez podmioty lecznicze zgodnie z Ustawą z dni a 11 września 2019 r. - Prawo zamówień publicznych	*Ustawa z dnia 11 września 2019 r. - Prawo zamówień publicznych*	Wyroby jednorazowe, wielorazowe wyposażenie sali operacyjnej, zabiegowej, przyrządy, urządzenia, oprogramowania - służące do celów diagnostycznych lub terapeutycznych

Skróty: MZ, Minister Zdrowia; WM, wyroby medyczne

W Polsce dostęp do wyrobów medycznych zapewniają trzy kluczowe *mechanizmy finansowania*. Pierwszy to nieodpłatny dostęp do wyrobów medycznych stanowiących element świadczenia gwarantowanego, diagnostycznego lub terapeutycznego (udzielanego w trybie ambulatoryjnym lub w ramach hospitalizacji). Drugi gwarantuje refundację całości lub części kosztów wyrobu medycznego w ramach tzw. refundacji aptecznej. Trzeci obejmuje wyroby medyczne wydawane na zlecenie. W tym ostatnim przypadku system opieki zdrowotnej oferuje wsparcie w postaci finansowania całości bądź części kosztów nabycia wyrobów medycznych, w które pacjent zaopatruje się w sklepie medycznym lub w aptece, a które są mu wydawane na podstawie zlecenia wystawionego przez uprawnioną osobę, po potwierdzeniu objęcia pacjenta systemem ubezpieczenia zdrowotnego przez NFZ [NIK 2018].

Inne mechanizmy obejmują, m.in. finansowanie pełnych kosztów wyrobów medycznych w zakresie niezbędnym do wykonania świadczeń gwarantowanych (takich jak: wyroby jednorazowego użytku, wielorazowe wyposażenie sali operacyjnej, zabiegowej, przyrządy, urządzenia, oprogramowania), finansowanie całości kosztów wyrobów medycznych w zakresie programów pilotażowych, programów zdrowotnych oraz programów polityki zdrowotnej.

Dodatkowo, w warunkach polskich dofinansowanie do wyrobu medycznego można uzyskać w ramach Państwowego Funduszu Rehabilitacji Osób Niepełnosprawnych (PFRON).

Dla każdego z zaprezentowanych *mechanizmów finansowania* można przypisać administracyjną „ścieżkę", inaczej proces, objęcia wyrobu medycznego refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych. Procesy różnią się między sobą w zakresie, m.in. podmiotów biorących udział w procesie wnioskowania o objęcie refundacją, czy np. regulacji dotyczących czasu poszczególnych etapów procesu.

Scharakteryzowano kluczowe *mechanizmy finansowania* wyrobów medycznych w Polsce, w celu identyfikacji – na dalszym etapie prac projektowych – obszarów potencjalnie wymagających zmian.

Analizie poddano siedem ścieżek dostępu do finansowania wyrobów medycznych ze środków publicznych:

- Ścieżka 1: Proces objęcia wyrobu medycznego refundacją w ramach refundacji aptecznej.
- Ścieżka 2: Proces objęcia wyrobu medycznego refundacją w ramach zlecenia.
- Ścieżka 3: Proces kwalifikacji świadczenia, w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego jako świadczenia gwarantowanego.

- Ścieżka 4: Proces zmiany technologii medycznej finansowanej ze środków publicznych, w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego.
- Ścieżka 5: Proces usunięcia świadczenia, w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego z wykazu świadczeń gwarantowanych.
- Ścieżka 6: Proces objęcia świadczenia z zastosowaniem wyrobu medycznego finansowaniem ze środków publicznych w ramach programu pilotażowego
- Ścieżka 7: Proces objęcia świadczenia z zastosowaniem wyrobu medycznego finansowaniem ze środków publicznych w ramach programów polityki zdrowotnej.

Ścieżki uwzględniają procesy realizowane przez następujące podmioty: (1) Wnioskodawcę, (2) Ministerstwo Zdrowia, (3) AOTMiT, (4) NFZ.

Ścieżki zostały scharakteryzowane na podstawie ww. aktów prawnych oraz zwizualizowane w programie *Drawio* z użyciem notacji Business Process Modeling Notation (BPMN). Dodatkowo, zostały one uzupełnione o komentarze autorów opracowania. Pełny opis wraz z wizualizacją stanowi Załącznik 10.4.

Poniżej przedstawiono skróconą charakterystykę wybranych ścieżek finansowania wyrobów medycznych

Tabela 3. Zestawienie ścieżek dostępu do wyrobów medycznych w Polsce

Ścieżka dostępu	Wniosko-dawca	Czas realizacji procesu	Zaangażowanie MZ	Zaangażowanie AOTMiT	Uwagi dodatkowe
Ścieżka 1: refundacja WM w ramach refundacji aptecznej	Podmiot odpowiedzialny, w tym producent, upoważniony przedstawiciel, importer, dystrybutor	180 dni	Wydanie decyzji administracyjnej dot. objęcia refundacją i ustalenia ceny zbytu netto	Przygotowanie AWA, stanowiska Rady Przejrzystości i rekomendacji Prezesa Agencji, w przypadku WM bez odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu	Opłata AWA
Ścieżka 2: refundacja WM w ramach zlecenia	Brak ustawowego wnioskodawcy	Brak	Określenie w drodze rozporządzenia wykazu WM wydawanych na zlecenie	Brak wymogu przygotowania raportu przez AOTMiT	MZ może wystąpić do Prezesa AOTMiT o przygotowanie raportu z art. 31n pkt. 5 – wydawana jest opinia RP i rekomendacja Prezesa Agencji
Ścieżka 3: kwalifikacja świadczenia (w tym z zastosowa-niem WM)	Brak ustawowego wnioskodawcy. (w praktyce: Konsultanci krajowi, towarzystwa naukowe)	Brak (w praktyce termin realizacji danego zlecenia wskazuje MZ)	Decyzja o kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego	Przygotowanie raportu analitycznego Agencji, stanowiska RP i rekomendacji Prezesa Agencji dla danego świadczenia	W przypadku pozytywnej decyzji MZ – zmiana w odpowiednim Rozporządzeniu, w razie potrzeby zmiana Zarządzenia Prezesa Funduszu
Ścieżka 4: zmiana technologii medycznej (w tym z zastosowa-niem WM)	Brak ustawowego wnioskodawcy. (w praktyce: Konsultanci krajowi, towarzystwa naukowe)	Brak (w praktyce termin realizacji danego zlecenia wskazuje MZ)	Decyzja o zmianie technologii medycznej, tj. przypisania interwencji (w tym wyrobu medycznego) do określonych wskazań klinicznych	Przygotowanie raportu analitycznego Agencji, stanowiska RP i rekomendacji Prezesa Agencji	W przypadku pozytywnej decyzji MZ – zmiana w odpowiednim Rozporządzeniu, w razie potrzeby zmiana Zarządzenia Prezesa Funduszu

Ścieżka dostępu	Wniosko-dawca	Czas realizacji procesu	Zaangażowanie MZ	Zaangażowanie AOTMiT	Uwagi dodatkowe
Ścieżka 5: usunięcie świadczenia (w tym z zastosowa-niem WM)	Konsultanci krajowi, Prezes Funduszu, stowarzyszenia i fundacje – za pośrednictwem ww. konsultantów	30 dni na ocenę formalną wniosku przez MZ, ew. 14 dni na uzupełnienie wniosku. Po przekazaniu przez MZ zlecenia do AOTMiT brak ustawowych ram czasowych na realizację zlecenia.	Usunięcie danego świadczenie opieki zdrowotnej z wykazu świadczeń gwarantowanych albo dokonanie zmiany poziomu lub sposobu finansowania lub warunków realizacji świadczenia gwarantowanego, działając z urzędu lub na wniosek	Przygotowanie raportu analitycznego Agencji, stanowiska RP i rekomendacji Prezesa Agencji	Brak bezpośredniego związku z mechanizmem dostępu do nowych wyrobów medycznych. W przypadku pozytywnej decyzji MZ – zmiana w odpowiednim Rozporządzeniu, w razie potrzeby zmiana Zarządzenia Prezesa Funduszu
Ścieżka 6: pilotaże (z zastosowa-niem WM)	Brak ustawowego wnioskodawcy (program pilotażowy opracowuje, ustala, nadzoruje i kontroluje Minister Zdrowia)	Brak	Opracowywanie, ustalanie w drodze Rozporządzenia, nadzorowanie oraz kontrolowanie programu pilotażowego. Nadzór i kontrola przez MZ lub jednostkę podległą	Brak. W praktyce czasami AOTMiT bierze udział w procesach związanych z programami pilotażowymi	Do zadań NFZ należy wdrażanie, finansowanie, monitorowanie, ewaluacja oraz zawieranie umów z realizatorami programów. Opracowanie i ustalenie programu przez Prezesa Funduszu możliwe jest za zgodą MZ, po przedstawieniu założeń programu
Ścieżka 7: programy polityki zdrowotnej (z zastosowaniem WM)	Jednostki samorządu terytorialnego	Brak	Opracowywanie, wdrażanie, realizowanie i finansowanie PPZ. Po zakończeniu realizacji PPZ MZ (ew. JST) sporządza raport końcowy z jego realizacji i niezwłocznie przekazuje do Agencji oraz udostępnia w BIP	Przygotowanie raportu w sprawie oceny PPZ, opinii RP i opinii Prezesa Agencji. Dokonywanie okresowej weryfikacji założeń PPZ i przygotowywanie na tej podstawie raportu, opinii RP i rekomendacji Prezesa Agencji	Opracowywać, wdrażać, realizować i finansować PPZ mogą również JST. Możliwa realizacja PPZ przez NFZ na zlecenie MZ. Rozpoczęcie wdrożenia, realizacji i finansowania PPZ – po uzyskaniu pozytywnej albo warunkowo pozytywnej opinii albo po przesłaniu do Agencji oświadczenia zgodności PPZ z rekomendacją

Skróty: AOTMiT, Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji; AWA, Analiza weryfikacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji; BIP, Biuletyn Informacji Publicznej; JST, Jednostki Samorządu Terytorialnego; MZ, Minister Zdrowia; NFZ, Narodowy Fundusz Zdrowia; PPZ, Programy Polityki Zdrowotnej; RP, Rada Przejrzystości; WM, wyroby medyczne

Poniżej przedstawiono krótką charakterystykę poszczególnych ścieżek legislacyjnych.

Ścieżka 1: Proces objęcia wyrobu medycznego refundacją w ramach refundacji aptecznej

Proces objęcia wyrobu medycznego refundacją w ramach refundacji aptecznej inicjowany jest poprzez złożenie wniosku przez podmiot gospodarczy (producenta, upoważnionego przedstawiciela, importera, dystrybutora) do Ministra Zdrowia. Wniosek ten rozpoczyna postępowanie administracyjne, którego celem jest wydanie decyzji o objęciu refundacją i ustaleniu ceny zbytu netto, w terminie nie dłuższym niż 180 dni. W przypadku wniosku o objęcie refundacją wyrobu medycznego, dla którego nie ma odpowiednika

refundowanego w danym wskazaniu, Minister Zdrowia przekazuje wniosek wraz z analizami wnioskodawcy Prezesowi AOTMiT w celu przygotowania analizy weryfikacyjnej Agencji, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa Agencji. Decyzja Ministra Zdrowia obowiązuje przez okres 2 lub 3 lat.

Ścieżka 2: Proces objęcia wyrobu medycznego refundacją w ramach zlecenia

Zgodnie z Ustawą o refundacji, Minister Zdrowia określa w drodze rozporządzenia wykaz wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie. Ustawa nie precyzuje poszczególnych etapów tego procesu, nie wskazuje wnioskodawców ani ram czasowych nowelizacji wykazu. Przepisy nie wymagają zasadniczo przygotowania raportu przez AOTMiT, jednak w praktyce Minister Zdrowia niekiedy zleca Prezesowi Agencji opracowanie raportu, dotyczącego zakwalifikowania świadczenia gwarantowanego z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne na zlecenie osoby uprawnionej oraz ich naprawy. Raport niekiedy jest przedstawiany Radzie Przejrzystości, która wydaje opinię oraz jest wydawana rekomendacja Prezesa Agencji w przedmiotowej sprawie.

Ścieżka 3: Proces kwalifikacji świadczenia jako świadczenia gwarantowanego, w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego

Inicjatywa zakwalifikowania nowej technologii medycznej, w tym świadczenia z zastosowaniem wyrobu medycznego, jako świadczenia gwarantowanego należy wyłącznie do Ministra Zdrowia. W praktyce wnioski te zgłaszane są przez konsultantów krajowych, towarzystwa naukowe oraz organizacje pacjenckie. Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej nie określa ram czasowych realizacji tego procesu, jednak termin wykonania zlecenia wskazuje Minister Zdrowia. Minister zleca również Prezesowi AOTMiT przygotowanie rekomendacji, poprzedzonej raportem analitycznym Agencji oraz stanowiskiem Rady Przejrzystości. Ostateczną decyzję w sprawie zakwalifikowania świadczenia do wykazu świadczeń gwarantowanych podejmuje Minister Zdrowia.

Ścieżka 4: Proces zmiany technologii medycznej finansowanej ze środków publicznych, w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego

Minister Zdrowia jest podmiotem inicjującym proces zmiany technologii medycznej, tj. przypisania interwencji (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego) do określonych wskazań klinicznych. Zmiana technologii medycznych dotyczy wyłącznie świadczeń objętych finansowaniem ze środków publicznych. Minister zleca Prezesowi AOTMiT przygotowanie rekomendacji dotyczącej zasadności zmiany technologii, poprzedzonej opracowaniem raportu analitycznego Agencji i stanowiska Rady Przejrzystości. Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej nie określa ram czasowych realizacji tego procesu, jednak termin wykonania zlecenia wskazuje Minister Zdrowia. W Ustawie nie określono również podmiotu lub podmiotów uprawnionych do wnioskowania, jednakże w praktyce wnioski o wprowadzenie nowego świadczenia zgłaszane są przez konsultantów krajowych, towarzystwa naukowe oraz organizacje pacjenckie. W przypadku pozytywnej decyzji Ministra Zdrowia dokonywana jest zmiana w odpowiednim Rozporządzeniu oraz w razie potrzeby zmiana Zarządzenia Prezesa Funduszu.

Ścieżka 5: Proces usunięcia świadczenia, w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego z wykazu świadczeń gwarantowanych

Zgodnie z Ustawą o świadczeniach Minister Zdrowia działając z urzędu lub na wniosek może usunąć dane świadczenie opieki zdrowotnej z wykazu świadczeń gwarantowanych albo dokonać zmiany poziomu lub sposobu finansowania lub warunków realizacji świadczenia gwarantowanego. Proces ten nie jest bezpośrednio związany z mechanizmem dostępu do nowych wyrobów medycznych, jednak jest to jedyny proces „koszykowy" opisany w Ustawie o świadczeniach, którego ścieżka postępowania została bardziej szczegółowo uregulowana. Wśród wnioskodawców ustawodawca przewidział: Konsultantów Krajowych, Prezesa Funduszu, stowarzyszenia i fundacje – za pośrednictwem Konsultantów. Dalsza ścieżka podstępowania jest analogiczna jak w przypadku zmiany technologii.

Ścieżka 6: Proces objęcia świadczenia, w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego finansowaniem ze środków publicznych w ramach programu pilotażowego

Programy pilotażowe reguluje Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej. W przepisach nie odniesiono się bezpośrednio do wyrobów medycznych. Zgodnie z ww. Ustawą program pilotażowy opracowuje, ustala, nadzoruje i kontroluje minister właściwy do spraw zdrowia, a wdraża, finansuje, monitoruje i ewaluuje Fundusz. Minister Zdrowia może wyrazić zgodę na opracowanie i ustalenie programu przez Prezesa Funduszu po przedstawieniu przez niego założeń programu. W lutym 2024 r. AOTMiT wydała wytyczne do programów pilotażowych, które stanowią zbiór zasad standaryzujących proces przygotowania i ewaluacji programów pilotażowych dla technologii medycznych i rozwiązań organizacyjnych ocenianych pod kątem wprowadzenia do publicznego systemu ochrony zdrowia. AOTMiT niekiedy bierze udział w procesach

legislacyjnych, przygotowywaniu materiałów analitycznych, dostarczaniu danych, wycenie (modeli, świadczeń, pakietów) oraz opiniowaniu programów pilotażowych.

Ścieżka 7: Proces objęcia świadczenia, w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego finansowaniem ze środków publicznych programów polityki zdrowotnej

Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej reguluje kwestie związane z programami polityki zdrowotnej. Pogramy polityki zdrowotnej mogą opracowywać, wdrażać, realizować i finansować ministrowie oraz jednostki samorządu terytorialnego. Ponadto Fundusz realizuje programy polityki zdrowotnej zlecone przez Ministra Zdrowia. Minister oraz jednostka samorządu terytorialnego opracowują projekt programu polityki zdrowotnej na podstawie mapy potrzeb zdrowotnych oraz dostępnych danych epidemiologicznych. Projekt programu opracowany według wzoru jest przekazywany do AOTMiT w celu wydania przez Prezesa Agencji opinii, poprzedzonej raportem w sprawie oceny projektu programu oraz opinią Rady Przejrzystości. Prezes Agencji sporządza opinię w terminie 2 miesięcy od dnia otrzymania projektu programu polityki zdrowotnej albo poprawionego projektu programu. Rozpoczęcie wdrożenia, realizacji i finansowania programu polityki zdrowotnej może nastąpić wyłącznie po uzyskaniu pozytywnej albo warunkowo pozytywnej opinii albo po przesłaniu do Agencji oświadczenia zgodności projektu programu polityki zdrowotnej z rekomendacją. Agencja, z własnej inicjatywy lub z inicjatywy Ministra Zdrowia, dokonuje okresowej weryfikacji założeń zgromadzonych projektów programów polityki zdrowotnej i na podstawie tej weryfikacji przygotowuje raport, opinię Rady Przejrzystości i rekomendację Prezesa Agencji w terminie 4 miesięcy od dnia otrzymania zlecenia. Po zakończeniu realizacji programu polityki zdrowotnej minister oraz jednostka samorządu terytorialnego sporządzają raport końcowy z realizacji programu w terminie 3 miesięcy od dnia zakończenia realizacji programu polityki zdrowotnej i niezwłocznie przekazuje do Agencji oraz udostępnia w Biuletynie Informacji Publicznej.

1.3. Finansowanie badań klinicznych innowacyjnych wyrobów medycznych w Polsce

Poza omówionymi kluczowymi mechanizmami finansowania wyrobów medycznych ze środków publicznych w Polsce, technologie te są również dostępne w ramach realizowanych badań klinicznych. Istotną rolę w finansowaniu tego rodzaju badań odgrywa Agencja Badań Medycznych (ABM), która wspiera realizację projektów niekomercyjnych oraz rozwija infrastrukturę służącą prowadzeniu badań klinicznych wyrobów medycznych.

W 2022 roku ABM ogłosiła konkurs (ABM/2022/2) skierowany do przedsiębiorstw, którego celem było finansowanie projektów obejmujących opracowanie, ocenę działania oraz ocenę kliniczną innowacyjnych wyrobów medycznych. Wnioski o dofinansowanie mogły dotyczyć projektów znajdujących się na różnych etapach rozwoju – od fazy koncepcyjnej po przedsięwzięcia wymagające jedynie realizacji prac rozwojowych. Konkurs obejmował możliwość finansowania badań podstawowych, badań przemysłowych oraz prac rozwojowych. Kluczowym warunkiem udziału w konkursie była konieczność komercjalizacji rezultatów projektu w terminie nieprzekraczającym trzech lat od jego zakończenia. Rezultatem realizacji projektu musiała być produkcja wyrobu medycznego oraz jego wprowadzenie do obrotu.

Jednym z kryteriów oceny w konkursie była innowacyjność projektu. Priorytet stanowiło wspieranie opracowania oraz wdrożenia innowacyjnych wyrobów, które nie są jeszcze dopuszczone do obrotu na europejskim rynku lub też takich, które są dopuszczone, ale oferują nowe, innowacyjne funkcjonalności co najmniej w skali rynku polskiego w nowych wskazaniach do użytkowania.

Innowacyjność była oceniana w kontekście populacji docelowej i użytkownika końcowego przy założeniu, że wyrób stanowić będzie istotny postęp w procesie diagnostycznym/terapeutycznym/organizacyjnym na poziomie jednostki służby zdrowia, w odniesieniu do obecnie dostępnych rozwiązań (technologie komparatywne, standard opieki), w przypadku, gdy takie rozwiązania istnieją.

Do oceny kryterium przyjęto, że innowacja to wprowadzenie nowego lub znacząco ulepszonego rozwiązania w odniesieniu do wyrobu lub wypracowania nowego podejścia diagnostycznego lub terapeutycznego.

W ramach konkursu dofinansowanie uzyskały m.in.:

- inteligentny robot do rehabilitacji,
- wirtualny asystent pacjenta

- oraz system do EKG z wykorzystaniem sztucznej inteligencji.

W 2024 r. Agencja Badań Medycznych zorganizowała kolejny konkurs dedykowany wyrobom medycznym i rozwiązaniom diagnostycznym *in vitro* w ramach Krajowego Planu Odbudowy.

Celem konkursu było wsparcie finansowe przedsiębiorców z obszaru biomedycznego na rozwój i wdrożenie nowych lub udoskonalenie istniejących wyrobów medycznych i rozwiązań diagnostycznych wspierających prewencję, diagnostykę, leczenie lub rehabilitację, w tym produktów *borderline* („z pogranicza") np. zawierających jako integralną część pomocniczy produkt leczniczy.

Wsparcie finansowe przyznano m.in. następującym podmiotom:

- MEDICAL INVENTI S.A za badanie oceniające skuteczność, bezpieczeństwo i długoterminowe wyniki (radiologiczne i kliniczne) kompleksowej opieki z użyciem plastycznego biokompozytu kościozastępczego jako materiału wypełniającego ubytki kostne w złamaniach i urazach kości.
- Graylight Imaging Sp. z o.o. za oprogramowanie wspomagające radiologa w ocenie skuteczności leczenia onkologicznego pacjentek z guzami przerzutowymi raka piersi do płuc, wątroby, mózgu i węzłów chłonnych.
- ABAStroke za stworzenie aplikacji mobilnej, wykorzystującej generatywną sztuczną inteligencję do spersonalizowanej prewencji demencji poudarowej.

Agencja Badań Medycznych co roku ogłasza Plan Działalności, który określa planowane konkursy i projekty na kolejny rok. Wsparcie dla wyrobów medycznych nie jest planowane corocznie.

Podstawowe akty prawne regulujące system refundacji oraz finansowania wyrobów medycznych ze środków publicznych obejmują:

1.4. Rola Agencji Oceny Technologii Medycznej i Taryfikacji w ocenie wyrobów medycznych

Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) pełni funkcję instytucji doradczej dla Ministra Zdrowia w zakresie oceny technologii medycznych, w tym również wyrobów medycznych. Jej zadania obejmują nie tylko ocenę bezpieczeństwa, skuteczności klinicznej i efektywności kosztowej poszczególnych rozwiązań, ale również formułowanie rekomendacji i wytycznych, które mogą mieć wpływ na decyzje refundacyjne i organizacyjne podejmowane na szczeblu centralnym.

W kontekście dynamicznego rozwoju technologii medycznych, w tym rosnącej liczby innowacyjnych wyrobów dostępnych na rynku, rola AOTMiT nabiera szczególnego znaczenia. Ocena technologii medycznych oparta na dowodach naukowych umożliwia racjonalne gospodarowanie zasobami systemu opieki zdrowotnej, zapewniając jednocześnie pacjentom dostęp do skutecznych i bezpiecznych rozwiązań.

AOTMiT, w ramach kompetencji związanych z oceną wyrobów medycznych, realizuje przede wszystkim zadania zlecone przez Ministra Zdrowia oraz opracowuje wytyczne metodologiczne, mające na celu standaryzację procesu oceny technologii medycznych w obszarze wyrobów medycznych.

Poniżej przedstawiono zadania AOTMiT w procesie oceny wyrobów medycznych.

Zlecenia Ministra Zdrowia

W ostatnich latach AOTMiT realizowała zadania związane z oceną wyrobów medycznych, obejmujące różnorodne ścieżki refundacyjne oraz modele finansowania ze środków publicznych, zgodnie z obowiązującymi regulacjami i metodyką HTA.

1. **Proces objęcia wyrobów medycznych refundacją w ramach refundacji aptecznej**

   Zlecenia realizowane w tym obszarze, na podstawie art. 35 ust. 1 Ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, dotyczyły przeprowadzenia analizy weryfikacyjnej Agencji w odniesieniu do wyrobów medycznych.
   Dodatkowo AOTMiT realizowała zlecenia, na podstawie art. 31n pkt 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, obejmujące:

- ocenę zasadności wydzielenia nowej grupy limitowej dla opatrunku specjalistycznego,
- wydanie opinii w zakresie równoważności opatrunku specjalistycznego względem innych opatrunków z tej kategorii

2. **Proces objęcia wyrobów medycznych refundacją w ramach wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie**

   Ze względu na brak ustandaryzowanej ścieżki oceny wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie przed ich włączeniem do wykazu, AOTMiT realizowała zlecenia na podstawie art. 31n pkt 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, obejmujące ocenę zasadności uwzględnienia wyrobów medycznych w wykazie wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie.

   Zaznaczyć przy tym należy, że część zleceń obejmowała więcej niż jeden rodzaj wyrobu medycznego – oceniono różne kategorie wyrobów medycznych w zróżnicowanych wskazaniach klinicznych. Wśród analizowanych produktów znalazły się m.in.: systemy do samodzielnego monitorowania INR, wkładki ortopedyczne, filtry krawędziowe, kaski ochronne, wyroby kompresyjne okrągłodziane, biustonosze kompresyjne, ortezy kompresyjne.

   Niezależnie od powyższych zleceń, AOTMiT prowadziła również dodatkowe prace analityczne na prośbę Ministra Zdrowia. Miały one na celu wsparcie procesów decyzyjnych w zakresie polityki refundacyjnej, dostarczając materiałów o charakterze eksperckim i strategicznym.

3. **Proces oceny świadczeń z zastosowaniem wyrobów medycznych - w aspekcie kwalifikacji do wykazu świadczeń gwarantowanych**

   Oceny dotyczyły zastosowania wyrobów medycznych w ramach świadczeń gwarantowanych, obejmujących diagnostykę, leczenie oraz monitorowanie stanu zdrowia oraz leczenie. Prace te były realizowane na podstawie zleceń Ministra Zdrowia, wydanych zgodnie z art. 31c ust. 1 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.
   Przedmiotowe zlecenia dotyczyły oceny świadczeń opieki zdrowotnej w których kluczowym elementem interwencji było zastosowanie wyrobu medycznego. Przykładowe technologie objęte analizą obejmowały wyroby medyczne m.in.: wszczepialne pompy serca, neurostymulatory mózgu, wszczepialne rejestratory zdarzeń, zastosowania chirurgii robotycznej w wybranych wskazaniach klinicznych.

4. **Proces oceny świadczeń z zastosowaniem wyrobu medycznego w ramach programu pilotażowego finansowanego ze środków publicznych**

   W ostatnim czasie Agencja nie realizowała zleceń dotyczących ocen programów pilotażowych, w których wyrób medyczny stanowił główną komponentę interwencji. Nie oznacza to jednak braku realizacji programów pilotażowych z zastosowaniem wyrobu medycznego jako elementu szerszych działań.
   W ramach działań wspierających proces wdrażania innowacyjnych rozwiązań w systemie ochrony zdrowia, AOTMiT opracowała dokument pt. „W*ytyczne do programów pilotażowych”*, który umożliwia bezpieczne i kontrolowane testowanie nowych innowacyjnych rozwiązań w ograniczonym zakresie, przed ich ewentualnym wdrożeniem na poziomie ogólnokrajowym.

Wytyczne Agencji Oceny Technologii Medycznej i Taryfikacji

AOTMiT aktywnie uczestniczy w opracowywaniu wytycznych mających na celu zapewnienie spójnego i ujednoliconego podejścia do oceny technologii medycznych. Wytyczne te stanowią narzędzie wspierające zarówno dla dostawców technologii, ekspertów klinicznych, jak i instytucji publicznych, w tym Ministerstwa Zdrowia.

1. **Wytyczne dotyczące programów pilotażowych – przygotowanie i ewaluacja**

   Dokument zawiera zbiór zasad standaryzujących proces przygotowania i ewaluacji programów pilotażowych dla technologii medycznych i rozwiązań organizacyjnych, ocenianych pod kątem ich potencjalnego wprowadzenia do publicznego systemu ochrony zdrowia. Niniejszy dokument zawiera kluczowe elementy decydujące o powodzeniu pilotażu, obejmujące projektowanie, wdrożenie oraz ewaluację. Program pilotażowy pełni istotną rolę w redukowaniu niepewności decyzyjnej oraz usprawnianiu funkcjonowania systemu ochrony zdrowia. Wdrożenie nowej techniki, rozwiązania lub metody w małej skali umożliwia zebranie informacji na temat oceny

efektywności proponowanej zmiany, identyfikację potencjalnych problemów oraz dopracowanie szczegółów rozwiązania przed ewentualnym wdrożeniem na szeroką skalę. Ostatecznym celem programu pilotażowego jest przygotowanie gruntu pod pełnoskalowe wdrożenie rozwiązania w systemie ochrony zdrowia.

2. **Wytyczne Oceny Technologii Medycznych. Wyroby medyczne, część I**

   Dokument opisuje proces oceny technologii medycznych (HTA) dedykowany wyrobom medycznym o zastosowaniu profilaktycznym i terapeutycznym. Wytyczne uwzględniają następujące kluczowe założenia:

   - konieczność transparentnego wskazania wpływu technologii na istotne klinicznie punkty końcowe,
   - wyodrębnienie analizy efektów pozaklinicznych wraz z określeniem źródeł korzyści w tym zakresie,
   - standaryzację wymagań dotyczących analiz, dostosowaną do specyfiki wyrobów medycznych (w tym jakości dowodów naukowych),
   - podkreślenie znaczenia danych pozyskiwanych z prowadzonych badań w ramach polskiej praktyki klinicznej oraz Real-World Evidence,
   - zastosowanie kaskadowego podejścia do analiz ekonomicznych.

2. Opinie interesariuszy na temat innowacyjnych wyrobów medycznych

2.1. Metodyka

W dniach 03.03.2025-19.05.2025 r. przeprowadzono badanie ankietowe w formie on-line, którego celem było zebranie opinii różnych grup interesariuszy na temat kryteriów oceny innowacyjnych wyrobów medycznych oraz rekomendacji na temat zmian systemowych we wdrażaniu innowacyjnych wyrobów medycznych do finansowania ze środków publicznych, m.in. na podstawie przeglądu rozwiązań stosowanych w innych krajach. Dodatkowo, badanie miało na celu identyfikację kluczowych barier występujących w obowiązujących obecnie procesach administracyjnych związanych z objęciem wyrobu medycznego refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych, w ramach tzw. Ścieżek dostępu.

Ankieta internetowa została przeprowadzona przy użyciu oficjalnego narzędzia Komisji Europejskiej do zarządzania ankietami - EUSurvey. Ankieta zawierała pytania obowiązkowe (jednokrotnego i wielokrotnego wyboru) oraz pytania otwarte o charakterze fakultatywnym. Badanie miało charakter anonimowy i zbierało podstawowe informacje o grupie interesariuszy, do której należał respondent.

2.2. Struktura ankiety

Ankieta składała się z trzech obszarów tematycznych:

1. **Informacje ogólne** – obszar miał na celu uzyskanie informacji dotyczącej perspektywy osób ankietowanych (m.in. perspektywa eksperta klinicznego, perspektywa przemysłu).
2. **Ocena potrzeby wprowadzenia nowego procesu administracyjnego objęcia innowacyjnych wyrobów medycznych refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych** – obszar ten obejmował pytania związane z innowacyjnością, w tym identyfikację barier i ograniczeń w dostępie do refundacji innowacyjnych wyrobów medycznych oraz określenie kryteriów innowacyjności i zasad oceny takich wyrobów.
3. **Aktualne procesy administracyjne dotyczące objęcia wyrobów medycznych refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych** – obszar zawierał pytania dotyczące ścieżek dostępu do wyrobów medycznych obejmujące ocenę ww. ścieżek, identyfikację barier i ograniczeń w aktualnym dostępie do wyrobów medycznych.

Pytania zawarte w ankiecie przedstawiono w Załączniku do niniejszego raportu (patrz Rozdział 10.1).

2.3. Wyniki ankiety

Ankieta została skierowana do przedstawicieli różnych środowisk związanych z wyrobami medycznymi. Mając na uwadze potrzebę zgromadzenia możliwie jak największej liczby respondentów, była dystrybuowana zarówno przez AOTMiT (m.in. do wszystkich konsultantów krajowych, wybranych ekspertów klinicznych, stowarzyszeń pacjenckich, Rzecznika Praw Pacjenta, Naczelnej Izby Lekarskiej), jak i przez organizacje wspierające, reprezentujące środowisko wyrobów medycznych. Dystrybucja w ich przypadku odbywała się poprzez bezpośrednie zaproszenia skierowane do podmiotów zrzeszonych oraz udostępnienie linku do ankiety w mediach społecznościowych.

Ze względu na niską próbę (n=43) z populacji badanej wyniki zaprezentowano zbiorczo, bez podziału na kategorie według grup interesariuszy.

Wyniki przeprowadzonej ankiety należy traktować wyłącznie poglądowo. Niska liczba uczestników ankiety istotnie obniża jej reprezentatywność, co uniemożliwia formułowanie wniosków odnoszących się do całej populacji interesariuszy rynku wyrobów medycznych. Dodatkowo, brak możliwości analizy odpowiedzi według grup respondentów uniemożliwia identyfikację różnic w opiniach przedstawicieli poszczególnych środowisk, co istotnie ogranicza wartość analityczną pozyskanych danych.

Uzyskane wyniki były wsparciem do określenia problemu decyzyjnego, a zarazem stanowią punkt wyjścia do dalszych, pogłębionych analiz badawczych.

W poniższych podrozdziałach przedstawiono najważniejsze wyniki ankiety.

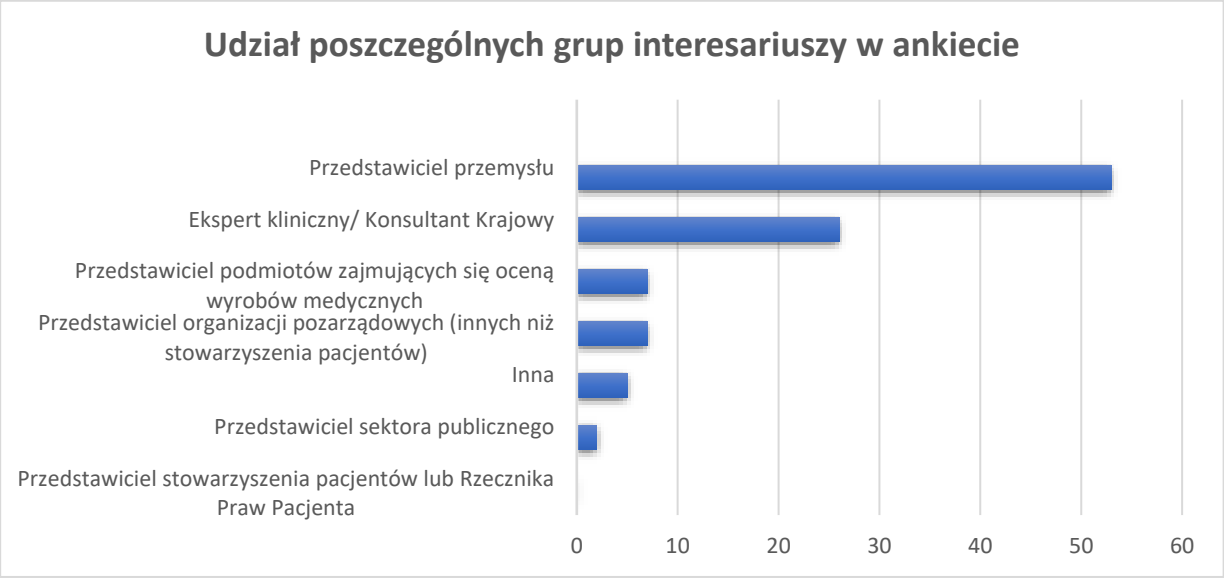
2.3.1. Informacje ogólne

Ankietę wypełniło 43 respondentów reprezentujących różne grupy interesariuszy, w tym przedstawiciele przemysłu, przedstawiciele sektora publicznego, przedstawiciele organizacji pozarządowych, przedstawiciele zajmujący się oceną wyrobów medycznych oraz eksperci kliniczni i konsultanci krajowi. Wśród ankietowanych najliczniejszą grupę stanowili przedstawiciele przemysłu (53%, 23/43) oraz konsultanci krajowi i eksperci kliniczni (26%, 11/43).

Do udziału w ankiecie zaproszono również przedstawicieli stowarzyszenia pacjentów oraz Rzecznika Praw Pacjenta, jednak nie otrzymano od nich odpowiedzi.

Szczegółowy udział procentowy przedstawicieli poszczególnych grup zaprezentowano na wykresie poniżej.

Rysunek 1. Udział poszczególnych grup interesariuszy w badaniu ankietowym



2.3.2. Ocena potrzeby wprowadzenia nowego procesu administracyjnego objęcia innowacyjnych wyrobów medycznych refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych

<u>Definicja innowacyjnego wyrobu medycznego</u>

Elementy wspólne zaproponowanych przez ankietowanych definicji innowacyjnego wyrobu medycznego obejmują:

- nowość lub ulepszenie w stosunku do istniejących technologii lub modelu (sposobu organizacji) opieki,
- korzystny wpływ na proces diagnostyczny, terapeutyczny lub organizacyjny,
- dostarczenie dodatkowych korzyści klinicznych i pozaklinicznych,
- odpowiedź na niezaspokojoną potrzebę medyczną.

<u>Bariery i ograniczenia w dostępie do innowacyjnych wyrobów medycznych</u>

Ankietowani najczęściej wskazywali, że największą barierą w dostępie do innowacyjnych wyrobów medycznych są ograniczenia ustawowe - **brak formalnej i jasno określonej ścieżki wnioskowania o objęcie refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych, umożliwiającej zainicjowanie procesu**. Na tę podstawową barierę składają się następujące ograniczenia:

- brak formalnego zobowiązania organu decyzyjnego do wydania decyzji (pozytywnej lub negatywnej),

- brak wyartykułowanych i jednoznacznych kryteriów refundacyjnych,
- brak ram czasowych procesu oceny i wydania decyzji refundacyjnej, długotrwałe procedury,
- brak uproszczonych procedur,
- wysokie wymagania dotyczące dowodów naukowych,
- ograniczenia budżetowe,
- brak transparentności procesu oceny i decyzji refundacyjnych.

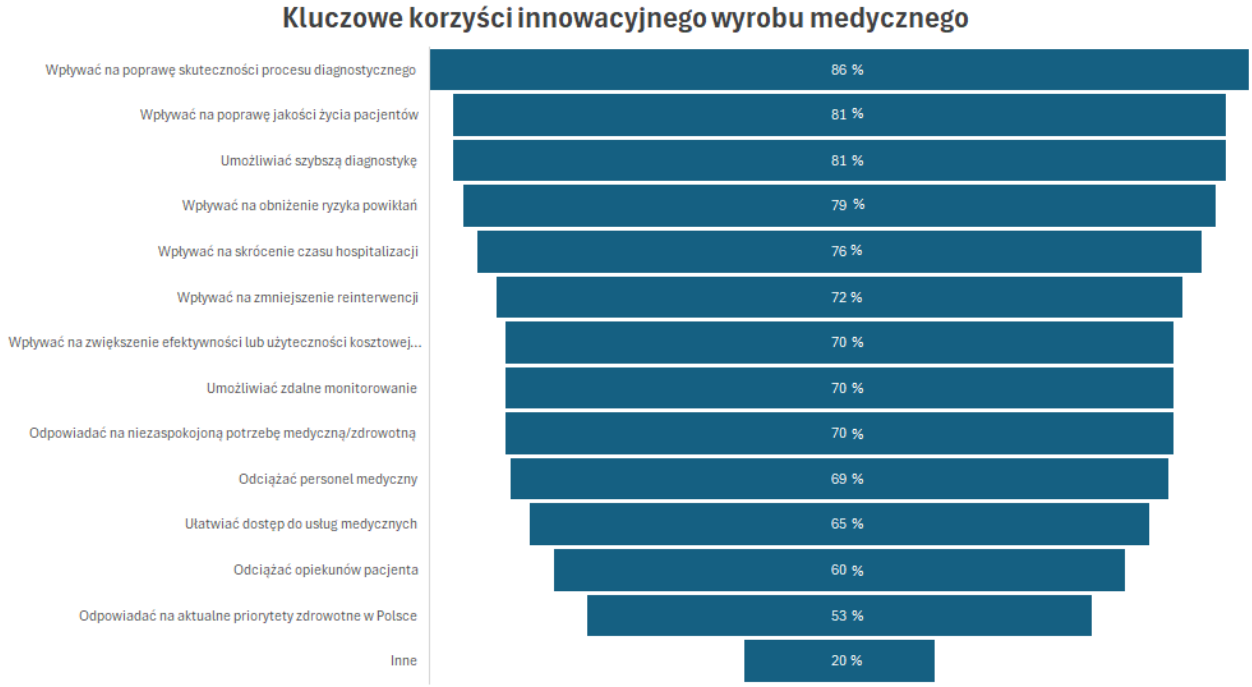
Jako barierę wskazano także brak możliwości złożenia wniosku refundacyjnego, m.in. przez producentów wyrobów medycznych (jednakże nie doprecyzowano, w ramach, której ścieżki legislacyjnej) oraz brak jednoznacznych wytycznych dotyczących oceny innowacyjnych wyrobów medycznych.

Korzyści jakie powinien zapewniać innowacyjny wyrób medyczny

Zdaniem respondentów, kluczowe korzyści, jakie powinien zapewniać wyrób medyczny, aby mógł zostać uznany za innowacyjny to poprawa skuteczności procesu diagnostyczno-terapeutycznego 86% (37/43), poprawa jakości życia pacjentów 81% (35/43), szybsza diagnostyka 81% (35/43), obniżenie ryzyka powikłań 79% (34/43), skrócenie czasu hospitalizacji (76%) (33/43) oraz odciążenie personelu medycznego 70% (30/43).

Szczegółowe wyniki badań w tym zakresie przedstawia poniższy wykres.

Wykres 1. Kluczowe korzyści jakie powinien zapewniać wyrób medyczny, aby mógł zostać uznany za innowacyjny



Dodatkowo, jako *inne* korzyści wskazano zmniejszenie śmiertelności i chorobowości, poprawę zdolności predykcji zdarzeń/określania rokowania, zmniejszenie obciążenia dla środowiska naturalnego, wsparcie procesu edukacyjnego pacjenta pozwalające na zmiany behawioralne, które w dłuższym okresie wpłyną na poprawę wyników klinicznych, wpływ na usprawnienie systemu opieki zdrowotnej również w zakresie organizacyjnym oraz zmniejszenie kosztów społecznych np. zmniejszenie ilości zwolnień chorobowych.

Przykłady innowacyjnych wyrobów medycznych

Respondentów poproszono o wskazanie przykładów wyrobów medycznych, które w ich ocenie spełniają kryteria innowacyjnych technologii medycznych, a jednocześnie nie są aktualnie finansowane ze środków publicznych. Ankietowani wskazali łącznie około 50 przykładów. Należy jednak podkreślić, że większość respondentów wskazywało na istotne znaczenie nie tylko innowacyjnych wyrobów medycznych, ale

i jednostkowych procedur medycznych, jak i ogólnych rozwiązań systemowych w ochronie zdrowia. Zgłoszone przykłady można pogrupować na 9 kategorii tematycznych: rehabilitacja, ortopedia, sztuczna inteligencja w diagnostyce, kardiologia, genetyka i biologia molekularna, technologie terapeutyczne, telemedycyna i zdalna opieka, diabetologia, ginekologia i cyfrowe aplikacje zdrowotne. Ankietowani przedstawili przykłady innowacyjnych wyrobów medycznych, które wskazują na szerokie zastosowanie sztucznej inteligencji w diagnostyce oraz druku 3D w medycynie. Najwięcej innowacyjnych wyrobów medycznych wskazano w takich obszarach jak rehabilitacja, chirurgia oraz telemedycyna.

Rozwiązania w innych krajach

W jednym z pytań ankietowanych respondenci zostali poproszeni o wskazanie krajów, w których według ich wiedzy funkcjonują uproszczone lub przyspieszone ścieżki dostępu dla innowacyjnych wyrobów medycznych. Najczęściej wskazywano Niemcy (25%), gdzie działa system refundacji cyfrowych aplikacji zdrowotnych (DiGA), Francję (19%), gdzie funkcjonuje, m.in. program *Forfait Innovation* i program dedykowany cyfrowym wyrobom medycznym PECAN oraz Stany Zjednoczone (14%), gdzie funkcjonuje program wspierający refundację innowacyjnych urządzeń medycznych (*Breakthrough Devices Program*). Respondenci wskazywali również Wielka Brytanię (14%) oraz Szwecję (5%), jako kraje posiadające mechanizmy finansowania innowacyjnych technologii medycznych. W odpowiedziach pojawiły się także: Holandia (5%), Szwecja (5%), Belgia (2%), Austria (2%), Indie (2%), Chiny (2%) i Słowacja (2%), jednak w przypadku tych krajów nie wskazano konkretnych programów ani mechanizmów wsparcia. Znaczna część respondentów 44% (19/43) zadeklarowała, że nie ma wiedzy na temat istniejących rozwiązań w tym obszarze.

Poniżej znajduje się szczegółowe zestawienie odpowiedzi ankietowanych.

Tabela 4. Mechanizmy finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych w wybranych krajach wskazanych przez respondentów

Kraj	Ścieżki refundacyjne lub programy finansowania
Niemcy	Ścieżka refundacji cyfrowych aplikacji zdrowotnych (DiGA), NUB
USA	Program dedykowany innowacyjnym urządzeniom medycznym (Breakthrough Devices Program)
Francja	Przejściowe finansowanie dedykowane cyfrowym aplikacjom zdrowotnym (PECAN), Forfait Innovation
Wielka Brytania	Innovative Medicines Fund, Ścieżka dostępu dla innowacyjnych urządzeń (IDAP), Medtech Funding Mandate (MTFM)
Szwecja	Ogólnokrajowy program oferujący wsparcie finansowe dla innowacyjnych projektów z zakresu technologii medycznej (Medtech4Health)
Słowacja	Brak wskazanych ścieżek/ programów
Holandia	Brak wskazanych ścieżek/ programów
Belgia	Brak wskazanych ścieżek/ programów
Austria	Brak wskazanych ścieżek/ programów
Indie	Brak wskazanych ścieżek/ programów
Chiny	Brak wskazanych ścieżek/ programów
Szwajcaria	Brak wskazanych ścieżek/ programów

Skróty: DiGA, niem. Digitale Gesundheitsanwendungen, cyfrowe aplikacje zdrowotne; PECAN, fr. Prise en Charge Anticipée Numérique, finansowanie przejściowe dla cyfrowych wyrobów medycznych; IDAP, Innovative Devices Access Pathway, ścieżka dostępu dla innowacyjnych wyrobów, NUB, niem. Neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden, Nowe Metody Badania i Leczenia

Pilotaż jako mechanizm finansowania, oceny i wdrażania innowacyjnych wyrobów medycznych

Większość ankietowanych 53% (23/43) uznała, że programy pilotażowe stanowią odpowiedni mechanizm wdrażania innowacyjnych wyrobów medycznych w Polsce. Przeciwnego zdania było 26% (11/43) respondentów, natomiast 21% (9/43) nie zajęło stanowiska w sprawie.

Respondenci, którzy pozytywnie ocenili programy pilotażowe, wskazywali, że są odpowiednim mechanizmem, ponieważ:

- umożliwiają testowanie skuteczności wyrobu medycznego w rzeczywistych warunkach oraz zgromadzenie danych rzeczywistych (RWD), które mogą wspierać decyzje refundacyjne;

- umożliwiają ocenę innowacji pod względem kosztów, efektywności klinicznej i ekonomicznej technologii medycznej przed wprowadzeniem na poziomie całego systemu;
- mogą wskazać obszary czy warunki wymagające doprecyzowania lub modyfikacji w testowanym rozwiązaniu;
- ułatwiają / wspierają wdrażanie nowych rozwiązań wśród pacjentów i lekarzy;
- powinny umożliwiać dopuszczenie technologii medycznych do finansowania ze środków publicznych warunkowo (przez Agencję Badań Medycznych) z uwzględnieniem prowadzenia dedykowanych rejestrów po ich wprowadzeniu na rynek.

Ankietowani wskazywali również na potrzebę zdefiniowania etapu w ścieżce od pilotażu do wdrożenia ogólnokrajowego.

Zdaniem części respondentów pilotaże nie są odpowiednim mechanizmem wdrażania innowacyjnych wyrobów medycznych. Wskazywali oni na następujące ograniczenia:

- brak sprecyzowanego planu działania po uzyskaniu pozytywnego wyniku pilotażu;
- ryzyko opóźnienia wdrożenia nowej technologii;
- istnienie wielu innowacyjnych technologii, które posiadają udowodnioną skuteczność i korzyści i nie wymagają dodatkowej walidacji w formie pilotażu;
- pilotaż powinien stanowić etap gromadzenia informacji wspierających efektywne wdrażanie technologii medycznej, a nie być docelowym mechanizmem finansowania;
- realizacja pilotaży w warunkach odbiegających od standardowej praktyki klinicznej może ograniczać ich wartość dowodową.

Rozszerzona ocena innowacyjnych wyrobów medycznych z uwzględnieniem dodatkowych kryteriów

Według 40% (17/43) ankietowanych istnieje konieczność przeprowadzania rozszerzonej oceny z uwzględnieniem dodatkowych kryteriów, specyficznych tylko dla wyrobów medycznych – najczęściej wskazano:

- ocenę ryzyka, rozszerzoną analizę bezpieczeństwa;
- klasę ryzyka wyrobu (ocena wyrobów medycznych powinna być dostosowana do ich specyfiki – inne kryteria należy stosować w przypadku wyrobów wysokiej klasy (np. implanty), a inne dla technologii o niższym poziomie ryzyka (np. wózki inwalidzkie);
- produkcję w Polsce;
- kryteria oceny koszt-efektywności.

Przeciwnego zdania było 35% (15/43) respondentów, a pozostali nie zajęli stanowiska w sprawie.

Respondenci, którzy nie dostrzegają potrzeby przeprowadzania rozszerzonej oceny wyrobów medycznych, wskazywali m.in. na następujące argumenty:

- kryteria pozamedyczne, takie jak „produkcja w Polsce" nie powinny wpływać na ocenę medyczną i kliniczną – mogą być uwzględniane tylko w kontekście negocjacji cenowych,
- rozszerzone procedury oceny mogą opóźniać dostęp do wyrobów, szczególnie innowacyjnych,
- wyrób medyczny, który posiada znak CE i jest dopuszczony do obrotu, spełnia wymagania bezpieczeństwa. Wprowadzenie rozszerzonej oceny może być postrzegane jako bariera administracyjna.

Refundacja warunkowa dla innowacyjnych wyrobów medycznych w ramach badań finansowanych przez producenta

Zgodnie z opinią 56% (24/43) respondentów, refundacja warunkowa powinna być możliwa, ale tylko w przypadku niewystarczających dowodów naukowych dotyczących skuteczności lub efektywności. Pozostali ankietowani 35% (15/43) uznali, że refundacja warunkowa powinna być stosowana zawsze w przypadku, gdy nie uda się osiągnąć zadowalających obie strony warunków refundacyjnych. W takim przypadku wyniki badania obserwacyjnego służyłyby opracowaniu optymalnego modelu wdrożenia technologii do praktyki klinicznej. Pozostałe 9% respondentów opowiedziało się przeciwko temu rozwiązaniu.

Rodzaje dowodów naukowych, które powinien dostarczyć producent/dystrybutor innowacyjnych wyrobów medycznych wnioskując do Ministra Zdrowia o objęcie refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych

Najczęściej wskazywano:

- dowody kliniczne (badania randomizowane lub prospektywne lub obserwacyjne),
- dane z rejestrów (RWE),
- analizy ekonomiczne,
- rekomendacje ekspertów klinicznych i towarzystw naukowych.

Przedstawiciele podmiotów zajmujących się oceną wyrobów medycznych wskazali, iż wszystkie rodzaje dowodów naukowych (wg. piramidy jakości dowodów naukowych) powinny być brane pod uwagę w ocenie zasadności refundacji lub finansowania ze środków publicznych innowacyjnych wyrobów medycznych. Podkreślano jednak zależność rodzaju dowodów od specyfiki technologii i możliwości przeprowadzenia badania. Według respondentów dla cyfrowych wyrobów medycznych odpowiednie mogłyby być dane z praktyki klinicznej (RWE), badania obserwacyjne oraz opinie niezależnych ekspertów a w przypadku urządzeń o wyższym poziomie ryzyka konieczne są natomiast pełne badania kliniczne oraz analizy HTA. Wskazano również, iż wytyczne kliniczne i rekomendacje niezależnych ekspertów klinicznych i towarzystw naukowych mogą dotyczyć całej grupy wyrobów.

Jeden z respondentów wskazał, iż system objęcia refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych technologii medycznych powinien być spójny i niezależny od typu interwencji. Dodano również, że wyroby medyczne szybko ewoluują pod względem parametrów technicznych, a wymaganie dedykowanych rodzajów dowodów naukowych/badań w przypadku zmian powinno być oceniane w konkretnym kontekście.

2.3.3. Aktualne procesy administracyjne dotyczące objęcia wyrobów medycznych refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych

Pytania kwestionariuszowe przedstawione poniżej odnosiły się do ogólnej kategorii wyrobów medycznych, bez szczególnego uwzględnienia wyrobów innowacyjnych.

Dotyczyły one aktualnie funkcjonujących ścieżek dostępu do refundacji lub finansowania ze środków publicznych wyrobów medycznych w Polsce, obejmujących m.in.:

- **Ścieżka 1**: objęcie wyrobu medycznego refundacją w ramach refundacji aptecznej;
- **Ścieżka 2**: objęcie wyrobu medycznego refundacją w ramach wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie;
- **Ścieżka 3**: kwalifikacja świadczenia jako świadczenia gwarantowanego, w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego;
- **Ścieżka 4**: zmiana technologii medycznej finansowanej ze środków publicznych, w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego;
- **Ścieżka 5**: objęcie świadczenia, w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego finansowaniem ze środków publicznych programu pilotażowego;
- **Ścieżka 6**: objęcie świadczenia, w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego finansowaniem ze środków publicznych w ramach programu polityki zdrowotnej.

Przed przystąpieniem do pytań merytorycznych dotyczących aktualnych ścieżek dostępu, ankietowani zostali poproszeni o dokonanie samooceny poziomu swojej wiedzy na temat procesów legislacyjnych związanych z refundacją lub finansowaniem technologii medycznych ze środków publicznych, w trzech kategoriach: (1) *Nie mam wystarczającej wiedzy,* (2) *Posiadam wiedzę na poziomie ogólnym,* (3) *Posiadam wiedzę na poziomie eksperckim*. W przypadku, gdy respondent wskazał brak wystarczającej wiedzy, nie był proszony o udzielenie odpowiedzi na dalsze pytania merytoryczne.

Poniżej przedstawiono szczegółowy opis wyników samooceny poziomu wiedzy legislacyjnej.

Poziom wiedzy interesariuszy w zakresie obecnych ścieżek dostępu do refundacji lub finansowania ze środków publicznych wyrobów medycznych w Polsce

Uzyskane odpowiedzi wskazują na zróżnicowany poziom wiedzy interesariuszy dotyczącej poszczególnych mechanizmów finansowania wyrobów medycznych ze środków publicznych.

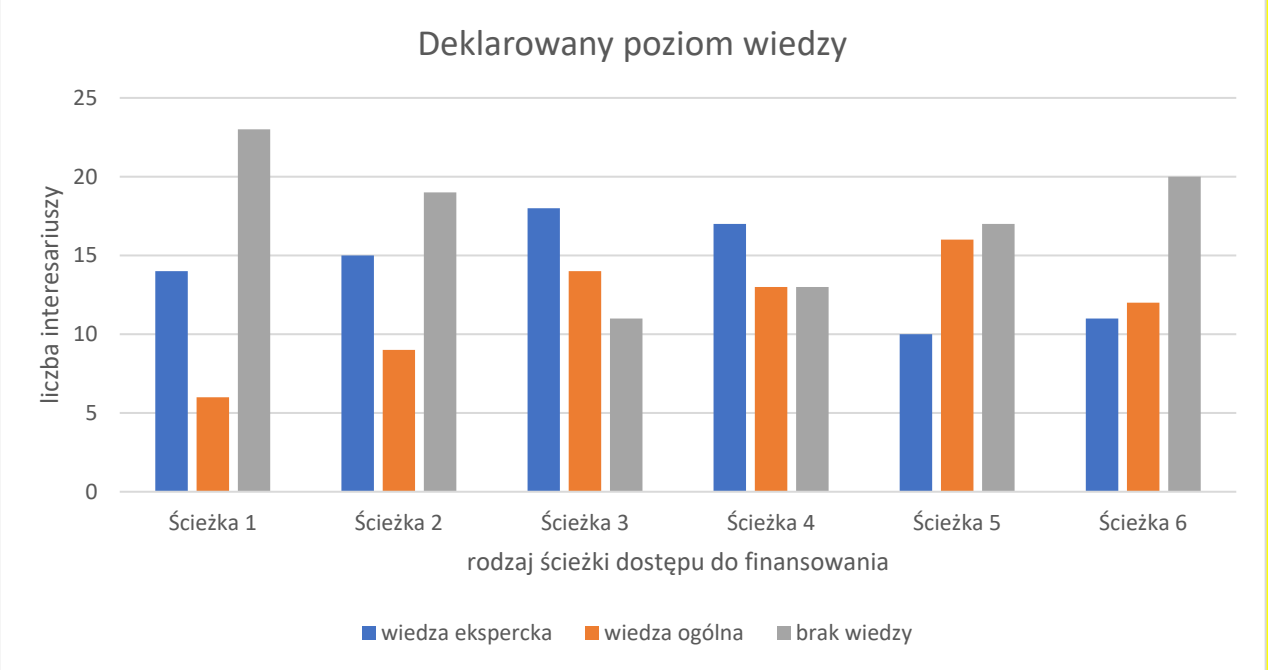
Deklarowany przez interesariuszy poziom wiedzy:

- refundacja wyrobów medycznych w ramach refundacji aptecznej (ścieżka 1) – poziom *ekspercki* 33% (14/43)), poziom *ogólny* 14% (6/43),
- refundacja wyrobu medycznego w ramach zlecenia (ścieżka 2) - poziom *ekspercki* 35% (15/43), poziom *ogólny* 21% (9/43),
- kwalifikacja świadczenia jako świadczenia gwarantowanego, w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego (ścieżka 3) - poziom *ekspercki* 42% (18/43), poziom *ogólny* 33% (14/43) respondentów,
- zmiana technologii medycznej finansowanej ze środków publicznych (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego) (ścieżka 4) - poziom *ekspercki* 40% (17/43), poziom *ogólny* 30% (13/43).
- finansowanie ze środków publicznych wyrobów medycznych w ramach pilotażu (ścieżka 5) - poziom *ekspercki* 23% (10/43), poziom *ogólny* 37% (16/43).
- objęcie finansowaniem ze środków publicznych programu polityki zdrowotnej z zastosowaniem wyrobu medycznego (ścieżka 6) - poziom *ekspercki* 26% (11/43), poziom *ogólny* 28% (12/43).

Pozostali ankietowani wskazali na brak wiedzy w zakresie ww. ścieżek dostępu wyrobu medycznego do refundacji.

Poniżej przedstawiono wykres ilustrujący deklarowany przez ankietowanych poziom wiedzy z zakresu ścieżek dostępu do refundacji wyrobów medycznych w Polsce.

Rysunek 2. Wykres ilustrujący deklarowany przez interesariuszy poziom wiedzy z zakresu ścieżek dostępu do finansowania wyrobów medycznych w Polsce



Ocena obecnych ścieżek dostępu do refundacji lub finansowania ze środków publicznych wyrobów medycznych w Polsce - identyfikacja barier i ograniczeń

Oceny poszczególnych ścieżek były zróżnicowane. W przypadku wszystkich analizowanych mechanizmów dominowały opinie określające je jako *umiarkowanie dobre* lub *negatywne.* Najniżej oceniona została ścieżka

odnosząca się do objęcia finansowaniem wyrobu medycznego w ramach pilotażu (ścieżka 5) - którą jako "*złą"* wskazało 73% ankietowanych (19/26).

Ścieżka 1, dotycząca objęcia wyrobów medycznych refundacją apteczną, została oceniona przez większość interesariuszy pozytywnie. Za jako *umiarkowanie dobrą* uznało ją 45% (9/20), za *dobrą* 15% (3/20) a za *bardzo dobrą* 5% (1/20). Jednocześnie negatywną opinię na temat ścieżki (ocena „*źle*") wyraziło 35% (7/20) respondentów.

Główne ograniczenia ścieżki zidentyfikowane przez interesariuszy dotyczyły:

- braku dedykowanej ścieżki dostępu do refundacji dla innowacyjnych wyrobów medycznych (40%, 8/20),
- braku ram czasowych pełnego procesu do przedstawienia decyzji MZ (20%, 4/20),

Pozostałe ograniczenia ścieżki zidentyfikowane przez 15% (3/20) ankietowanych dotyczyły:

- braku określonego wnioskodawcy (np. producenta/dystrybutora wyrobów medycznych, konsultant krajowy) rozpoczynającego proces,
- braku wskazanego czasu na weryfikacje dokumentów przez MZ,
- braku wskazanego czasu na realizację oceny przez AOTMiT.

Dodatkowo 55% (11/20) ankietowanych wskazało na istnienie jeszcze innych barier niż zidentyfikowane powyżej w tym m.in.:

- konieczności przedstawienia wysokiej jakości dowodów naukowych, analogicznych do wymagań wobec leków, co wg nich w przypadku wyrobów medycznych może być trudne do spełnienia,
- ograniczeń dotyczących liczby i rodzaju wyrobów medycznych kwalifikujących się do oceny wg. ww. ścieżki,
- niskiego limitu finansowania ze środków publicznych w danej grupie wyrobów medycznych w refundacji aptecznej, wymuszonej erozji cen zbytu i limitów finansowania.

Pozostali ankietowani (10%, 2/20) nie dostrzegli żadnych ograniczeń w ww. ścieżce refundacji wyrobów medycznych.

Ścieżka 2 dotycząca refundacji wyrobu medycznego w ramach zlecenia została oceniona jako *umiarkowanie dobra* przez 63% (15/24) interesariuszy, a 4% (1/24) uznało ją za *dobrą*. Z kolei 33% (8/24) ankietowanych oceniło ją negatywnie (została określona jako *zła*).

Ponad połowa ankietowanych wskazała ograniczenia ścieżki takie jak:

- brak dedykowanej ścieżki dostępu do refundacji dla innowacyjnych wyrobów medycznych (75%, 18/24).
- brak wskazanego czasu na weryfikacje dokumentów przez MZ (67%, 16/24),
- brak ram czasowych pełnego procesu do przedstawienia decyzji MZ (67%, 16/24),
- brak wskazanego czasu na realizację oceny przez AOTMiT (58%, 14/24),
- brak określonego wnioskodawcy (np. producenta/dystrybutora wyrobów medycznych, konsultant krajowy) rozpoczynającego proces (58%, 14/24),
- brak wykazu dokumentów składanych przez wnioskodawcę (wymagania minimalne, wymagania formalne (54%, 13/24).

Dodatkowo 18% (6/24) ankietowanych zgłosiło inne bariery niż wymienione powyżej tj. m.in.:

- niski limit finansowania ze środków publicznych w danej grupie wyrobów na zlecenie,
- brak przepisów obligujących do przeprowadzenia oceny przez AOTMiT,
- brak określonej ścieżki prawnej, priorytetu w zakresie składanych postulatów oraz procedury administracyjnej, która pozwalałby ocenić podmiotom zainteresowanym czy dana technologia wpisuje się w wykaz świadczeń gwarantowanych;

- brakuje jednego departamentu w Ministerstwie Zdrowia właściwego do przesyłania wniosków oraz procedury wstępnej oceny, czy dana technologia wpisuje się w priorytety resortu zdrowia.

Ścieżka 3 odnosząca się do kwalifikacji świadczenia jako gwarantowanego, w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego, została oceniona różnorodnie. Za *złą* uznało ją 44% (14/32) interesariuszy a za *bardzo złą* 6% (2/32) interesariuszy. Jednocześnie pozostali ocenili ją pozytywnie - została uznana za *umiarkowanie dobrą* przez 38% (12/32) respondentów lub *dobrą* przez 13% (4/32) respondentów).

Główne ograniczenia ścieżki zidentyfikowane przez interesariuszy dotyczyły:

- braku ram czasowych pełnego procesu do przedstawienia decyzji MZ (78%, 25/32),
- braku wskazanego czasu na realizację oceny przez AOTMiT (72%, 23/32),
- braku wskazanego czasu na weryfikacje dokumentów przez MZ (69%, 22/32),
- braku dedykowanej ścieżki dostępu do refundacji dla innowacyjnych wyrobów medycznych (69%, 22/32),

Pozostałe ograniczenia ścieżki zidentyfikowane przez ankietowanych dotyczyły:

- braku określonego wnioskodawcy (np. producenta/dystrybutora wyrobów medycznych, konsultant krajowy) rozpoczynającego proces (53%, 17/32),
- braku wykazu dokumentów składanych przez wnioskodawcę (wymagania minimalne, wymagania formalne) (50%, 16/32).

Dodatkowo 16% (5/32) ankietowanych zgłosiło występowanie innych barier niż wymienione powyżej, jednak nie zostały one sprecyzowane.

Ponad to jeden z ankietowanych (3%, 1/32) nie zidentyfikował żadnych barier w ocenianej ścieżce refundacji.

Ścieżka 4, dotycząca zmiana technologii medycznej finansowanej ze środków publicznych, w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego, została oceniona również bardzo różnorodnie. Negatywnie oceniło ją ponad połowa interesariuszy - za *złą* uznało ją 50% (15/30) a za *bardzo złą* 3% (1/30) ankietowanych. Jednocześnie przez pozostałych respondentów została uznana za *umiarkowanie dobrą* (43%, 13/30) lub *dobrą* przez 3% (1/30) respondentów).

Główne ograniczenia ścieżki zidentyfikowane przez interesariuszy dotyczyły:

- braku ram czasowych pełnego procesu do przedstawienia decyzji MZ (77%, 23/30),
- braku dedykowanej ścieżki dostępu do refundacji dla innowacyjnych wyrobów medycznych (67%, 20/30),
- braku wskazanego czasu na weryfikacje dokumentów przez MZ (67%, 20/30),
- brak wskazanego czasu na realizację oceny przez AOTMiT (57%, 17/30).

Pozostałe zidentyfikowane przez ankietowanych bariery obejmowały:

- brak określonego wnioskodawcy (np. producenta/dystrybutora wyrobów medycznych, konsultant krajowego) rozpoczynającego proces (50%, 15/30),
- brak wykazu dokumentów składanych przez wnioskodawcę (wymagania minimalne, wymagania formalne) (37%, 11/30).

Dodatkowo 20% ankietowanych (6/130) zgłosiło występowanie innych barier niż wymienione powyżej tj. m.in. brak regulacji określających częstotliwość przeglądów procedur przez Ministra Zdrowia.

Jeden z ankietowanych (3%, 1/30) nie dostrzegł żadnych barier w ocenianej ścieżce refundacji.

Ścieżka 5, dotycząca objęcia finansowaniem pilotażu z zastosowaniem wyrobu medycznego, została oceniona negatywnie przez większość ankietowanych – za *złą* uznało ją 73% (19/26) ankietowanych a za *bardzo złą* 4% (1/26). Pozostali ocenili ją *umiarkowanie dobrze* (19%, 5/26) lub dobrze (4%, 1/26).

Zidentyfikowane ograniczenia ścieżek dostępu – opinie interesariuszy

Interesariusze uczestniczący w badaniu wskazali szereg barier związanych z funkcjonowaniem obecnych ścieżek dostępu do refundacji i finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych. Najczęściej zgłaszane ograniczenia obejmowały:

- brak dedykowanej ścieżki dostępu do refundacji dla innowacyjnych wyrobów medycznych (69%, 18/26),
- brak określonego czasu na weryfikacje dokumentów przez MZ (62%, 16/26),
- brak określonego czasu na realizację oceny przez AOTMiT (58%, 15/26),
- brak ram czasowych dla pełnego procesu do przedstawienia decyzji MZ (58%, 15/26),
- brak jednoznacznie określonego wnioskodawcy inicjującego proces (np. producenta/dystrybutora wyrobów medycznych, konsultant krajowy) rozpoczynającego proces (58%, 15/26),
- brak wykazu wymaganych dokumentów składanych przez wnioskodawcę (wymagania minimalne, wymagania formalne) (54%, 14/26).

Dodatkowo, 27% (7/26) ankietowanych wskazało na inne bariery, niewymienione w powyższej liście, takie jak: brak kontynuacji procesu i ścieżki, brak współpracy pomiędzy NFZ a konsultantem krajowym.

Ścieżka 6, dotycząca objęcia finansowaniem programu polityki zdrowotnej z zastosowaniem wyrobu medycznego, została oceniona pozytywnie przez większość respondentów i określili ją mianem *umiarkowanie dobrej* (52%, 12/23), *dobrej* (4%, 1/23) lub *bardzo dobrej* (4%, 1/23). Pozostali natomiast wskazali, iż jest ona *zła* (39%, 9/23).

Główne ograniczenia ścieżki zidentyfikowane przez interesariuszy dotyczyły:

- braku ram czasowych pełnego procesu do przedstawienia decyzji MZ (87%, 20/23),
- braku dedykowanej ścieżki dostępu do refundacji dla innowacyjnych wyrobów medycznych (70%, 16/23),
- braku wskazanego czasu na weryfikacje dokumentów przez MZ (52%, 12/23).

Pozostałe zidentyfikowane przez ankietowanych bariery obejmowały:

- brak określonego wnioskodawcy (np. producenta/dystrybutora wyrobów medycznych, konsultant krajowy) rozpoczynającego proces (48%, 11/23),
- brak wskazanego czasu na realizację oceny przez AOTMiT (48%, 11/23),
- brak wykazu dokumentów składanych przez wnioskodawcę (wymagania minimalne, wymagania formalne) (43%, 10/23).

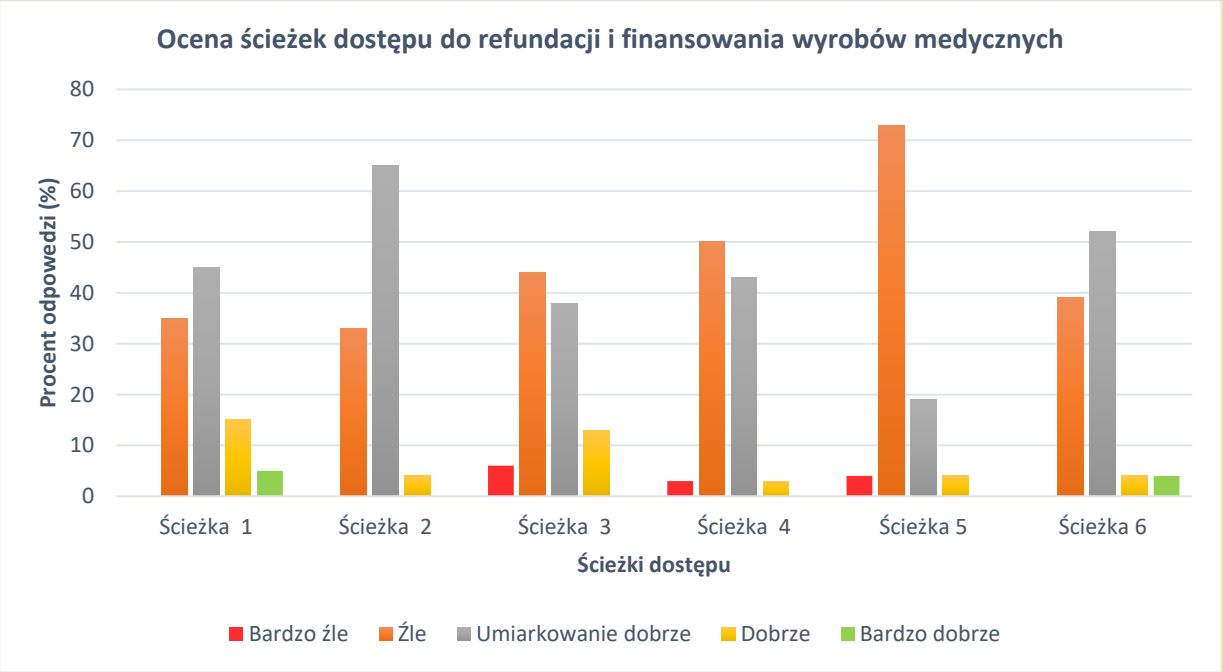
26% (6/23) ankietowanych zgłosiło obecność innych barier niż wymienione powyżej, jednak nie zostały one przez nich sprecyzowane. Jeden z ankietowanych (4%, 1/23) nie dostrzegł żadnych barier w ocenianej ścieżce dostępu do refundacji.

Interesariusze podkreślili, że każda z obowiązujących ścieżek refundacji i finansowania wyrobów medycznych ze środków publicznych wymaga dostosowania do danego rodzaju wyrobu medycznego oraz zwrócili uwagę na istnienie dla nich wspólnych barier i ograniczeń, w tym:

- brak możliwości składania wniosków o refundację przez producentów,
- brak wytycznych dotyczących oceny technologii medycznych dla wyrobów medycznych,
- brak procedur współpracy z interesariuszami,
- niejasne zasady określania kosztów świadczeń,
- ograniczony dostęp do danych z NFZ i innych źródeł niezbędnych do współpracy,

- brak współpracy między NFZ a Konsultantem Krajowym.

Rysunek 3. Ocena ścieżek dostępu do refundacji i finansowania wyrobów medycznych



2.4. Podsumowanie

W badaniu ankietowym wzięło udział 43 respondentów, wśród których znaleźli się przedstawiciele przemysłu, sektora publicznego, przedstawiciele zajmujący się oceną wyrobów medycznych, eksperci kliniczni i konsultanci.

W ramach ankiety respondenci zdefiniowali, czym ich zdaniem jest innowacyjny wyrób medyczny (IWM), wskazali bariery i ograniczenia w dostępie do wyrobów medycznych, a także określili oczekiwane korzyści, wynikające ze stosowania IWM.

Dodatkowo uczestnicy badania zostali poproszeni o:

- ocenę pilotażu jako mechanizmu finansowania, oceny i wdrażania innowacyjnych wyrobów medycznych;
- odniesienie się do zasadności wprowadzenia rozszerzonej oceny wyrobów innowacyjnych, uwzględniającej dodatkowe kryteria;
- ocenę aktualnych procesów administracyjnych związanych z obejmowaniem wyrobów medycznych refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych.

Definicja innowacyjnego wyrobu medycznego

Respondenci podkreślali, że innowacyjność wyrobu medycznego powinna obejmować nowość w stosunku do istniejących rozwiązań, przynosić korzyści kliniczne i pozakliniczne oraz odpowiadać na niezaspokojone potrzeby medyczne.

Bariery w dostępie do refundacji

Najczęściej wskazywane bariery obejmowały: brak przejrzystej i formalnej ścieżki wnioskowania o refundację, brak jednoznacznie zdefiniowanych kryteriów oceny, długotrwałość procedur administracyjnych oraz wysokie wymagania dotyczące zakresu i jakości dowodów naukowych.

Korzyści z innowacyjnych wyrobów medycznych

Za kluczowe korzyści uznawano m.in. poprawę skuteczności procesu diagnostyczno-terapeutycznego, poprawę jakości życia pacjentów, obniżenie ryzyka występowania powikłań, skrócenie czasu hospitalizacji.

Przykłady innowacji

Respondenci wskazali przykłady wyrobów medycznych oraz technologii, które uznają za innowacyjne, ale niedostępne w ramach publicznego finansowania. Obejmowały one rozwiązania z zakresu rehabilitacji, sztucznej inteligencji w diagnostyce, kardiologii, genetyki i biologii molekularnej, technologii terapeutycznych, telemedycyny, diabetologii, ginekologii.

Rozwiązania funkcjonujące w innych krajach w zakresie refundacji innowacyjnych wyrobów medycznych

Wskazano na funkcjonujące w innych krajach uproszczone ścieżki dostępu do refundacji innowacyjnych technologii, które mogą stanowić potencjalną inspirację dla rozwiązań wdrażanych w Polsce. Najczęściej wskazywane modele obejmują:

- Niemcy, gdzie wskazano funkcjonowanie m.in. systemu refundacji cyfrowych aplikacji zdrowotnych DiGA oraz mechanizm finansowania nowych technologii NUB;
- Francja w której realizowany jest programy Forfait Innovation oraz PECAN, dedykowane cyfrowym wyrobom medycznym;
- Stany Zjednoczone, gdzie wskazano na realizację programu Breakthrough Devices Program, wspierający szybszy dostęp do refundacji dla przełomowych wyrobów medycznych;
- Wielka Brytania w której funkcjonują programy: Innovative Medicines Fund, IDAP (Innovative Devices Access Pathway) oraz Medtech Funding Mandate (MTFM), ukierunkowane na wspieranie wdrażania innowacyjnych technologii medycznych w systemie publicznym.

Pilotaże jako forma wdrażania innowacji

Ponad połowa ankietowanych uznała pilotaże za odpowiedni mechanizm finansowania i wdrażania innowacyjnych wyrobów medycznych w Polsce, wskazując na ich rolę w testowaniu skuteczności w praktyce klinicznej, ocenie kosztów oraz ułatwieniu adaptacji technologii przez system ochrony zdrowia. Przeciwnicy takiego rozwiązania zwracali uwagę na brak jasno określonej ścieżki po zakończeniu pilotażu, ryzyko opóźnień we wdrożeniu oraz zbędność pilotaży dla wyrobów z udowodnioną skutecznością. Część respondentów podkreśliła, że pilotaże powinny pełnić funkcję wspierającą, a nie zastępować właściwe mechanizmy finansowania systemowego.

Rozszerzona ocena technologii

Prawie połowa respondentów opowiedziała się za potrzebą uwzględnienia dodatkowych kryteriów specyficznych dla wyrobów medycznych, uwzględniającej między innymi analizę ryzyka, klasę wyrobu, produkcję w Polsce oraz ocenę koszt-efektywności. Z kolei pozostali respondenci wskazywali, że dodatkowe kryteria mogą wydłużać proces dostępu do wyrobów, a produkty posiadające oznaczenie CE spełniają już wymagania bezpieczeństwa, wobec czego rozszerzona ocena mogłaby stanowić nieuzasadnioną barierę administracyjną.

Refundacja warunkowa

Większa część respondentów uważa, że powinna być stosowana refundacja warunkowa innowacyjnych wyrobów medycznych w ramach badań prowadzonych przez producenta, przede wszystkim w przypadku niewystarczających dowodów naukowych dotyczących skuteczności wyrobu medycznego.

Rodzaje dowodów naukowych

Respondenci wskazali, że producenci innowacyjnych wyrobów medycznych powinni dostarczać różnorodne dowody naukowe, takie jak badania kliniczne, dane z rejestrów (RWE), analizy ekonomiczne oraz rekomendacje ekspertów i towarzystw naukowych, przy czym wybór rodzaju dowodów zależy od specyfiki technologii i możliwości badawczych. Dla wyrobów cyfrowych preferowane są dane z praktyki klinicznej i opinie ekspertów, natomiast urządzenia wysokiego ryzyka wymagają pełnych badań klinicznych i analiz HTA.

3. Dowody naukowe dotyczące oceny klinicznej wyrobów medycznych

3.1. Wyszukiwanie systematyczne

Celem niniejszego przeglądu systematycznego była próba dostosowania wymagań dotyczących jakości dowodów naukowych w zależności od klasy ryzyka wyrobów medycznych tj. określenie jakie rodzaje dowodów naukowych są wystarczające d dla poszczególnych klas ryzyka oraz w jakich sytuacjach ich zastosowanie jest uzasadnione.

W celu odnalezienia dowodów naukowych odnoszących się do oceny wyrobów medycznych (na potrzeby refundacji) w zależności od klasy wyrobu przeprowadzono przegląd następujących medycznych baz informacji Medline (przez PubMed) oraz Embase (przez Ovid). Przeszukania źródeł informacji dokonano w dniu 20.05.2025 r. Zastosowane w bazach strategie wyszukiwania zostały przedstawione w załączniku 10.3.1 Strategie wyszukiwania badań. Struktura zastosowanych kwerend była dostosowana do ocenianego problemu decyzyjnego. Posługiwano się słowami kluczowymi ograniczającymi wyniki wyszukiwania względem interwencji i rodzaju publikacji, łącząc kwerendy odpowiednimi operatorami logicznymi Boole'a. Zakres dat objął publikacje opublikowane od 2017 roku do 2025 roku. Uwzględniono prace opublikowane w języku polskim oraz angielskim. Szczegółowy opis strategii wyszukiwania oraz wykres PRISMA przedstawiono w 10.3.2 Diagram selekcji badań. Prace prowadzono dwuetapowo, najpierw dokonano selekcji badań po tytułach i abstraktach, a następnie w oparciu o pełne teksty publikacji. Selekcja abstraktów została przeprowadzona przez trzech analityków niezależnie, po czym drogą konsensusu zakwalifikowano ostatecznie prace do analizy. Do przeglądu włączano publikacje spełniające predefiniowane kryteria włączenia, przedstawione poniżej.

Kryteria włączenia:

- Publikacje porównujące wymagania dowodowe dla różnych rodzajów wyrobów/klas ryzyka.
- Publikacje zawierające analizę oceny technologii medycznych (ang. *health technology assessment*, HTA) lub jej elementów dotyczących wyrobów medycznych.
- Publikacje opisujące podejścia HTA do wyrobów medycznych w zależności od klasy ryzyka/rodzaju wyrobów.
- Publikacje opisujące ograniczenia w ocenie HTA wyrobów medycznych.
- Badania, raporty agencji HTA, wytyczne, standardy postępowania, przeglądy systematyczne, metodyczne artykuły przeglądowe.

Kryteria wykluczenia:

- Artykuły dotyczące wyłącznie leków, produktów leczniczych, procedur medycznych bez odniesienia do wyrobów medycznych.
- Publikacje dotyczące aspektów technicznych wyrobów medycznych, bez związku z oceną HTA.
- Publikacje odnoszące się do jednego konkretnego wyrobu medycznego.
- Publikacje takie jak listy do redakcji, artykuły poglądowe bez wartości merytorycznej.
- Publikacje w formie doniesień konferencyjnych, w postaci wyłącznie abstraktów bez publikacji pełnotekstowej.

W rozdziałach poniżej przedstawiono charakterystykę publikacji włączonych do przeglądu oraz podsumowanie najważniejszych informacji. Pełne wyniki przedstawiono w załącznikach do niniejszego Raportu (Rozdział 10.3.3).

Charakterystyka publikacji włączonych do przeglądu

W ramach przeprowadzonego systematycznego przeglądu publikacji z zakresu wymagań jakości dowodów naukowych w ocenie wyrobów medycznych włączono łącznie 16 publikacji w tym: 2 przeglądy systematyczne, 3 przeglądy zakresowe (ang. *scoping review*), 5 artykułów metodycznych, 3 artykuły

przeglądowe, 1 artykuł badawczy, 1 analizę wytycznych regulacyjnych oraz 1 stanowisko eksperckie. W tabeli poniżej zestawiono szczegółowe informacje dotyczące publikacji włączonych do przeglądu.

Tabela 5. Charakterystyka publikacji włączonych do przeglądu

Lp.	Publikacja	Tytuł	Rodzaj publikacji	Zakres przedmiotowy
1.	Tarricone 2024	*Towards harmonizing assessment and reimbursement of digital medical devices in the EU through mutual learning*	Artykuł przeglądowy	Zakres tematyczny publikacji obejmuje identyfikację i porównanie krajowych ram oceny i refundacji cyfrowych wyrobów medycznych (ang. *digital medical device*, DMD) w 27 państwach członkowskich Unii Europejskiej. Analiza koncentruje się na formalnych i planowanych ścieżkach regulacyjnych, politykach zdrowotnych oraz mechanizmach decyzyjnych dotyczących DMD, z uwzględnieniem procesu harmonizacji i efektów wzajemnego uczenia się pomiędzy krajami. **[REF]**
2.	Solaiman 2024	*Regulating AI-Based Medical Devices in Saudi Arabia: New Legal Paradigms in an Evolving Global Legal Order*	Analiza wytycznych regulacyjnych	Publikacja analizuje regulacje Saudyjskiej Agencji ds. Żywności i Leków dotyczące wyrobów medycznych opartych na sztucznej inteligencji, ich charakter wiążący oraz porównanie z międzynarodowymi standardami. **[REJ]**
3.	Prodan 2022	*Success Factors for Scaling Up the Adoption of Digital Therapeutics Towards the Realization of P5 Medicine*	Artykuł badawczy	Analiza ram oceny, certyfikacji i refundacji terapii cyfrowych w wybranych krajach europejskich oraz identyfikacja czynników sukcesu wspierających ich integrację z systemami opieki zdrowotnej. **[REF+REJ]**
4.	Caiani 2024	*Standardized assessment of evidence supporting the adoption of mobile health solutions: A Clinical Consensus Statement of the ESC Regulatory Affairs Committee*	Stanowisko eksperckie	Publikacja dotyczy kryteriów oceny klinicznej, jakościowej i regulacyjnej rozwiązań *mHealth*, ze szczególnym uwzględnieniem ich zastosowania w kardiologii. Omawia wyzwania związane z dowodami naukowymi, bezpieczeństwem i integracją aplikacji mobilnych z praktyką kliniczną oraz proponuje ramy oceny wspierające podejmowanie decyzji przez pracowników ochrony zdrowia. **[REF]**
5.	Unsworth 2021	*The NICE Evidence Standards Framework for digital health and care technologies – Developing and maintaining an innovative evidence framework with global impact*	Artykuł metodyczny	Publikacja dotyczy opracowania i wdrożenia ram oceny dowodów dla cyfrowych technologii zdrowotnych (ang. *digital health technology*, DHT), mających na celu ustandaryzowanie wymagań dotyczących dowodów klinicznych i ekonomicznych w systemie ochrony zdrowia w Wielkiej Brytanii. Opisuje proces tworzenia ram, zastosowaną metodykę oraz zaangażowanie interesariuszy. **[REF]**
6.	John 2024	*Health technology assessment for digital health Technologies in India: a framework for action*	Artykuł metodyczny	Publikacja dotyczy opracowania ram oceny technologii cyfrowych w ochronie zdrowia (DHT) w kontekście indyjskiego systemu zdrowia. Analizuje istniejące podejścia do oceny tych technologii, zbiera opinie ekspertów na temat wymagań i wyzwań związanych z wdrożeniem oceny HTA dla DHT w Indiach. Celem jest stworzenie modelu, który wspiera podejmowanie decyzji dotyczących wdrażania i finansowania cyfrowych technologii zdrowotnych w warunkach ograniczonych zasobów. **[REF]**
7.	Huben 2021	*Health technology assessment for digital technologies that manage chronic disease: a systematic review*	Przegląd systematyczny	Przegląd systematyczny istniejących ram oceny technologii zdrowotnych (HTA) w kontekście cyfrowych technologii zdrowotnych (DHT) stosowanych do zarządzania przewlekłymi chorobami niezakaźnymi w warunkach domowych. Analizuje specyficzne dla DHT aspekty oceny klinicznej i ekonomicznej, wskazując na potrzebę dostosowania obecnych modeli HTA do unikalnych cech tych technologii. **[REF]**
8.	Tarricone 2022	*Recommendations for developing a lifecycle, multidimensional assessment framework for mobile medical apps*	Artykuł metodyczny	Publikacja koncentruje się na opracowaniu i walidacji wielowymiarowych ram oceny mobilnych aplikacji medycznych (ang. *mobile medical apps*, MMA). Analizuje istniejące międzynarodowe i krajowe wytyczne regulacyjne oraz modele oceny, uwzględniając aspekty kliniczne, bezpieczeństwo, użyteczność, wymagania prawne, ekonomiczne oraz organizacyjne. Praca obejmuje także konsultacje z ekspertami różnych grup interesariuszy w celu wypracowania rekomendacji

Lp.	Publikacja	Tytuł	Rodzaj publikacji	Zakres przedmiotowy
				wspierających wdrażanie MMA w systemach opieki zdrowotnej. **[REJ i REF]**
9.	Guerlich 2024	*Evidence from clinical trials on high-risk medical devices in children: a scoping review*	Przegląd zakresowy	Publikacja analizuje badania kliniczne wysokiego ryzyka urządzeń medycznych stosowanych u dzieci, zwracając uwagę na wyzwania metodologiczne i regulacyjne oraz potrzeby dostosowania wymagań dowodowych. **[REJ]**
10.	Arca 2025	*Comparison of health technology assessments for digital therapeutics in Germany, the United Kingdom and France*	Przegląd zakresowy	Publikacja dotyczy porównania podejść do oceny terapii cyfrowych (ang. *digital therapeutics*, DTx) przez agencje HTA w Niemczech, Wielkiej Brytanii i Francji. Autorzy analizują przypadki dwóch produktów – Deprexis (dla depresji) i Velibra (dla lęku) – ocenianych w więcej niż jednym kraju. Wskazano różnice i podobieństwa w kryteriach oceny oraz podkreślono potrzebę harmonizacji ram HTA dla DTx w Europie. **[REF]**
11.	Yan 2021	*The Impact of Digital Therapeutics on Current Health Technology Assessment Frameworks*	Artykuł przeglądowy	Publikacja dotyczy wpływu terapii cyfrowych (DTx) na obecne ramy oceny technologii zdrowotnych (HTA). Autorzy analizują, w jaki sposób wybrane agencje refundacyjne i HTA w sześciu krajach (Wielka Brytania, USA, Kanada, Niemcy, Francja, Australia) odnoszą się do zgłoszeń DTx, ze szczególnym uwzględnieniem wytycznych opracowanych przez NICE w Wielkiej Brytanii. **[REF]**
12.	Mezei 2023	*International practices in health technology assessment and public financing of digital health technologies: recommendations for Hungary*	Przegląd zakresowy	Publikacja analizuje międzynarodowe praktyki dotyczące oceny technologii zdrowotnych (HTA) oraz publicznego finansowania cyfrowych technologii zdrowotnych (DHT) na przykładzie pięciu pionierskich krajów Unii Europejskiej. Na tej podstawie formułuje rekomendacje dla Węgier, które mają wspierać wdrażanie i refundację cyfrowych rozwiązań zdrowotnych w krajowym systemie opieki zdrowotnej. Praca obejmuje przegląd klasyfikacji DHT, kryteriów oceny klinicznej i ekonomicznej oraz analizuje wyzwania związane z dostosowaniem krajowych ram HTA do specyfiki terapii cyfrowych. **[REF]**
13.	Pearson 2023	*Institute for Clinical and Economic Review – Peterson Health Technology Institute value assessment framework for digital health technologies*	Artykuł metodyczny	Publikacja przedstawia ramy oceny wartości cyfrowych technologii zdrowotnych (DHT), opracowane przez Institute for Clinical and Economic Review (ICER) oraz Peterson Health Technology Institute (PHTI). Opisuje wyzwania związane z oceną bezpieczeństwa, skuteczności i wpływu ekonomicznego DHT, ze szczególnym uwzględnieniem ich różnorodnych funkcji i poziomów ryzyka dla pacjentów. Model określa standardy dowodowe oraz metody analizy klinicznej i ekonomicznej. **[REF]**
14.	Main 2023	*Assessing the Value of Provider-Facing Digital Health Technologies Used in Chronic Disease Management: Toward a Value Framework Based on Multistakeholder Perceptions*	Artykuł metodyczny	Publikacja opisuje opracowanie i ocenę ram oceny wartości cyfrowych technologii zdrowotnych skierowanych do personelu medycznego w zarządzaniu chorobami przewlekłymi. Badanie uwzględnia różne perspektywy interesariuszy (pacjentów, lekarzy, decydentów, producentów i ekspertów) i identyfikuje kluczowe kryteria oceny, takie jak aspekty kliniczne, ekonomiczne, techniczne oraz prawa do danych i nierówności zdrowotne. **[REF]**
15.	Neugebauer 2017	*Specific barriers to the conduct of randomised clinical trials on medical devices*	Przegląd systematyczny	Publikacja dotyczy identyfikacji i analizy barier utrudniających przeprowadzanie randomizowanych badań klinicznych (ang. *randomized controlled trial*, RCT) dla wyrobów medycznych. Autorzy wskazują główne problemy, takie jak trudności z randomizacją, wyborem odpowiednich punktów końcowych oraz brak jasnych regulacji i wsparcia naukowego. Artykuł proponuje także możliwe rozwiązania tych problemów, podkreślając potrzebę stosowania RCT w ocenie skuteczności i bezpieczeństwa wyrobów medycznych. **[REJ]**

Lp.	Publikacja	Tytuł	Rodzaj publikacji	Zakres przedmiotowy
16	Tarricone 2020	*Lifecycle evidence requirements for high-risk implantable medical devices: a European perspective*	Artykuł przeglądowy	Publikacja dotyczy wymagań dotyczących generowania dowodów klinicznych na temat wysokiego ryzyka implantowanych wyrobów medycznych w kontekście europejskim. Analizuje, jaki rodzaj i jaka ilość danych klinicznych jest potrzebna na poszczególnych etapach cyklu życia urządzeń, od fazy przedrynkowej, przez wdrożenie, aż po fazę użytkowania i wymiany. Praca omawia wyzwania związane z oceną tych urządzeń oraz proponuje rekomendacje dotyczące optymalizacji procesu generowania dowodów. **[REJ+ REF]**

REF – dotyczy oceny klinicznej pod kątem refundacji; REJ – dotyczy oceny klinicznej pod kątem rejestracji;
Źródło: Opracowanie własne AOTMiT na podstawie wyników przeglądu.

3.2. Uzupełniające wyszukiwanie wolnotekstowe

Po przeprowadzeniu systematycznego przeglądu literatury, zidentyfikowano potrzebę rozszerzenia zakresu poszukiwań o dodatkowe źródła informacji. Celem tego działania była identyfikacja publikacji, które mogły zostać pominięte w wyszukiwaniu pierwotnym z uwagi na ograniczenia językowe, różnice w słownictwie lub braki w indeksowaniu źródeł.

W ramach dodatkowego przeszukiwania wykonano następujące działania:

1) wyszukiwanie w przeglądarce Google z wykorzystaniem uogólnionych słów kluczowych oraz terminów specyficznych dla przedmiotowej sprawy;
2) przegląd bibliografii i analizę list referencyjnych publikacji włączonych do przeglądu systematycznego.

W ramach dodatkowego wyszukiwania stosowano te same ogólne kryteria włączenia i wykluczenia, które przyjęto w przeglądzie systematycznym, w wyniku czego zidentyfikowano 6 publikacji spełniających ww. kryteria.

Tabela 6. Charakterystyka publikacji włączonych do przeglądu z wyszukiwania uzupełniającego

Lp.	Publikacja	Tytuł	Rodzaj publikacji	Zakres przedmiotowy
1.	Guerlich 2023	*European expert recommendations on clinical investigation and evaluation of high-risk medical devices for children*	Stanowisko eksperckie	Celem było opracowanie praktycznych rekomendacji umożliwiających przywrócenie równowagi pomiędzy bezpieczeństwem i skutecznością kliniczną a innowacyjnością i dostępnością wyrobów dla najmłodszych pacjentów. Autorzy podjęli próbę wskazania rozwiązań, które wspierają rozwój pediatrycznych WM bez uszczerbku dla obowiązujących standardów jakości i regulacji.
2.	Buccheri 2025	*Large simple randomized controlled trials-from drugs to medical devices: lessons from recent experience*	Artykuł przeglądowy	Celem był przegląd metodologii badań klinicznych i wypracowanie optymalnego projektu badań dla wyrobów medycznych wysokiego ryzyka. Przeglądu dokonała grupa projektowa na podstawie dwóch badań klinicznych
3.	Melvin 2024	*Orphan and paediatric medical devices in Europe: recommendations to support their availability for on-label and off-label clinical indications*	Stanowisko eksperckie	Celem była analiza zaleceń dotyczących wspierania dostępności wyrobów medycznych sierocych do wskazań klinicznych zgodnych z przeznaczeniem i jako off-label
4.	Hulstaert 2023	*Gaps in the evidence underpinning high-risk medical devices in Europe at market entry, and potential solutions*	Artykuł przeglądowy	Ograniczenia, luki i najważniejsze wnioski płynące z analizy rynku innowacyjnych wyrobów medycznych wysokiego ryzyka, ich oceny przed i po wejściu na rynek
5.	Boers 2025	*Classification grid and evidence matrix for evaluating digital medical devices under the European union landscape*	Artykuł przeglądowy	Przedstawienie europejskiej siatki klasyfikacji cyfrowych wyrobów medycznych i ustrukturyzowanie wymagań dowodowych w tym zakresie. Dokument wyjaśnia metodologię opracowywania siatki i sposób, w jaki można jej używać do pomiaru wartości innowacyjnych technologii cyfrowego zdrowia na poziomie UE.

Lp.	Publikacja	Tytuł	Rodzaj publikacji	Zakres przedmiotowy
6.	Martelli 2017	*Hospital-based health technology assessment in France: A focus on medical devices,*	Artykuł przeglądowy	Stan obecny oraz możliwe ulepszenie planu szpitalnej oceny technologii medycznych (ang. hospital-based health technology assessment, hb-HTA) wyrobów medycznych we Francji.

Dodatkowo, w ramach przeglądu systematycznego zidentyfikowano informacje dotyczące metod oceny wyrobów medycznych w wybranych krajach. Aby uzupełnić i pogłębić te dane przeprowadzono wyszukiwanie na stronach agencji HTA oraz instytucji rządowych. Celem było zebranie bardziej szczegółowych i aktualnych informacji na temat praktyk oceny wyrobów medycznych w poszczególnych systemach ochrony zdrowia – w tym kryteriów oceny, stosowanych metodologii oraz specyficznych rozwiązań – które mogą nie być w pełni odzwierciedlone w literaturze naukowej. Odnaleziono i poddano analizie dokumenty pochodzące z Francji, Niemiec, Wielkiej Brytanii, Kanady i Australii.

3.3. Podsumowanie

Ocena kliniczna wyrobów medycznych w ramach HTA charakteryzuje się dużą zmiennością w zakresie rodzaju dowodów naukowych wykorzystywanych do potwierdzania skuteczności i bezpieczeństwa analizowanych technologii. Różnorodność ta wynika zarówno z charakterystyki samych wyrobów, jak i z ograniczeń metodologicznych i etycznych dotyczących prowadzenia badań, szczególnie badań randomizowanych z grupą kontrolną (RCT). W przeprowadzonym przeglądzie systematycznym odnoszącym się do oceny klinicznej wyrobów medycznych, analizowano publikacje dotyczące różnych klas i typów wyrobów medycznych, identyfikując zależności pomiędzy klasą ryzyka, funkcją wyrobu a wymaganiami dotyczącymi dowodów klinicznych.

Na podstawie analizy wyników przeglądu systematycznego można zauważyć powiązania między rodzajem stosowanych w ocenach HTA dowodów klinicznych a specyfiką ocenianych wyrobów medycznych. Zależności te uwzględniają zarówno klasę ryzyka wyrobu, jak i jego funkcję, a także charakter technologii, zwłaszcza w kontekście wyrobów cyfrowych i opartych na sztucznej inteligencji.

Wyniki przeglądu wskazują, iż w ocenie klinicznej wyrobów medycznych klasy III (wysokiego ryzyka), preferowane są dane z RCT lub dobrze zaprojektowanych długoterminowych badań prospektywnych. Badania RCT stanowią w tym przypadku „złoty standard" ponieważ wyroby te często ingerują bezpośrednio w organizm pacjenta lub są stosowane w krytycznych sytuacjach medycznych, co wymaga solidnego potwierdzenia skuteczności i bezpieczeństwa. W przypadku takich wyrobów, agencje HTA często wymagają również długoterminowych danych dotyczących bezpieczeństwa.

W przypadku wyrobów klasy I i II (niższego ryzyka) akceptowane są znacznie częściej dane obserwacyjne do potwierdzenia bezpieczeństwa i skuteczności, szczególnie tam, gdzie przeprowadzenie klasycznego RCT jest utrudnione lub niepraktyczne. Brak RCT jest akceptowany również, jeśli produkt ma analogiczne odpowiedniki o znanym profilu bezpieczeństwa lub gdy jego działanie jest dobrze ugruntowane technicznie. Dla wyrobów medycznych o charakterze pomocniczym, monitorującym lub diagnostycznym, podstawą oceny mogą być badania walidacyjne, dowody RWE czy też testy techniczne. W tych grupach rzadziej wymaga się RCT, co wynika z niższego ryzyka i często bardziej wspierającej roli wyrobu.

Zatem, im wyższa klasa ryzyka wyrobu medycznego, tym większe są wymagania co do jakości dowodów klinicznych, co jest spójne z zasadą proporcjonalności ryzyka do rygoru oceny. Natomiast, choć istnieją zarysy dotyczące wymogów dowodowych dla wyrobów medycznych, brak jest dokładnego podziału dopuszczalnych dowodów w zależności od przyporządkowania do klasy ryzyka, co prawdopodobnie stanowi skutek licznych ograniczeń w projektowaniu badań oraz wysokiego poziomu heterogeniczności wyrobów medycznych.

Zależności pomiędzy rodzajem dowodów a typem lub funkcją wyrobów medycznych

Różnice w rodzaju wymaganych dowodów wynikają także z funkcji wyrobu medycznego i jego typu niezależnie od klasy ryzyka. W przypadku wyrobów o funkcji diagnostycznej, takich jak testy laboratoryjne, obrazowanie czy algorytmy wspomagające diagnozę, badania RCT są stosunkowo rzadkie, nie tyle z powodu trudności metodologicznych, co z faktu, że skuteczność tych wyrobów jest oceniana inaczej niż leków. Kluczowe znaczenie dla tego typu wyrobów mają badania dokładności diagnostycznej: czułość, swoistość, NPV i PPV oraz analizy porównawcze z testami referencyjnymi. Oceniany jest też wpływ na

dalsze decyzje kliniczne (ang. *clinical utility*), tj. czy wyrób zmienia ścieżkę diagnostyczną, przyspiesza leczenie lub ogranicza potrzebę dalszych badań.

W przypadku urządzeń terapeutycznych (np. stymulatory, pompy insulinowe, lasery, sprzęt rehabilitacyjny), tam, gdzie jest to możliwe, preferowane są badania RCT - uznawane za dowody o największym znaczeniu, ale dopuszczalne są również dane obserwacyjne, rejestry i dowody z rzeczywistej praktyki klinicznej (RWE) a także badania dotyczące poprawy jakości życia i wskaźników funkcjonalnych. Ten typ wyrobów wymaga dowodów pokazujących nie tylko skuteczność, ale także poprawę komfortu i bezpieczeństwa użytkowania.

W grupie wyrobów chirurgicznych i implantów, badania RCT, choć najbardziej pożądane, są trudne do przeprowadzenia z przyczyn etycznych i praktycznych. Trudno tu o zaślepienie a randomizacja napotyka opór ze strony pacjentów i klinicystów. Z tego względu źródłem danych dla tego typu wyrobów obok RCT są obserwacyjne badania kohortowe, rejestry, porównania historyczne i dane z codziennej praktyki klinicznej. Ocena natomiast skupia się na wskaźnikach długoterminowych tj. trwałości i bezpieczeństwie.

Wyroby medyczne będące oprogramowaniem medycznym lub systemem wspomagania decyzji (SaMD) oceniane są na podstawie badań użyteczności, walidacji technicznej oraz wpływie na proces decyzyjny. RCT są rzadkie ze względu na trudności w prowadzeniu badań RCT (ale pożądane w przypadku wyrobów wysokiego ryzyka), dowody często opierają się na symulacjach, testach scenariuszowych i modelowaniu. W przypadku tej grupy wyrobów medycznych ocena efektywności może obejmować m.in. czas podjęcia decyzji, trafność diagnozy i integrację z systemem opieki zdrowotnej.

W ostatnich latach istotnym wyzwaniem dla oceny klinicznej stały się wyroby medyczne oparte na technologiach cyfrowych – w tym oprogramowanie jako wyrób medyczny (SaMD), aplikacje zdrowotne, systemy oparte na sztucznej inteligencji oraz inne wyroby takie jak urządzenia *wearable* i sensory. Proces ich oceny ewoluuje, dostosowując się do specyfiki tych innowacji.

Dla oprogramowania medycznego dominują badania techniczne i walidacyjne, które skupiają się na poprawności działania algorytmów i stabilności systemu. Weryfikacja wpływu na proces decyzyjny w medycynie staje się kluczowym kryterium, jednak klasyczne RCT są w tym obszarze rzadkie ze względu na częste aktualizacje oprogramowania oraz trudności ze standaryzacją badań. Niemniej jednak, dla cyfrowych wyrobów medycznych wysokiego ryzyka RCT nadal są uznawane za złoty standard, a ich realizacja jest pożądana, gdy to możliwe. Coraz większą rolę odgrywają tu też dane z rzeczywistej praktyki (RWD/RWE), zwłaszcza w fazie po wprowadzeniu na rynek, do oceny zaangażowania użytkowników, efektywności w praktyce oraz długoterminowego bezpieczeństwa.

Aplikacje terapeutyczne (DTx), zwłaszcza te oferujące interwencje psychologiczne lub behawioralne, są oceniane z uwzględnieniem różnego typu dowodów. RCT są złotym standardem i często są wymagane, szczególnie, gdy aplikacja pełni rolę bezpośredniego narzędzia terapeutycznego, dostarczając klinicznie istotne wyniki. Jednak, ze względu na specyfikę i dynamiczny rozwój DTx, coraz częściej dopuszcza się badania obserwacyjne, badania przed-po (ang. *pre-post*), *quasi*-eksperymentalne, a także dane z pilotaży. Istnieje też tendencja do łączenia dowodów z badań klinicznych z danymi z rzeczywistej praktyki klinicznej (RWE), co pozwala ocenić skuteczność i wpływ DTx w codziennej praktyce klinicznej i procesach leczenia.

Systemy AI są najczęściej oceniane przez pryzmat walidacji analitycznej i technicznej (poprawność przetwarzania danych wejściowych) oraz walidacji klinicznej, która obejmuje ocenę wskaźników dokładności predykcyjnej, takich jak czułość, swoistość, wartość predykcyjna dodatnia (PPV) i ujemna (NPV). Arabia Saudyjska wymaga również wykazania powiązania klinicznego wyniku generowanego przez AI z docelowym stanem klinicznym, opierając się na literaturze naukowej, badaniach klinicznych lub wytycznych. Istotnym problemem pozostaje brak transparentności modeli AI, a także ich zdolność do uczenia się i adaptacji w czasie rzeczywistym, co komplikuje tradycyjne metody oceny oparte na badaniach RCT. W związku z tym, podkreśla się konieczność ciągłego nadzoru nad urządzeniem AI po wprowadzeniu na rynek, aby monitorować jego bezpieczeństwo i skuteczność w warunkach rzeczywistych, śledzić zdarzenia niepożądane oraz wydajność algorytmów.

Ograniczenia w prowadzeniu badań RCT dla wyrobów medycznych

Analiza wyników przeglądu wskazuje na szereg powtarzających się barier, które ograniczają możliwość przeprowadzenia randomizowanych badań klinicznych (RCT) dla wyrobów medycznych:

- **Trudności etyczne** – w niektórych obszarach, takich jak chirurgia, zastosowanie grupy kontrolnej z placebo jest nieetyczne lub niemożliwe ze względu na charakter interwencji.
- **Problemy metodologiczne** – wyzwania związane z zapewnieniem zaślepienia oraz wpływem operatora (np. efekt krzywej uczenia się) utrudniają uzyskanie wiarygodnych wyników.
- **Szybki cykl życia technologii** – wyroby medyczne często są modyfikowane lub zastępowane nowszymi wersjami, co powoduje, że wyniki RCT mogą stać się nieaktualne jeszcze przed ich publikacją.
- **Ograniczenia populacyjne** – niektóre wyroby są stosowane w bardzo wąskich wskazaniach klinicznych, co znacząco utrudnia rekrutację odpowiedniej liczby pacjentów do badania.

Dodatkowe wyszukiwanie

Wyniki dodatkowego wyszukiwania potwierdzają wiele zidentyfikowanych w przeglądzie systematycznym problemów i trendów (ograniczenia RCT, rola RWE, specyfika cyfrowych wyrobów medycznych) oraz poszerzają wiedzę o szczegółowe wyzwania i rekomendacje dotyczące pediatrycznych i sierocych wyrobów medycznych, metod optymalizacji badań klinicznych (duże proste RCT) i różnice w podejściach regulacyjnych w Europie, co jest kluczowe dla pełnego zrozumienia obrazu oceny wyrobów medycznych.

Analiza dodatkowych treści potwierdziła istniejące bariery w prowadzeniu RCT dla wyrobów medycznych, takie jak: trudności etyczne, problemy metodologiczne (zaślepienie, krzywa uczenia się), szybki cykl życia technologii oraz ograniczenia populacyjne. Nową informację stanowi natomiast rozszerzenie dotyczące pediatrycznych i sierocych wyrobów medycznych. Podkreślono, że rozporządzenie MDR, mimo intencji zwiększenia bezpieczeństwa, przyczyniło się do niedoboru tych wyrobów na rynku europejskim ze względu na zbyt restrykcyjne wymagania dla małych populacji, wysokie koszty oceny zgodności i długi czas certyfikacji, co stanowi istotne poszerzenie kontekstu ograniczeń populacyjnych.

Dodatkowe publikacje wprowadzają szczegółowe wytyczne dla pediatrycznych wyrobów medycznych, wskazując na brak możliwości uniwersalnego podejścia i konieczność dostosowania poziomu dowodów do specyfiki wyrobu. Potwierdza się, że RCT są „złotym standardem", ale ich przeprowadzenie jest często niemożliwe, co zmusza do akceptacji innych rodzajów badań (np. badania porównawcze z kontrolą/bez, serie przypadków). Dodatkowo, rekomendowana jest ekstrapolacja danych z badań u dorosłych oraz tworzenie europejskich rejestrów pacjentów pediatrycznych dla nadzoru po wprowadzeniu do obrotu.

Odnalezione informacje o sierocych wyrobach medycznych, wskazują na brak ich formalnej definicji w Unii Europejskiej, problem stosowania *off-label* i kluczową rolę ekspertów pediatrycznych w doradztwie i tworzeniu specyficznych ścieżek oceny.

W ramach optymalizacji badań wprowadzono koncepcję „dużych prostych badań RCT", które poszerzają metodykę badań klinicznych o maksymalne uproszczenie zbierania danych poprzez integrację z rutynowymi danymi z systemów opieki zdrowotnej (RWD/RWE), co potwierdza trend akceptacji i rosnącej roli RWE w ocenie wyrobów medycznych.

Istotne informacje pokazuje też porównanie podejścia UE i USA wskazujące, że w USA do oceny wyrobów medycznych wymagana jest efektywność (np. RCT z grupą porównawczą), podczas gdy w UE rozporządzenie MDR skupia się głównie na bezpieczeństwie i korzyściach z normalnego użytkowania, bez prawnego wymogu dowodów porównawczych. Mimo to, rekomendowane są wczesne i wysokiej jakości RCT dla potrzeb refundacyjnych.

Dostarczono również konkretnych danych z ankiety wśród organizacji HTA, pokazując, że tylko niektóre kraje europejskie wymagają RCT dla cyfrowych wyrobów medycznych, podczas gdy inne akceptują szerszy zakres projektów badawczych (hipotezy *non-inferiority*, badania jednoramienne, innowacyjne projekty), co poszerzyło wiedzę o różnicach w podejściach regulacyjnych w Europie.

Regulacje oceny klinicznej wyrobów medycznych – zagraniczne instytucje rządowe i agencje HTA

W analizowanych krajach badania RCT są preferowanym i najbardziej wiarygodnym źródłem danych klinicznych dla wyrobów medycznych, ponieważ pozwalają na minimalizowanie błędów i dają wysoki poziom

pewności co do wyników. Jednakże, w praktyce, nie zawsze możliwe lub etyczne jest przeprowadzenie RCT (np. w przypadku wyrobów o niskim ryzyku lub gdy dane z innych źródeł są wystarczające). W takich sytuacjach akceptowane są inne formy dowodów klinicznych, takie jak przeglądy literatury, dane po wprowadzeniu do obrotu (ang. post-market data), dane z badań obserwacyjnych i rejestrów. Natomiast w przypadku wyrobów medycznych o wyższym ryzyku i bardziej skomplikowanym zastosowaniu, badania RCT pozostają kluczowym elementem potwierdzającym skuteczność i bezpieczeństwo w ocenie klinicznej.

3.4. Kluczowe wnioski

Im wyższa klasa ryzyka wyrobu medycznego, tym większe są wymagania dotyczące jakości dowodów klinicznych, co jest zgodne z zasadą proporcjonalności. Mimo istniejących ogólnych wytycznych, nadal brakuje precyzyjnego podziału wymagań dowodowych w zależności od klasy ryzyka i typu wyrobu, co wynika z dużej heterogeniczności technologii oraz ograniczeń w projektowaniu badań.

1. **Brak jest uniwersalnego modelu oceny klinicznej wyrobów medycznych** – wymagania dotyczące rodzaju i jakości dowodów różnią się w zależności od ryzyka, funkcji, rodzaju wyrobu oraz możliwości metodologicznych. Odmiennie niż w przypadku leków, proces oceny wyrobów medycznych jest mniej ustrukturyzowany.
2. **Rodzaj i poziom dowodów powinien być proporcjonalny do klasy ryzyka wyrobu medycznego** – im wyższe ryzyko, tym silniejsze powinny być dowody (np. RCT), Należy jednak uwzględnić, że przeprowadzenie RCT nie zawsze jest możliwe, dlatego w uzasadnionych przypadkach dopuszczalne jest wykorzystanie dowodów niższej rangi.
3. **Dane obserwacyjne oraz dane rzeczywiste (RWD/RWE) są często wartościowe** – mogą stanowić istotne źródło informacji, zwłaszcza w sytuacjach, gdy prowadzenie RCT jest ograniczone. Dane pochodzące z rejestrów, obserwacji oraz codziennej praktyki klinicznej mają szczególne znaczenie w przypadku wyrobów medycznych o charakterze dynamicznym lub stosowanych w leczeniu chorób rzadkich.
4. **Ocena wyrobu medycznego powinna być dostosowana do jego przeznaczenia oraz funkcji klinicznej** – dla wyrobów diagnostycznych kluczowe znaczenie mają dane dotyczące dokładności diagnostycznej oraz wpływu na ścieżkę leczenia, natomiast nie zawsze wymagane są bezpośrednie dane o efektach klinicznych. Z kolei w przypadku wyrobów terapeutycznych niezbędna jest analiza wpływu na stan zdrowia pacjenta, jakość życia oraz bezpieczeństwo stosowania.
5. **Cyfrowe wyroby medyczne i oprogramowania wymagają elastycznego podejścia do oceny** – klasyczne modele HTA nie są w pełni adekwatne dla technologii opartych na AI, aplikacji mobilnych czy systemów wspomagania decyzji. W ich przypadku konieczne jest stosowanie alternatywnych metod oceny, takich jak badania użyteczności, symulacje czy analiza wpływu na decyzje kliniczne. Dynamiczny charakter tych technologii wymusza nowe podejście do walidacji.
6. **Potrzebne są bardziej realistyczne wymagania dla wyrobów pediatrycznych i sierocych** – utrzymywanie zbyt rygorystycznych wymagań dowodowych w małych populacjach może ograniczać dostępność do wyrobów medycznych. W ocenie HTA istotnym wydaje się rozważenie możliwości ekstrapolacji danych i szerszego zastosowania RWE w tych grupach pacjentów.
7. **W ocenie HTA wyrobów medycznych konieczna jest integracja różnych źródeł danych i form dowodów** – skuteczna ocena może wymagać łączenia danych z różnych źródeł: badań klinicznych, obserwacyjnych, walidacyjnych, technicznych i rzeczywistych. Brak jednego idealnego typu dowodu nie powinien uniemożliwiać oceny, jeśli całościowy obraz wspiera decyzję refundacyjną.
8. **Potrzeb stosowania uproszczonych i adaptacyjnych metod badawczych –** w kontekście wyrobów medycznych, zwłaszcza innowacyjnych, klasyczne badania RCT mogą być trudne do przeprowadzenia ze względu na specyfikę technologii, ograniczoną populację pacjentów lub dynamiczny charakter interwencji. Nowe podejścia, takie jak tzw. large simple trials (duże, uproszczone RCT) oraz integracja badań z rejestrami pacjentów, mogą stanowić skuteczną alternatywę, umożliwiającą generowanie wiarygodnych danych przy zachowaniu efektywności kosztowej i operacyjnej.

4. Dowody naukowe dotyczące procesów refundacji

W celu pozyskania dowodów naukowych dotyczących mechanizmów refundacji i polityk finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych, w tym rozwiązań cyfrowych, przeprowadzono przegląd systematyczny literatury.

4.1. Wyszukiwanie systematyczne

Metodyka

Wyszukiwanie przeprowadzono 14.02.2025 r. w bazach informacji medycznych: Medline (via Pubmed) oraz Embase (via Ovid) oraz wolnotekstowo. Zastosowane strategie wyszukiwania wraz z diagramem selekcji badań zostały przedstawione w załącznikach do niniejszego raportu (Rozdział 10.2). Selekcja publikacji została przeprowadzona w programie Catchii, niezależnie przez czterech analityków, a rozbieżności były rozstrzygane drogą konsensusu.

Selekcji publikacji dokonywano w oparciu o poniżej przedstawione kryteria włączenia i wykluczenia. Ze względu na specyfikę przeglądu, odstąpiono od zastosowania klasycznego schematu PICOS.

Tabela 7. Kryteria włączenia i wykluczenia

Kryteria włączenia	Kryteria wykluczenia
• Publikacje dotyczące procesu refundacji wyrobów medycznych określonych przez autorów publikacji jako innowacyjne i/lub cyfrowe; • Publikacje pełnotekstowe; • Publikacje w językach: polskim i angielskim.	• Publikacje dotyczące procesu refundacji wyrobów medycznych nieokreślonych przez autorów publikacji jako innowacyjne i/lub cyfrowe; • Publikacje odnoszące się wyłącznie do wyrobów medycznych określonych konkretną nazwą technologii i/lub nazwą handlową i/lub stosowanych w konkretnych jednostkach chorobowych; • Publikacje odnoszące się do rozważań na temat metod oceny wyrobów medycznych; • Abstrakty lub postery konferencyjne; • Publikacje w innych językach niż polski i angielski.

4.2. Charakterystyka publikacji włączonych do przeglądu

W ramach przeprowadzonego systematycznego przeglądu publikacji z zakresu polityk finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych odnaleziono łącznie 13 publikacji w tym:

- pięć publikacji dotyczących ogólnie innowacyjnych wyrobów medycznych (Messori 2024, Martin 2024, Angela 2024, Federici 2021, Arora 2021), gdzie odniesiono się do tematów, m.in. programów refundacyjnych oraz kryteriów oceny wyrobów medycznych (oraz dodatkowo jednej publikacji Myung 2023, w której omówiono ścieżkę oceny innowacyjnych technologii medycznych);
- siedem publikacji odnoszących się do cyfrowych technologii medycznych (Graff 2024, Schmidt 2024, Groene 2023, Mazei 2023, Mantovani 2023, Myung 2023, Njoku 2023, Kolasa 2020) poruszających tematy, m.in. regulacje prawne i refundację cyfrowych technologii medycznych.

Celem przedstawienia wyników z ww. publikacji w szerszym ujęciu z uwzględnieniem aktualnych rozwiązań organizacyjnych na świecie, w niniejszej analizie uwzględniono również dodatkowe źródła informacji tj. m.in. raporty, artykuły dostępne online (FDA 2025, Goldsack 2019, EDPS 2025, ISPOR 2013) wyszukane za pomocą wyszukiwarki Google.

Większość z publikacji włączonych do przeglądu systematycznego stanowią artykuły przeglądowe (w tym jeden systematyczny przegląd literatury), oryginalne i poglądowe, podsumowujące dotychczasowe badania i doświadczenia w zakresie innowacyjnych i cyfrowych wyrobów medycznych.

W tabeli poniżej zestawiono publikacje włączone do przeglądu wraz z charakterystyką obejmującą kraj analizowany w danej publikacji, rodzaj publikacji oraz jej zakres przedmiotowy. W części publikacji omawiano rozwiązania z kilku krajów, nie zawsze odnosząc się do jednego konkretnego państwa.

Tabela 8. Przegląd krajowych programów finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych (w tym cyfrowych) w ramach przeglądu systematycznego

Lp.	Publikacja	Kraj	Rodzaj publikacji	Zakres przedmiotowy
Innowacyjne wyroby medyczne				
1.	Messori 2024	Włochy (Toskania)	OA	Kryteria identyfikacji innowacyjnych wyrobów medycznych oraz potencjalnie innowacyjnych wyrobów medycznych klasy IIb, III lub aktywnie wszczepialnych na podstawie algorytmu stosowanego w Toskanii (przez podmiot Centro Operativo)
2.	Martin 2024	Francja	RA/PA	Kryteria definiowania innowacyjnych wyrobów medycznych. Programy wczesnego dostępu do innowacyjnych wyrobów medycznych (ang. FI, PECAN, PECT)
3.	Angela 2024	Włochy	OA	Definicje innowacyjnych wyrobów medycznych. Kryteria definiowania innowacyjnych wyrobów medycznych przy użyciu metody Delphi
4.	Federici 2021	Europa*	OA	Programy CED (ang. *coverage with evidence development*) dla wyrobów medycznych w Europie
5.	Arora 2021	Wielka Brytania	RA	Ścieżki wspierania innowacji w brytyjskim systemie NHS (wyzwania i sukcesy)
6.	Myung 2023	Korea Południowa	OA	Ścieżka oceny innowacyjnych technologii medycznych IHTAT (ang. *Innovative Health Technology Assessment Track)*
Cyfrowe technologie medyczne				
1.	Graff 2024	USA	RB	Kryteria wyboru technologii cyfrowych do oceny i refundacji przez płatników
2.	Schmidt 2024	Niemcy	PA	Programy dotyczące refundacji cyfrowych wyrobów medycznych w Niemczech (program DiGA, *Fast Track*)
3.	Groene 2023	Niemcy	RA	Refundacja cyfrowych wyrobów medycznych w Niemczech – przegląd i ocena
4.	Mazei 2023	Europa (różne kraje w tym Węgry)	RA	Zalecenia grupy roboczej ds. cyfryzacji zdrowia Węgierskiego Towarzystwa Ekonomii Zdrowia dotyczące działań mających na celu wspieranie wdrażania opartych na dowodach cyfrowych technologii zdrowotnych (ang. *Digital Health Technologies*) – rekomendacje dla Węgier
5.	Mantovani 2023	USA, Niemcy, Francja, UK, Australia	RA	Ścieżki dostępu i refundacji rozwiązań cyfrowych i diagnostyki *in vitro*
6.	Njoku 2023	Wielka Brytania	-	Ocena doświadczeń MŚP korzystających z programów akceleracyjnych w Wielkiej Brytanii
7.	Kolasa 2020	Świat	RA (SLR)	Kryteria oceny i rekomendacje dotyczące oceny innowacyjnych technologii zdrowotnych

*Skróty: OA, Original Article, oryginalny artykuł naukowy; MŚP, małe i średnie przedsiębiorstwa; PA, ang. Perspective Article, artykuł poglądowy; RA, ang. Review Article, Artykuł przeglądowy; RB, ang. Research Brief, Krótka analiza badawcza; SLR, Przegląd systematyczny; * Federici 2021: Wielka Brytania, Francja, Niemcy, Niderlandy, Hiszpania, Szwajcaria, Belgia.*

4.3. Wyniki

4.3.1. Innowacyjne wyroby medyczne

Definicja innowacji

Poniżej przedstawiono zestawienie informacji dotyczących definiowania innowacyjnych wyrobów medycznych opracowane na podstawie trzech publikacji. Wyniki zaprezentowano poprzez wskazanie odnalezionych materiałów źródłowych oraz skrótowe przedstawienie najistotniejszych informacji. Odnalezione treści materiałów źródłowych (publikacji, aktów prawnych wskazanych w publikacjach) zostały przetłumaczone z różnych języków obcych (angielskiego, francuskiego) na język polski, bez redakcji stylistycznej, celem wiernego odzwierciedlenia zawartych w dokumentach sformułowań, a zarazem minimalizacji ryzyka błędnej interpretacji treści.

Tabela 9 Definicje i kryteria innowacyjnych wyrobów medycznych (Messori 2024, Martin 2024, Angela 2024)

Lp.	Publikacja (Kraj)	Zakres przedmiotowy
Innowacyjne wyroby medyczne		
1.	**Messori 2024** (Włochy, Toskania)	Kryteria zaadaptowane przez region Toskanii, dotyczące wyrobów medycznych klasy IIb, III lub aktywnie wszczepialnych. <u>Definicja innowacyjnych wyrobów medycznych</u> Wyroby medyczne są uznane za innowacyjne, jeśli spełniają łącznie następujące kryteria: 1) Dostępność danych klinicznych porównujących nowy wyrób z dotychczasowym standardem leczenia (w tym celu dostępność badania RCT nie jest obowiązkowa i dopuszczalne są również porównania pośrednie, które mogą opierać się na porównaniu nowego urządzenia z historycznymi kontrolami lub na innych formach dowodów porównawczych różniących się od RCT (np. pomiar klinicznego punktu końcowego u tego samego uczestnika przed i po implantacji). 2) Wykazanie korzyści klinicznej i/lub ekonomicznej przekraczającej określony próg: (1) przykład A: inkrementalnych korzyści klinicznych, co najmniej 0,15 QALY (ang. *quality-adjusted life years*) na pacjenta, i/lub, (2) przykład B: korzyść ekonomiczną lub organizacyjną w postaci oszczędność w kosztach opieki zdrowotnej w wysokości co najmniej 2000 EURO dziennie. 3) Jeśli możliwe jest wyliczenie, wskaźnik efektywności kosztowej nie przekracza 60 000 EURO za jeden QALY lub zyskany rok życia. <u>Definicja potencjalnie innowacyjnych wyrobów medycznych</u> Potencjalnie innowacyjne wyroby medyczne to te, które nie spełniają powyższych kryteriów, ale zostały zaakceptowane do zakupu przez zespół ekspertów (*Centro Operativo*, składający się z 23 członków), na podstawie ich subiektywnej oceny klinicznej lub ekonomicznej wartości.
2.	**Martin 2024** (Francja) **Kodeks ubezpieczeń społecznych**	W publikacji odniesiono się do francuskiego Kodeksu ubezpieczeń społecznych i wskazano, że aby urządzenie było uważane za innowacyjne, musi spełniać kilka kryteriów, obejmujących demonstrację przełomowej innowacji w stosunku do istniejących technologii rynkowych, wczesną fazę dyfuzji charakteryzującą się brakiem wcześniejszego pokrycia systemu opieki zdrowotnej dla określonych wskazań, kompleksową ocenę bezpieczeństwa pacjenta i powiązanych ryzyk związanych z wyrobem medycznym oraz dążenie do istotnych celów klinicznych Oficjalna definicja „innowacyjności" określona została na podstawie francuskiego Kodeksu ubezpieczeń społecznych (fr. *Code de la sécurité sociale*) w art. R165-63 (z dnia 19.02.2015 r.) w celu określenia, które wyroby medyczne kwalifikują się do programów finansowania innowacyjnych technologii. Wyrób medyczny uznaje się za innowacyjny, jeśli spełnia poniższe warunki: 1) prezentuje **nowatorski charakter**, wykraczający poza zwykłą ewolucję techniczną, w porównaniu do istniejących technologii medycznych stosowanych w zadeklarowanych wskazaniach. 2) **znajduje się we wczesnej fazie wdrażania na rynek** (ang. *diffusion marked*), nie jest i nie był wcześniej finansowany ze środków publicznych w ramach deklarowanego wskazania. 3) **został poddany ocenie pod kątem bezpieczeństwa** dla pacjenta oraz potencjalnych zagrożeń związanych z jego użytkowaniem. 4) jego głównym celem jest **przynosić istotną korzyść kliniczną w zakresie efektu terapeutycznego, diagnostycznego lub prognostycznego**, **umożliwiając odpowiedź na niezaspokojoną lub niewystarczająco zaspokojoną potrzebę medyczną lub redukcję kosztów opieki zdrowotnej** dzięki korzyściom medyczno-ekonomicznym ocenianym pod względem efektywności lub wpływu budżetowego na koszty leczenia.
3.	**Angela 2024** (Włochy)	Nie wskazano definicji innowacyjnych wyrobów medycznych. W wyniku dwuetapowego procesu Delphi z udziałem panelu wielostronnego, zaproponowano zestaw kryteriów służących do określania innowacyjności wyrobów medycznych (na podstawie analizy programów finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych wdrożonych w różnych krajach): <u>Wpływ kliniczny:</u> 1) **ma na celu leczenie lub diagnostykę nieodwracalnie wyniszczającej lub letalnej choroby lub stanu klinicznego** [*konsensus na poziomie 75%*]; 2) **odpowiada na niezaspokojoną potrzebę**, ponieważ nie ma zatwierdzonych alternatywnych technologii medycznych (produktów leczniczych, wyrobów medycznych, kombinacji produktów lub innych technologii) dla tego samego wskazania [*konsensus na poziomie 96%*]; 3) **oferuje znaczące korzyści w porównaniu z istniejącymi alternatywnymi technologiami medycznymi pod względem poprawy istotnych wyników klinicznych** [*konsensus na poziomie 98%*]; <u>Jakość dowodów naukowych:</u> 4) **jest poparty dowodami dotyczącymi bezpieczeństwa i skuteczności klinicznej** [*konsensus na poziomie 79%*]; <u>Oddziaływanie organizacyjne:</u> 5) zapewnia istotne korzyści w porównaniu do dostępnych alternatyw, zwłaszcza pod względem wpływu na organizację lub procedury [*konsensus na poziomie 81%*]; <u>Wpływ ekonomiczny:</u> 6) ma znaczący wpływ ekonomiczny (tj. będzie mniej kosztowny niż obecny standard opieki, zapewniający jednocześnie takie same korzyści) [*konsensus na poziomie 80%*]; 7) przyrostowy współczynnik opłacalności wyrobu medycznego jest wyższy lub akceptowalny w porównaniu z obecnym standardem opieki [*konsensus na poziomie 71%*].

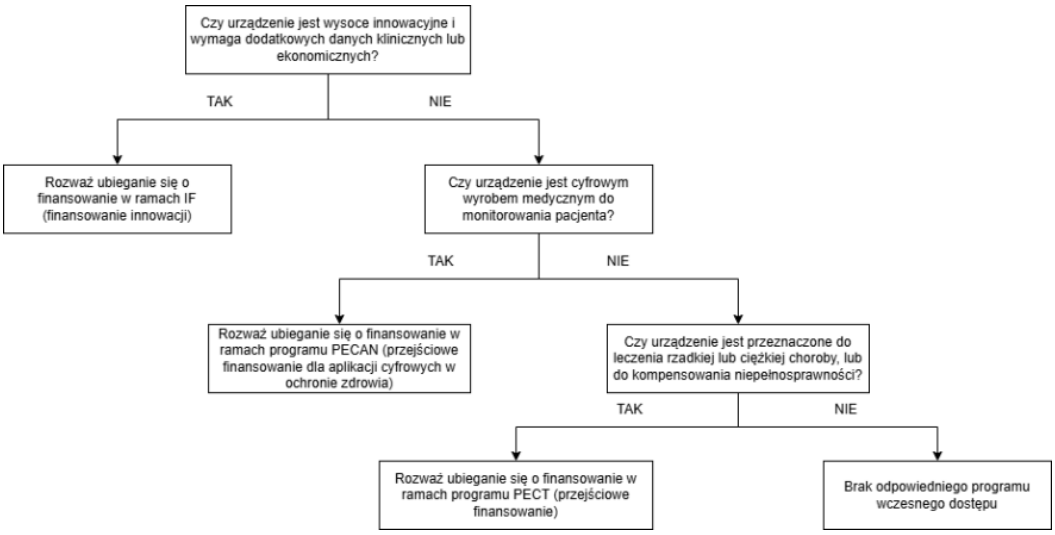
Programy finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych

Poniżej przedstawiono zestawienie kluczowych informacji z sześciu publikacji dotyczących innowacyjnych wyrobów medycznych (Messori 2024, Martin 2024, Angela 2024, Federici 2021, Myung 2023, Arora 2021). Zebrany materiał dowodowy obejmuje:

- ogólną charakterystykę programów finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych, tzw. programów finansowania za rozwój dowodów naukowych (ang. *coverage with evidence development*, CED) (Wielka Brytania, Francja, Niemcy, Niderlandy, Hiszpania, Szwajcaria, Belgia);
- charakterystykę poszczególnych programów funkcjonujących w praktyce w omawianych krajach (Francji, Hiszpanii, Belgii, Korei Południowej).
- wyzwania dotyczące finansowania innowacji.

Tabela 10. Programy finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych (Messori 2024, Martin 2024, Angela 2024, Federici 2021, Myung 2023, Arora 2021)

Lp	Publikacja (Kraj)	Programy dotyczące finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych
Innowacyjne wyroby medyczne		
1.	**Martin 2024** (Francja)	**Program finansowania innowacji (fr. *Forfait Innovation*, ang. *Innovation Funding*, FI)** – wprowadzony w swojej ostatecznej wersji w 2015 roku. W ramach FI stosuje się przyjętą na podstawie art. R165-63 francuskiego Kodeksu ubezpieczeń społecznych (fr. *Code de la sécurité sociale*) definicję „innowacyjności" (patrz Tabela 8). Program IF zapewnia tymczasowe finansowanie (ang. *temporary coverage*) innowacyjnego wyrobu medycznego, pod warunkiem zobowiązania się firmy do przeprowadzenia badania klinicznego w celu zgromadzenia brakujących danych klinicznych i medyczno-ekonomicznych. Program IF można sklasyfikować jako program refundacji warunkowej rozwoju dowodów (ang. *Coverage with Evidence Development,* CED), dotyczący interwencji, które nie mają jeszcze wystarczających danych, aby uzyskać standardową refundację. Funkcjonowanie programu IF opiera się na trzech zasadniczych filarach: 1) Wyjątkowe finansowanie przed przyznaniem standardowej refundacji w systemie opieki zdrowotnej, 2) Ograniczenie finansowania w czasie (do okresu trwania badania klinicznego), 3) Obowiązek realizacji badania klinicznego lub medyczno-ekonomicznego. Ocena kwalifikowalności do programu: odbywa się na podstawie trzech łącznie spełnionych kryteriów, określonych w rozporządzeniu krajowym: (1) rodzaj technologii, (2) innowacyjny charakter technologii, (3) trafność zaproponowanego badania klinicznego lub ekonomicznego. Typ technologii medycznych: innowacyjne wyroby medyczne, cyfrowe wyroby medyczne, wyroby medyczne do diagnostyki *in vitro* (IVMD) lub procedury medyczne na wczesnym etapie rozwoju klinicznego z oznaczeniem CE lub bez. Rozwiązania obejmujące połączenie wyrobu medycznego lub IVMD z procedurą medyczną, również kwalifikują się do programu. Finansowanie: (1) częściowe lub całkowite pokrycie kosztów wyrobu medycznego i związanej z nim opieki dla pacjentów objętych badaniem oraz dodatkowej kohorty, aby zapobiec przerwom w dostępie do czasu zwrotu kosztów wyrobu medycznego, (2) koszt badania klinicznego ponoszony przez sponsora. Warunki dostępu: (1) Zaangażowanie producenta w przeprowadzenie badania w celu uzupełnienia brakujących danych klinicznych lub ekonomicznych, (2) Producent zobowiązuje się do złożenia LPPR wniosku o włączenie w ciągu 12 miesięcy od zakończenia badania.
		Finansowanie przejściowe (fr. *The Prise en Charge Transitoire,* PECT) – wprowadzony w 2021 r. PECT stanowi dodatkowy program wczesnego dostępu, zaprojektowany w celu umożliwienia tymczasowego refundowania wyrobu medycznego posiadającego znak CE, przeznaczonego do leczenia rzadkich lub ciężkich chorób albo do kompensacji niepełnosprawności. Ocena kwalifikowalności do programu: spełnienie siedmiu łącznych kryteriów: (1) leczenie chorób rzadkich lub ciężkich lub kompensacji niepełnosprawności, (2) zaspokajanie UNN, lub niewystarczająco zaspokojonej potrzeby medycznej, (3) potencjalna znaczna poprawa zdrowia pacjenta lub kompensacja niepełnosprawności, (4) wyróżniający się charakter innowacyjny (wykraczający poza zwykłą ewolucję techniczną), (5) potencjalne znaczące korzyści kliniczne przy akceptowalnym profilu bezpieczeństwa, (6) trwające badania dostarczające dowodów w ciągu 12 msc., (7) nie może dotyczyć cyfrowych WM ani telemonitoringu medycznego. Typ technologii medycznych: innowacyjne wyroby medyczne z oznaczeniem CE. Finansowanie: całkowite pokrycie wyrobu medycznego po wynegocjowaniu kwoty „rekompensaty" między Ministerstwem Zdrowia a producentem. Warunki dostępu: (1) WM musi posiadać oznakowanie CE, (2) WM nie jest objęty jako część JGP (DRG); (3) producent zobowiązuje się do złożenia LPPR wniosku o włączenie w ciągu 12 miesięcy od przejściowego wniosku o objęcie ubezpieczeniem.

Lp	Publikacja (Kraj)	Programy dotyczące finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych
	Martin 2024 (Francja)	**Finansowanie przejściowe aplikacji cyfrowych w ochronie zdrowia (fr. *Prise en Charge Anticipée Numerique des Dispositifs Médicaux,* PECAN)** – wprowadzony w 2022 r. PECAN obejmuje dwie kategorie wyrobów medycznych, posiadających oznakowanie CE : 1) cyfrowe wyroby medyczne o przeznaczeniu terapeutycznym, które mają zostać włączone do LPPR. 2) cyfrowe wyroby medyczne przeznaczone do monitorowania pacjentów bez celu terapeutycznego, które nie mają celu terapeutycznego i są przeznaczone do LATM. W ramach programu możliwe jest finansowanie przez 12 miesięcy. Ocena kwalifikowalności do programu: (1) posiadanie oznakowania CE, (2) domniemana innowacyjność pod względem korzyści klinicznych lub postępu organizacji opieki zdrowotnej, oparta na wstępnie dostępnych danych i w porównaniu do potencjalnych odpowiedników. Dodatkowo wymagane jest uzyskanie certyfikatu Agencji ds. Cyfrowego Zdrowia (fr. *Agence du Numérique en Santé*, ANS) dotyczącego bezpieczeństwa i interoperacyjności danego cyfrowego wyrobu medycznego. Typ technologii medycznych: dwie kategorie innowacyjnych cyfrowych urządzeń **z oznaczeniem CE**: (1) cyfrowe wyroby medyczne z celem terapeutycznym, (2) cyfrowe wyroby medyczne do celów monitorowania pacjenta, bez celu terapeutycznego. Finansowanie: płatność ryczałtowa (ang. *lump sum payment*) na rzecz operatora cyfrowego WM, dystrybutora detalicznego lub operatora telemonitoringu medycznego. Warunki dostępu: (1) (WM musi posiadać oznakowanie CE, (2) w przypadku cyfrowych WM o zastosowaniu terapeutycznym: producent zobowiązuje się do złożenia wniosku o włączenie LPPR w ciągu 6 msc. od złożenia wniosku o objęcie refundacją przejściową, (3) w przypadku cyfrowych WM do monitorowania pacjentów: producent zobowiązuje się do złożenia wniosku o włączenie LATM w ciągu 9 miesięcy od złożenia wniosku o objęcie refundacją przejściową.
		Łącznie w publikacji opisano 3 ścieżki dostępu do innowacyjnych wyrobów medycznych: IF, PECT, PECAN. Ubieganie się o finansowanie w ramach poszczególnych programów wymaga uwzględnienia specyficznych potrzeb i wymagań dla podmiotu wnioskującego o finansowanie. Na schemacie poniżej przedstawiono uproszczony proces decyzyjny. **Rysunek 4. Diagram wyboru programu wczesnego dostępu finansowania wyrobów medycznych we Francji** 
2.	**Federici 2021** (Europa)	**Finansowanie za rozwój dowodów naukowych (ang. C*overage with Evidence Development*, CED)** W publikacji Federici 2021, której celem było zbadanie rozpowszechnienia programów CED dla wyrobów medycznych w Europie oraz czynników sprzyjających lub utrudniających ich wykorzystanie, autorzy przeprowadzili ankietę wśród decydentów poszczególnych krajów dotyczącą wyzwań związanych z programami CED (pytania dotyczyły, m.in. selekcji wyrobów medycznych do schematów CED, zabezpieczenia finansowaniem, określenia projektu badania, analizy danych, czy też dalszego funkcjonowania wyrobu medycznego po zakończenia programu. Respondenci odpowiadali na pytania w skali Likerta (od 0 „nie jest to wyzwaniem" do 5 „znaczące wyzwanie"). **Wyzwania związane z programami CED dla wyrobów medycznych:** Jako największe wyzwania związane z programami CED respondenci wskazali: • wycofanie wyrobu z rynku, gdy dowody wskażą, że wyrób nie jest (kosztowo) efektywny (średnia 3 pkt, SD=0,89),

Lp	Publikacja (Kraj)	Programy dotyczące finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych
		• metoda ex-ante (prospektywna) schematu CED oparta na możliwych wynikach (średnia 3 pkt, SD=1,00), • określenie odpowiednich miar wyników, dla których zbierane są dane (średnia 2,61 pkt, SD=1,27). Jednocześnie autorzy wskazali, że w przypadku większości ocenianych wyzwań wyniki obserwowano w całym zakresie skal Likerta, co wskazuje na brak wyraźnych wzorców, co przy uwzględnieniu małej liczebności próby powoduje ograniczoną pewność w interpretacji wyników. **Implementacja programu CED:** Zidentyfikowano znaczne różnice w sposobach finansowania programów CED i przypisywania ról interesariuszom: • Finansowanie: – koszty świadczenia opieki oraz zbierania i analizy danych były finansowane przez centralne instytucje zdrowotne (Wielka Brytania), – producenci wyrobów medycznych ponosili koszty zbierania i analizy danych (Francja, Niemcy, Belgia, Szwajcaria), – finansowanie pochodziło częściowo lub całkowicie z budżetów publicznych (np. poprzez regionalne agencje HTA lub ministerstwa zdrowia) (Hiszpania, Niderlandy). • Opracowanie protokołu badań: – protokół badania był opracowywany przez zewnętrzne centra oceny na zlecenie organów centralnych (Wielka Brytania), – opracowanie protokołu leżało po stronie wnioskodawcy (producenta lub świadczeniodawcy), ale było oceniane i zatwierdzane przez władze zdrowotne (Francja, Belgia, Niderlandy). **Ewaluacja programu CED:** We wszystkich 7 krajach stosunkowo niewiele uwagi poświęcano ewaluacji programów: (1) Ocena w trakcie trwania programu - tylko w niewielu jurysdykcjach istniały jasne zasady dotyczące monitorowania jakości i postępu zbierania danych podczas trwania programu, (2) Ocena po zakończeniu programu**:** Formalne zasady dotyczące sposobu analizy wyników programu i podejmowania decyzji o trwałej refundacji były rzadkie. Często brakowało również zdefiniowanych „reguł zatrzymania" (ang. *stopping rules*) lub procedur ponownej oceny technologii na podstawie zebranych dowodów. Inne obszary tematyczne oceniane w badaniu omówiono w ramach podrozdziału 6.3.3. (m.in. Ocena zasadności uruchomienia programu CED i Projektowanie programu CED).
		Program tymczasowego finansowania wyrobu medycznego w Belgii (be. *Beperkte klinische toepassing, BKT*) W ramach BKT programy CED mogą być inicjowane odgórnie w wyniku oceny technologii przeprowadzonej przez CTIIMH działające przy RIZIV. Oddolne wnioski o rozpoczęcie programów CED mogą być składane przez naukowców lub uczestniczące szpitale; jednakże takie programy mogą być formalnie zainicjowane wyłącznie przez CTIIMH przy RIZIV. Po rekomendacji CTIIMH dotyczącej rozpoczęcia programu, minister zdrowia podejmuje decyzję w sprawie tymczasowej refundacji usługi opieki zdrowotnej oraz metod refundacji, które mają być zastosowane. Szpitale biorące udział w programie nie otrzymują żadnego finansowania na zbieranie i analizę danych. Wynikiem całego programu jest potwierdzenie statusu refundacji badanej technologii medycznej. Kryteria włączenia do programu: (1) innowacyjność technologii, (2) wykonalność odpowiedzi na zidentyfikowane pytania badawcze w ramach czasowych badania.
		Badania gromadzące dowody po uruchomieniu w Hiszpanii (es. *Estudios de Monitorización*, EM) Technologie są identyfikowane przez Narodową Komisję ds. Świadczeń, Ubezpieczeń i Finansowania (es. *Comisión de Prestaciones, Aseguramiento y Financiación*, CPAF) Ministerstwa Zdrowia i wybierane przez Dyrekcję Generalną wspólnego portfela usług Narodowego Systemu Zdrowia i Farmacji (es. *Dirección General de Seguros y Fondos de Pensiones*, DGPSPh). Obszary zainteresowania są identyfikowane na podstawie poprzednich raportów HTA z Hiszpańskiej Sieci Oceny Technologii Medycznych i Usług Narodowego Systemu Zdrowia (RedETS). Stosowane jest ilościowe narzędzie priorytetyzacji. Regionalne agencje HTA otrzymują fundusze na zbieranie danych, analizę i raportowanie od centralnego Ministerstwa Zdrowia. Cena urządzenia jest negocjowana indywidualnie przez regiony uczestniczące w programie. Szpitale uczestniczące nie otrzymują dodatkowego finansowania na zbieranie danych. Wynikiem całego programu jest potwierdzenie statusu refundacji badanej technologii medycznej na tych samych warunkach użytkowania, zmiany warunków użytkowania lub wycofanie technologii z pakietu świadczeń. Kryteria są definiowane w 4 domenach: (1) populacja/użytkownicy końcowi (np. obciążenie chorobami, częstotliwość użytkowania), (2) technologia (innowacyjność, różne oczekiwania dotyczące użytkowania), (3) bezpieczeństwo/skutki niepożądane (np. kwestie bezpieczeństwa, niewykryte skutki niepożądane), (4) organizacja/koszty i inne implikacje (np. krzywa uczenia się, wpływ finansowy, wpływ organizacyjny lub strukturalny).
3.	**Myung 2023** (Korea Południowa	**Ścieżka oceny innowacyjnych technologii medycznych (ang. *Innovative Health Technology Assessment Track*, IHTAT)** – wprowadzony w 2019 r. Celem ścieżki jest wdrożenie modelu zbliżonego do mechanizmu pokrycia kosztów przy jednoczesnym gromadzeniu dodatkowych danych (CED). Ścieżka umożliwia wprowadzenie na rynek innowacyjnych technologii medycznych (w tym cyfrowych) o udowodnionym bezpieczeństwie, które są następnie ponownie oceniane na podstawie dowodów klinicznych zbieranych przez 3 do 5 lat. IHTAT obejmuje technologie takie jak roboty, drukowanie 3D, AI, terapie cyfrowe.

Lp	Publikacja (Kraj)	Programy dotyczące finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych
		W publikacji nie wskazano poszczególnych etapów ścieżki tego mechanizmu finansowania. Ocena innowacyjnego wyrobu medycznego odnosi się do kompleksowej oceny innowacyjności i potrzeb społecznych biorąc pod uwagę poniższe kryteria: 1. ciężkość choroby, 2. rzadkość choroby, 3. ocena ryzyka zastosowania wyrobu przez pacjenta, 4. obciążenie finansowe pacjenta, 5. ocena poprawy jakości życia, 6. ocena alternatywnych technologii, 7. ocena skutków wprowadzenia innowacyjnej technologii medycznej.
4.	**Arora 2021** (Wielka Brytania)	**Wyzwania dotyczące finansowania innowacji** Przedstawiono zarys głównych ścieżek innowacji w Wielkiej Brytanii, działających na poziomie lokalnym, regionalnym i krajowym. Omówiono w jakim stopniu ścieżki innowacji odpowiadają na obecne wyzwania, przed którymi stoją innowatorzy, a także obszary do poprawy i przyszłych działań. W Wielkiej Brytanii ustanowiono kilka ścieżek, działających na wszystkich etapach procesu innowacji, pomimo tego nadal istnieją znaczne bariery utrudniające uczynienie NHS najbardziej innowacyjnym systemem opieki zdrowotnej. Ścieżki wdrażania innowacji mierzą się z wyzwaniami takimi jak: 1) **Zaangażowanie, interesariuszy, biurokracji NHS i interoperacyjności**: jedną z najważniejszych barier wdrażania innowacji jest rozdrobniona natura NHS, która stanowi barierę szczególnie dla małych i średnich przedsiębiorstw, nieświadomych znaczących różnic regionalnych, od dostępnej infrastruktury cyfrowej po struktury biurokratyczne. Kluczowe wyzwania obejmują także regionalne różnice (np. technologie cyfrowe szybciej rozwijają się na obszarach miejskich takich jak Londyn i Manchester), złożoność dostępu do rynku (firmy potrzebują wsparcia w testowaniu i wdrażaniu produktów) brak interoperacyjności systemów NHS (trudności z integracją cyfrową opieki zdrowotnej). 2) **Prototypowanie i testowanie**: wyzwania w rozwoju innowacji medycznych w NHS obejmują skomplikowany proces wdrażania oraz bariery w fazie prototypowania i testowania. Począwszy od wczesnych badań klinicznych aż po zatwierdzenie regulacyjne, niezbędne badania bezpieczeństwa i jakości mogą stanowić istotną barierę dla innowatorów nieposiadających znajomości systemu i funduszy. Szczególnym problemem są wysokie koszty i długi czas niezbędny do uzyskania zatwierdzenia regulacyjnego. Kluczowym wyzwaniem pozostaje proces oceny technologii medycznych (HTA) prowadzony przez NICE, który dla wielu innowatorów jest nieprzejrzysty i trudny do przejścia. **Dostęp do danych klinicznych**: kolejną istotną barierą na etapie rozwoju innowacji jest umożliwienie dostępu do danych pacjentów przy jednoczesnym zachowaniu ich poufności. Kluczowe znaczenie ma interoperacyjność systemów, czyli jednolitość danych, umożliwiająca ich łatwe udostępnianie i wykorzystywanie w różnych placówkach. Od 2019 r. organizuje się działania mające na celu ustanowienie ram zarządzania danymi zdrowotnymi NHS. Praca nad poprawą interoperacyjności systemów NHS wciąż ma długą drogę do przebycia i pozostaje to główną barier dla innowacji w Wielkiej Brytanii. **Dostęp do finansowania i wsparcia**: wskazano, że większość dostępnych ścieżek innowacji skupia się na późniejszych fazach, przez co start-upy i naukowcy mogą mieć trudności z pozyskaniem kapitału. Brak wystarczających funduszy na wczesne etapy innowacji pozostaje istotnym ograniczeniem dla rozwoju nowych technologii medycznych w Wielkiej Brytanii. 3) **Zachęcanie do innowacji**: wyzwania związane z promowaniem innowacji w NHS obejmują potrzebę zachęcania klinicystów do angażowania się w proces innowacji, co jest często pomijane w tradycyjnych ścieżkach innowacyjnych, które koncentrują się na uczelniach i przemyśle.

Jako element wspólny przytoczonych programów i mechanizmów finansowania innowacyjnych technologii medycznych (w tym wyrobów medycznych i technologii cyfrowych) można wskazać, że każdy z nich ma na celu zwiększenie dostępu pacjentów do innowacyjnych rozwiązań, jednocześnie zapewniając gromadzenie danych potrzebnych do podejmowania decyzji refundacyjnych.

W opracowaniu i wdrożeniu ścieżki finansowania dedykowanej innowacyjnym wyrobom medycznym kluczową rolę odgrywa struktura systemu opieki zdrowotnej, polityka danego kraju i jego nastawienie do przeznaczania nakładów finansowych na innowacje, czy też poziom innowacyjności analizowanych technologii medycznych.

Przed wdrożeniem innowacyjnego wyrobu medycznego konieczna jest dokładna analiza dostępnych źródeł finansowania w kontekście uwarunkowań prawnych, ekonomicznych i organizacyjnych danego rynku. Zrozumienie tych czynników pozwala na wybór optymalnej ścieżki finansowania, co ma kluczowe znaczenie dla skutecznego wprowadzenia innowacyjnych technologii medycznych do praktyki klinicznej.

4.3.2. Cyfrowe technologie medyczne

Innowacje cyfrowe odgrywają kluczową rolę w transformacji opieki zdrowotnej, wprowadzając nowe technologie i rozwiązania, które poprawiają jakość usług medycznych, zwiększają jej efektywność oraz ułatwiają dostęp do opieki dla pacjentów. Cyfrowe technologie zdrowotne (ang. *Digital Health Technologies, DHT*) i terapie cyfrowe (ang. *Digital Therapeutics*, DTx) to dwa pojęcia związane

z wykorzystaniem technologii cyfrowych w opiece zdrowotnej, jednak różnią się one pod względem zakresu, celu oraz wymagań dotyczących dowodów klinicznych na potrzeby refundacji (Goldsack 2019).

Cyfrowe technologie zdrowotne (DHT) to narzędzia i usługi wykorzystujące technologie informacyjno-komunikacyjne w celu poprawy opieki zdrowotnej, zarządzania zdrowiem oraz promowania zdrowego stylu życia. Obejmują one szeroki zakres rozwiązań, takich jak, m.in. elektroniczne rejestry zdrowotne, telemedycyna, aplikacje mobilne związane ze zdrowiem, urządzenia noszone monitorujące parametry zdrowotne, zaawansowane systemy analizy danych czy rozwiązania oparte na sztucznej inteligencji. Celem tych technologii jest zwiększenie dostępu do opieki medycznej, poprawa jakości usług zdrowotnych oraz umożliwienie bardziej spersonalizowanego podejścia do leczenia. Ich funkcja nie jest bezpośrednio związana z leczeniem chorób i nie mają wymogu posiadania udowodnionej skuteczności klinicznej. Definicja DHT różni się w zależności od państwa (Maziei 2023, FDA 2025).

Terapie cyfrowe stanowią podzbiór DHT i są uważane za jeden z najbardziej innowacyjnych obszarów w dziedzinie cyfrowej opieki zdrowotnej. DTx mają udowodnione korzyści kliniczne a ich celem jest wspomaganie pacjentów w leczeniu, zapobieganiu lub zarządzaniu chorobą. DTx wykorzystuje narzędzia cyfrowe, takie jak urządzenia mobilne, aplikacje, czujniki, rzeczywistość wirtualna, Internet rzeczy (ang. *internet of things*, IoT) i inne narzędzia, aby stymulować zmiany zachowań pacjentów. Rozwój DTx może mieć pozytywny wpływ na świadczenie dobrze zindywidualizowanych usług zdrowotnych, ponieważ ich konstrukcja jest dostosowana do potrzeb pacjenta. DTx może być stosowany jako samodzielna terapia lub w połączeniu z bardziej konwencjonalnymi metodami leczenia, takimi jak, np. terapia farmakologiczna. Leczenie polega na zbieraniu i przetwarzaniu pomiarów cyfrowych. Ze względu na cyfrowy charakter metodyki, dane mogą być gromadzone i analizowane zarówno w formie sprawozdania z postępów, jak i środka zapobiegawczego (EDPS 2025, Schmidt 2024, Mantovani 2023).

4.3.2.1. Regulacje prawne

Na poziomie europejskim obowiązuje Rozporządzenie (UE) 2017/745 w sprawie badań klinicznych wyrobów medycznych i sprzedaży wyrobów medycznych stosowanych u ludzi. Nie istnieją jednak regulacje prawne dedykowane DTx. Na poziomie krajowym, np. w Niemczech obowiązuje ustawa o cyfrowej opiece zdrowotnej, która reguluje szczegółowe wymagania dotyczące korzystania z DTx, m.in. określa, jakie funkcje musi mieć dowolna aplikacja DTx oraz, że czynniki, takie jak jakość, bezpieczeństwo i ochrona danych, muszą zostać potwierdzone naukowo aby uzyskały status Cyfrowych Aplikacji Zdrowotnych (niem. *Digitale Gesundheitsanwendungen, DiGA; ang. Digital health applications*, DiHA). We Francji od 2022 roku zostało wprowadzone roczne finansowanie przejściowe dla cyfrowych wyrobów medycznych (fr. *Prise en charge anticipée numérique,* PECAN) obejmujące cyfrowe urządzenia medyczne służące zarówno do terapii, jak i do monitorowania pacjentów. W USA Agencja ds. Żywności i Leków (FDA) prowadzi aktywny program certyfikacji wstępnej DTx (EDPS 2025, Rodrigues 2024, Martin 2024).

W Niemczech płatnik publiczny jest zobowiązany do refundacji innowacji cyfrowych znajdujących się w katalogu cyfrowych aplikacji zdrowotnych (DiGA) mimo braku pełnych dowodów naukowych na ich skuteczność (producenci mogą dostarczyć dowody skuteczności z badań retrospektywnych). Aby zakwalifikować się do włączenia do ww. katalogu technologie muszą spełniać jednak określone kryteria techniczne, obejmujące bezpieczeństwo, ochronę danych, interoperacyjność oraz klasyfikację jako wyrób medyczny niższego ryzyka (klasa I lub IIa) zgodnie z europejskimi regulacjami MDR lub dyrektywą w sprawie wyrobów medycznych (MDD). Ponadto wymagane jest przeprowadzenie badań porównawczych potwierdzających pozytywny wpływ na opiekę zdrowotną, który może przejawiać się w bezpośredniej poprawie zdrowia pacjentów lub w ulepszeniach strukturalnych i proceduralnych, usprawniających świadczenie usług medycznych. Ponad to cyfrowe aplikacje zdrowotne, które nie posiadają wystarczających dowodów skuteczności mogą przejść przyspieszoną, trzymiesięczną procedurę zatwierdzania (ang. *Fast-Track Procedure*) w wyniku której mogą zostać tymczasowo objęte refundacją (Groene 2023, Schmidt 2024).

W Wielkiej Brytanii działają krajowe programy akceleracyjne (ang. *accelerator programmes*, AP), które odgrywają kluczową rolę we wdrażaniu technologii cyfrowych w ochronie zdrowia, szczególnie w ramach NHS (*National Health Service*). Wyróżnia się trzy główne typy AP: inwestor, matchmaker oraz ekosystem, przy czym ten ostatni jest najczęściej stosowany w sektorze zdrowotnym. Programy te zazwyczaj rekrutują małe i średnie przedsiębiorstwa (MŚP), oferując im szkolenia, warsztaty oraz wydarzenia nastawione na praktyczną naukę. Programy wspierają MŚP w przezwyciężaniu wyzwań związanych z wprowadzaniem nowych produktów i usług na rynek. Zapewniają dostęp do mentoringu, sieci kontaktów oraz możliwości finansowania, co sprzyja ich rozwojowi i zwiększa szanse na sukces. Mentorzy to często uznani eksperci

w swojej dziedzinie, którzy pomagają w procesie komercjalizacji technologii. Czas współpracy uczestników z programem AP jest jednak ograniczony i wynosi od 3 do 12 miesięcy (Njoku 2023).

Rekrutacja do AP jest wysoce konkurencyjna, a proces selekcji wymagający. Kryteria wyboru różnią się w zależności od programu, jednak zazwyczaj uwzględniają potencjał wzrostu firmy, innowacyjność produktu lub usługi oraz kompetencje zespołu (Njoku 2023).

4.3.2.2. Bariery polityk

Funkcjonująca już w części krajów polityka regulacji zatwierdzania DHT i zasad zwrotu kosztów ma na celu wspieranie innowacji i umożliwienie pacjentom szybkiego dostępu do innowacyjnych cyfrowych technologii na szeroką skalę. Duże zainteresowanie przyjęciem i refundacją DHT w wielu krajach, wymaga zrozumienia ich wpływu na zdrowie i bezpieczeństwo pacjentów. Jednak niejednorodny charakter DHT oraz różnorodność systemów i regulacji w różnych krajach utrudnia producentom DHT dostęp do rynku (Groene 2023, Maziei 2023). Ponadto brak ujednoliconych ram lub metod klasyfikacji, oceny i finansowania cyfrowych technologii medycznych powoduje, że ich refundacja wiąże się z dużym ryzykiem dla płatnika publicznego (Groene 2023).

Niemiecka polityka dotycząca DiGA, która jest najszerzej opisywana w odnalezionej literaturze, napotyka liczne bariery, które utrudniają jej skuteczne wdrażanie. Do głównych trudności należą:

- Skomplikowany i czasochłonny proces zatwierdzania cyfrowych aplikacji zdrowotnych – producenci muszą spełnić wymagania certyfikacyjne (CE) i uzyskać zatwierdzenie Federalnego Instytutu Leków i Urządzeń Medycznych (niem. *Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte*, BfArM), co wymaga specjalistycznej wiedzy i znaczących zasobów.
- Ograniczona dostępność DiGA – mimo refundacji, pacjenci mają trudności z dostępem do tych technologii, co zmniejsza skuteczność polityki refundacyjnej.
- Brak świadomości i zaangażowania lekarzy – niewielu lekarzy przepisuje DiGA z powodu braku informacji i odpowiednich zachęt finansowych.
- Niska świadomość pacjentów – pacjenci często nie mają wystarczającej wiedzy o DiGA, co utrudnia ich prawidłowe stosowanie.
- Problemy z przestrzeganiem zaleceń terapeutycznych – niski poziom zaangażowania pacjentów może zmniejszać efektywność DiGA, co rodzi ryzyko finansowe dla systemu refundacji.
- Ryzyko zatwierdzenia nieskutecznych technologii – niektóre DiGA mogą zostać dopuszczone do użytku bez wystarczających dowodów naukowych potwierdzających ich skuteczność.
- Problemy z polityką cenową – niewłaściwe ustalanie cen może prowadzić do nieefektywnej alokacji środków, co oznacza ryzyko marnotrawienia zasobów publicznych.
- Trudności w określeniu wartości terapeutycznej DiGA – brak jednoznacznych metod oceny skuteczności i aspektów etycznych tych aplikacji utrudnia ich optymalne wdrożenie (Groene 2023).

Wyniki badania ankietowego opisane w publikacji Schmidt 2024 potwierdzają ww. trudności oraz wskazują, że aktualny program DiGA budzi obawy niemieckiego płatnika publicznego z racji niskiej skuteczności i niewystarczających dowodów na efektywność DiGA, zwłaszcza tych tymczasowo dopuszczonych do refundacji.

Producenci natomiast podkreślają problem opóźnionego dostępu pacjentów do aplikacji, co może wpływać na skuteczność i akceptację terapii. Pomimo możliwości stosowania alternatywnych modeli cenowych, takich jak refundacja oparta na wynikach leczenia, obecnie żadna aplikacja z katalogu (poza "*Smoke Free*") nie wdrożyła takiego rozwiązania. Potencjał DiGA w zakresie gromadzenia danych rzeczywistych (RWD/RWE) pozostaje niewykorzystany, co ogranicza elastyczność ustalania cen i ocenę technologii medycznych.

Wstępne analizy wskazują na zróżnicowane recenzje użytkowników oraz ograniczone przestrzeganie terapii w niektórych obszarach, takich jak reumatologia. Chociaż pacjenci deklarują wysokie zadowolenie z DiGA, zauważają niewielki wpływ na przebieg choroby i wyniki leczenia, co podkreśla konieczność dalszego monitorowania skuteczności. Dodatkowym problemem jest niedostateczna dostępność informacji na temat DTx, zwłaszcza wśród lekarzy, którzy powinni je przepisywać (Schmidt 2024).

Planowane zmiany legislacyjne w Niemczech mają na celu rozwiązanie kilku kluczowych problemów związanych z obecnym systemem DiGA. Obecne ograniczenie do wyrobów medycznych klasy I i IIa zawęża zakres zastosowań, dlatego przyszłe przepisy pozwolą na kwalifikację wyrobów klasy IIb, choć z bardziej rygorystycznymi wymaganiami takimi jak konieczność wykazania korzyści medycznych i brak przyspieszonej ścieżki. Istniejąca rozbieżność między cenami DiGA a ich rzeczywistymi korzyściami klinicznymi zostanie częściowo rozwiązana poprzez powiązanie co najmniej 20% refundacji z osiągnięciem określonych wskaźników sukcesu od 2026 roku. Opóźnienia w dostępie pacjentów do przepisanego DiGA mają zostać zredukowane dzięki obowiązkowi ubezpieczycieli zapewnienia dostępu w ciągu dwóch dni od wystawienia recepty. Wzmocniona zostanie również integracja DiGA z niemieckim systemem opieki zdrowotnej poprzez zwiększenie wymagań dotyczących interoperacyjności z elektroniczną dokumentacją medyczną. Ostatni problem, jakim jest wysoki odsetek użytkowników rezygnujących z DiGA wkrótce po pierwszym użyciu, miał być rozwiązany poprzez 14-dniowy okres próbny, jednak rozwiązanie to nie znalazło się w ostatecznej wersji przepisów (Schmidt 2024).

Podobne problemy zgłaszają producenci cyfrowych technologii medycznych w Wielkiej Brytanii. Podkreślają oni, że krajowe programy akceleracyjne (AP) są przydatne we wspieraniu wdrażania cyfrowych wyrobów medycznych, ale nadal istnieją pewne bariery takie jak, m.in. nacisk na wysoką jakość dowodów naukowych (RCT) oraz niechęć NHS do innowacji oraz sceptycyzm pracowników służby zdrowia wobec cyfrowych wyrobów medycznych. Ponadto wymieniają szereg barier systemowych dla innowacji w opiece zdrowotnej takich jak, np. duża fragmentaryzacja NHS (np. obecność prawie 200 organizacji Provider Trusts, ponad 7500 placówek podstawowej opieki zdrowotnej, oddzielenie NHS od opieki społecznej). Tworzy to skomplikowane i mylące ścieżki dostępu dla producentów cyfrowych wyrobów medycznych i do znacznych różnic geograficznych w zakresie gotowości cyfrowej, infrastruktury i kompetencji związanych z zamówieniami publicznymi (Njoku 2023).

Francja również mierzy się z wyzwaniami we wdrażaniu ścieżki wczesnego dostępu do cyfrowych wyrobów medycznych. W pierwszym roku obowiązywania przejściowego ubezpieczenia dla tych technologii jego wykorzystanie pozostawało na niskim poziomie – rozpatrywane były jedynie trzy technologie, z czego tylko jedna otrzymała pozytywną opinię w ramach programu PECAN (fr. *Prise En Charge Anticipée des dispositifs numériques en santé*). PECAN, jako mechanizm tymczasowego finansowania, ma na celu ułatwienie pacjentom dostępu do innowacyjnych rozwiązań, jednak jego stosunkowo nowy charakter oraz ograniczona świadomość producentów co do warunków uczestnictwa przyczyniają się do niewielkiej liczby składanych wniosków (Martin 2024).

Dodatkową barierą w dostępie do refundacji cyfrowych wyrobów medycznych we Francji jest krótki czas na składanie wniosków do HAS (fr. *Haute Autorité de Santé*) po zakończeniu finansowania w ramach PECAN. Wnioski te są konieczne, w celu uwzględnienia produktów na LPRR (Liście produktów i usług podlegających refundacji) oraz LATM (Wykazie działań związanych z telemonitoringiem medycznym), co może ograniczać możliwość skutecznego wdrażania nowych technologii na rynku francuskim (Martin 2024).

4.3.2.3. Zalecenia dla płatnika publicznego

W celu skutecznego równoważenia wsparcia dla innowacji w obszarze cyfrowej opieki zdrowotnej, zapewnienia pacjentom szerokiego dostępu do nowoczesnych rozwiązań oraz efektywnego zarządzania zasobami publicznymi, w świetle zidentyfikowanych publikacji, konieczne jest podjęcie następujących działań:

1. Wytyczne HTA – w obliczu braku jednolitych europejskich ram oceny technologii medycznych, eksperci rekomendują opracowanie krajowych wytycznych dostosowanych do lokalnych uwarunkowań. Kluczowe jest także wspieranie europejskich działań na rzecz harmonizacji oceny DiGA i dostosowanie krajowych regulacji do uzgodnionych standardów (Mazei 2023).
2. Ukierunkowanie innowacji – refundacja powinna koncentrować się na obszarach, gdzie mogą one przynieść największe korzyści pacjentom, zwłaszcza w niedostatecznie obsłużonych dziedzinach medycyny (Mazei 2023, Groene 2023).
3. Certyfikacja i wartość dodana – zanim cyfrowe technologie zdrowotne przejdą ocenę HTA, zaleca się certyfikację CE jako potwierdzenie ich bezpieczeństwa i skuteczności. Ponadto należy jasno określić wartość dodaną technologii w porównaniu ze standardową opieką, biorąc pod uwagę zarówno efektywność kosztową, jak i wpływ na zasoby systemu ochrony zdrowia (Mazei 2023).

4. Poprawa dostępu dla pacjentów – wprowadzenie DiGA do wytycznych klinicznych, edukacja lekarzy i lepsza prezentacja skuteczności poszczególnych aplikacji (np. w formie tabelarycznej z punktacją jakości dowodów) mogłoby zwiększyć ich zastosowanie (Groene 2023).
5. Tworzenie zaufania do innowacyjnych wyrobów medycznych poprzez tworzenie okazji do współpracy twórców technologii, naukowców, pacjentów klinicystów i z innymi pracownikami służby zdrowia (Njoku 2023).
6. Przestrzeganie terapii – statystyki użytkowania powinny wpływać na negocjacje cenowe. Możliwe jest też uzależnienie części refundacji od osiągnięcia przez producentów określonych poziomów zaangażowania pacjentów (Groene 2023).
7. Ustalanie cen – mechanizmy cenowe oparte na wartości mogłyby zoptymalizować alokację zasobów płatnika publicznego. Potrzebne są jednak kryteria oceny oraz badania dotyczące wpływu takiej polityki na innowacyjność rynku (Groene 2023).
8. Korzyści dla pacjenta i współpraca interesariuszy – zamiast konfrontacyjnych relacji między płatnikiem a producentami, polityka powinna promować współpracę, np. poprzez modyfikację zasad refundacji w okresie przejściowym, umożliwiając funduszom płatnika aktywne kształtowanie rynku DiGA (Groene 2023).
9. W celu zwiększenia dostępności cyfrowych technologii zdrowotnych rekomenduje się stworzenie publicznie dostępnego katalogu certyfikowanych rozwiązań zgodnych z regulacjami ochrony danych, co może wspierać alternatywne modele finansowania. Ponadto proponuje się utworzenie sieci laboratoriów testowych („Żywe laboratoria”), umożliwiających rozwój i walidację innowacji przy udziale akademii, sektora zdrowia i instytucji publicznych (Mazei 2023).

4.3.2.4. Zalecenia dla producentów

Kluczowe zalecenia dla producentów dotyczące generowania dowodów skuteczności cyfrowych rozwiązań zdrowotnych:

1. Porównanie z obecnym standardem opieki – cyfrowe rozwiązania zdrowotne powinny wykazywać przewagę nad istniejącymi metodami leczenia.
2. Ocena wartości dla wszystkich interesariuszy – korzyści z DiGA powinny być analizowane z perspektywy pacjentów, lekarzy, płatników i menedżerów systemu ochrony zdrowia.
3. Analiza gotowości systemu – należy ocenić warunki wdrożenia, w tym wpływ na efektywność i dostępność danych dla personelu medycznego.
4. Uwzględnienie różnych wymiarów wartości – ocena skuteczności powinna obejmować aspekty kliniczne, organizacyjne, behawioralne i techniczne.
5. Interoperacyjność z innymi systemami – cyfrowe rozwiązania powinny być kompatybilne z istniejącą infrastrukturą danych w opiece zdrowotnej (Kolasa 2020).

4.3.2.5. Ocena cyfrowych technologii zdrowotnych

W związku z dynamicznym rozwojem rynku i rosnącą dostępnością technologii cyfrowych, decydenci w obszarze opieki zdrowotnej mogą napotkać trudności w określeniu, które produkty powinny zostać ocenione pod kątem potencjalnej refundacji. W ramach przeglądu systematycznego literatury zidentyfikowano sześć kryteriów, które eksperci zalecają uwzględnić przy analizie, które technologie cyfrowe powinny być rozważane w kontekście objęcia ubezpieczeniem i refundacją. Wg amerykańskiej grupy ekspertów produkt cyfrowy powinien być najpierw oceniony z uwzględnieniem takich aspektów jak: wcześniejsza ocena FDA (ang. *US Food and Drug Administration*), obecność wymogu wydawania na receptę, sposób finansowania (czy będzie opłacany ze składek zdrowotnych), czy produkt leczy czy tylko monitoruje lub diagnozuje stan kliniczny, koszt leczenia alternatywnego oraz czy technologia odnosi się do wskaźników zdrowia populacji (Graff 2024).

4.3.3. Mechanizmy finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych, w tym cyfrowych

Na podstawie odnalezionych informacji można wskazać, że nie istnieje jedna uniwersalna ścieżka finansowania lub mechanizm finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych, w tym cyfrowych, ponieważ dostępne mechanizmy różnią się w zależności od systemu ochrony zdrowia, polityki krajowej, a także specyfiki rynku, na którym dany wyrób ma być wdrażany.

Zgodnie z raportem ISPOR (grupy roboczej G*ood Practices for Performance-Based Risk-Sharing Arrangements*, PBRSAs) istnieją dwa typy rozwiązań ułatwiających wejście nowych technologii na rynek: (1) **umowy oparte na finansach** (ang. *finance-based agreements*), (2) **umowy oparte na wynikach** (ang. *performance-based agreements*) (ISPOR 2013).

W przypadku umów finansowych porozumienia między płatnikami a producentami są czysto finansowe i mogą obejmować na przykład:

- umowy dotyczące cen i wolumenów (ang. *price-volume agreements*),
- rabaty cenowe (ang. *price discounts*),
- limity budżetowe (ang. *budget caps*).

W PBRSAs jednym z kluczowych elementów jest to, że cena lub refundacja technologii jest powiązana z jej skutecznością ocenianą na podstawie celowego, prospektywnego zbierania danych. W rzeczywistości niektóre z najwcześniejszych przykładów PBRSAs dotyczyły programów **refundacji powiązanej z rozwojem dowodów naukowych (ang. *coverage with evidence development*, CED)** (Federici 2021). CED to refundacja warunkowa z gromadzeniem dowodów, czyli mechanizm polegający na tym, że nowa technologia medyczna (np. produkt leczniczy, wyrób medyczny, technologia cyfrowa) zostaje dopuszczona do finansowania (refundacji) pod warunkiem prowadzenia badań klinicznych (eksperymentalnych, obserwacyjnych) dotyczących jej bezpieczeństwa, skuteczności, i/lub efektywności kosztowej. Podobne podejścia noszą nazwy, m.in. „umowa o zarządzanym dostępie", „warunkowy zwrot kosztów", „finansowanie tymczasowe" w zależności od kraju. Zazwyczaj programy te są koordynowane centralnie.

W teorii wyroby medyczne są dobrymi kandydatami do PBRSAs, w szczególności do programów CED, ponieważ często występuje znaczna niepewność co do ich skuteczności i koszt-efektywności. Wynika to głównie z faktu, że wymagania dotyczące danych przy dopuszczeniu do rynku są często mniej rygorystyczne niż w przypadku leków, przez co wyroby medyczne są zazwyczaj wprowadzane do praktyki klinicznej przy stosunkowo ograniczonych dowodach klinicznych lub ekonomicznych (Federici 2021).

CED obejmują różne rodzaje badań, m.in.: RCT, prospektywne jednoramienne badania obserwacyjne wykorzystujące dane zebrane z istniejących klinicznych baz danych lub rejestru.

Istnieją dwa podejścia do projektowania programów CED:

- programy, w których wyrób medyczny jest refundowany dla wszystkich pacjentów objętych wskazaniami, a dane zbierane są w podgrupie pacjentów (Hiszpania i Szwajcaria),
- programy, w których wyrób medyczny jest refundowany wyłącznie dla pacjentów biorących udział w badaniu (Wielka Brytania, Niderlandy i Belgia prowadziły) (Federici 2021).

Programy CED to mechanizm stosowany w ramach ***programów wczesnego dostępu* (ang. *early access programmes*, EAP)** (Martin 2024, Federici 2021).

4.3.4. Ograniczenia

Wyniki przeprowadzonego przeglądu systematycznego literatury należy interpretować z ostrożnością, ze względu na następujące ograniczenia:

- Przegląd obejmował zarówno cyfrowe wyroby medyczne jak i klasyczne wyroby medyczne, określane przez autorów publikacji jako innowacyjne. Ze względu na znaczące różnice tych grup wyrobów medycznych, zbiorcze zestawienie odnalezionych publikacji oraz ich porównanie okazało się trudne i ograniczyło możliwości wyciągnięcia jednoznacznych wniosków.
- Większość odnalezionych publikacji miała charakter przeglądowy i poglądowy – koncentrowały się one głównie na prezentacji formalnych aspektów funkcjonowania programów, bez pogłębionej analizy

ich efektywności, wpływu zastosowanych rozwiązań na dostępność do innowacyjnych wyrobów medycznych, czy zidentyfikowanych barier poszczególnych programów.

- W przeważającej liczbie przypadków nie identyfikowano konkretnych wskaźników efektywności czy mierzalnych korzyści zdrowotnych wynikających z wdrożenia danego programu refundacyjnego, co ograniczało możliwość oceny wpływu analizowanych programów na dostępność pacjentów do innowacyjnych wyrobów medycznych oraz na funkcjonowanie systemu ochrony zdrowia w danym kraju.
- Zidentyfikowane programy w poszczególnych krajach różniły się istotnie pod względem celu, zakresu, założeń oraz kryteriów kwalifikacji, co utrudniało ich bezpośrednie porównanie i wyciąganie uogólnionych wniosków.
- Brak danych ilościowych oraz analiz wyników programów refundacyjnych w poszczególnych krajach znacząco utrudnia ocenę skuteczności i efektywności kosztowej poszczególnych modeli finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych. W rezultacie, rekomendacje dotyczące nowej ścieżki będą musiały opierać się głównie na analizie formalnej rozwiązań – a nie na twardych dowodach ich faktycznego wpływu na pacjentów czy system ochrony zdrowia.
- W ramach przeglądu koncentrowano się identyfikacji doniesień naukowych dotyczących rozwiązań systemowych (ogólnokrajowych), wdrażanych na poziomie centralnym lub regionalnym, w odniesieniu do innowacyjnych wyrobów medycznych, w tym cyfrowych. Zgromadzony materiał dowodowy skupia się przede wszystkim na modelach refundacji warunkowej, które mają na celu umożliwienie tymczasowego, całościowego lub częściowego finansowania wyrobów medycznych w celu oceny ich rzeczywistej skuteczności i zebrania danych z badań klinicznych.

4.4. Podsumowanie

Na podstawie zgromadzonych informacji można sformułować następujące wnioski:

1. **Nie istnieje uniwersalna ścieżka finansowania lub mechanizm finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych, w tym cyfrowych**. Obowiązujące modele różnią się istotnie w zależności od struktury systemu ochrony zdrowia, polityki refundacyjnej i specyfiki lokalnych rynków.
2. **Definicje innowacyjnych wyrobów medycznych** odnalezione w literaturze wskazują, że wspólnym elementem podejść przyjętych w różnych krajach jest wielowymiarowe rozumienie innowacyjności, obejmujące zarówno aspekt nowatorstwa technologicznego, jak i wartości klinicznej, organizacyjnej oraz ekonomicznej. W ujęciu regionu Toskanii (Messori 2024) innowacyjność warunkowana jest dostępnością danych porównawczych (niekoniecznie z RCT), wykazaną korzyścią zdrowotną lub oszczędnością kosztów. Definicja francuska (Martin 2024) kładzie nacisk na przełomowość względem dotychczasowych rozwiązań, wczesną fazę wdrożenia na rynek, bezpieczeństwo i istotną korzyść kliniczną w zakresie efektu terapeutycznego, diagnostycznego lub prognostycznego. Z kolei w badaniu Delphi (Angela 2024) zaproponowano katalog kryteriów obejmujących wpływ kliniczny, jakość dowodów, organizacyjne i ekonomiczne skutki stosowania technologii.
3. **Mechanizmy warunkowego finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych w Europie, mają coraz większą rolę w zakresie wyrobów medycznych**:
    1) **W praktyce innych krajów stosowane są programy oparte o koncepcję *Coverage with Evidence Development* (CED).** CED stanowi warunkową refundację połączoną z obowiązkiem generowania danych naukowych. Model ten umożliwia czasowe dopuszczenie technologii (np. leków, wyrobów medycznych, aplikacji cyfrowych) pod warunkiem prowadzenia badań klinicznych (eksperymentalnych, obserwacyjnych) dotyczących jej bezpieczeństwa, skuteczności, i/lub efektywności kosztowej (Federici 2021). Podobne podejścia noszą nazwy, m.in. „umowa o zarządzanym dostępie", „warunkowy zwrot kosztów", „finansowanie tymczasowe" w zależności od kraju. Zazwyczaj programy te są koordynowane centralnie. Programy CED to mechanizm stosowany w ramach *programów wczesnego dostępu* (ang. *early access programmes*, EAP) (Martin 2024, Federici 2021).
    2) We Francji rozwinięto kompleksowy system tymczasowego finansowania nowych technologii w oparciu o programy *Forfait Innovation* (FI), *Prise en Charge Transitoire* (PECT) i PECAN,

które łączą kryteria innowacyjności z obowiązkiem prowadzenia badań klinicznych lub gromadzenia danych rzeczywistych. Z kolei w ujęciu europejskim (Federici 2021) programy CED są stosowane w wielu krajach, choć różnią się pod względem sposobu finansowania, odpowiedzialności za projektowanie i realizację badań oraz oceny wyników. W obliczu wyzwań związanych z ograniczoną dostępnością wysokiej jakości dowodów klinicznych dla nowych wyrobów, mechanizmy te umożliwiają wdrażanie innowacji przy jednoczesnym gromadzeniu potrzebnych danych.

4. **Cyfrowe wyroby medyczne stanowią istotny element transformacji opieki zdrowotnej**, oferując nowe możliwości leczenia, monitorowania i zarządzania chorobami. Pomimo rosnącego zainteresowania tymi technologiami, ich regulacja, ocena i finansowanie różnią się znacząco między krajami, co stwarza liczne bariery dostępu dla producentów i ogranicza skalowalność innowacji. Szczególnie zaawansowane rozwiązania funkcjonują w Niemczech (program DiGA), Francji (PECAN) oraz Wielkiej Brytanii (programy akceleracyjne), przy czym każdemu z tych modeli towarzyszą wyzwania związane z jakością dowodów, zaangażowaniem klinicystów, niską świadomością pacjentów i brakiem interoperacyjności. Brak jednolitych ram oceny technologii cyfrowych oraz trudności w ustalaniu ich wartości terapeutycznej powodują, że decyzje refundacyjne obarczone są wysokim ryzykiem.

Mając na uwadze powyższe ustalenia, w ramach opracowania możliwych scenariuszy ścieżki legislacyjnej dotyczących oceny i włączenia innowacyjnych wyrobów medycznych do wykazu świadczeń gwarantowanych włączono koncepcję programu CED oraz rozwiązania odpowiadające modelom PECT i PECAN (Francja) oraz DiGA (Niemcy) jako elastyczne formy tymczasowego finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych, w tym cyfrowych.

5. Modele refundacji w wybranych krajach

Metodyka

W celu pozyskania informacji dotyczących ścieżek dostępu do innowacyjnych wyrobów medycznych w innych krajach – ze szczególnym uwzględnieniem państw europejskich – przeprowadzono wyszukiwanie wolnotekstowe w ogólnodostępnych wyszukiwarkach internetowych (w tym https://www.google.com), z wykorzystaniem następujących słów kluczowych: *Medical devices, reimbursement, financing, HTA, assessment of innovation medical devices* oraz na poniższych stronach internetowych:

- www.who.int
- www.ispor.org
- www.inahta.org
- www.g-ba.de
- www.iqwig.de
- https://www.iges.com
- www.has-sante.fr
- https://gnius.esante.gouv.fr
- www.nice.org
- www.nhs.uk (www.england.nhs.uk)
- www.ukri.org
- www.inami.fgov.be/fr

Wyszukiwanie było ograniczone do języka angielskiego, francuskiego, niemieckiego, hiszpańskiego.

W ramach wyszukiwania odnaleziono i uwzględniono informacje w krajach: Niemcy, Finlandia, Francja, Wielka Brytania, Belgia i Hiszpania. Analiza odnalezionych materiałów była ukierunkowana przede wszystkim na przedstawienie obecnego systemu wnioskowania o objęcie wyrobu medycznego finansowaniem ze środków publicznych, szczególnie w zakresie ostatnich reform dotyczących oceny i wprowadzania innowacyjnych wyrobów medycznych, w tym także cyfrowych.

5.1. Niemcy

Niemcy posiadają powszechny system opieki zdrowotnej, który opiera się głównie na ustawowym ubezpieczeniu zdrowotnym (niem. *Gesetzliche Krankenversicherung*, GKV). Finansowanie odbywa się wspólnie przez pracowników i pracodawców, a składki są proporcjonalne do dochodu ubezpieczonego. Ubezpieczeni w ramach GKV mają możliwość wyboru spośród licznych kas chorych (niem. *Krankenkassen*), które oferują szeroki zakres świadczeń, m.in. opiekę ambulatoryjną, leczenie szpitalne, rehabilitację, profilaktykę oraz stomatologię. Wprowadzanie nowych metod leczenia, zwłaszcza w opiece szpitalnej, wymaga oceny przez Federalny Komitet Wspólny (niem. *Gemeinsamer Bundesausschuss*, G-BA), który decyduje, czy dana technologia będzie finansowana ze środków GKV. Podstawą decyzji są dowody naukowe dotyczące skuteczności i efektywności klinicznej (G-BA 2025a, G-BA 2025b, ICI 2025). Ważną rolę odgrywa także Instytut Jakości i Efektywności w Ochronie Zdrowia (niem. *Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen,* IQWiG), którego pozytywna ocena wspiera uzasadnienie refundacji (IQWiG 2025).

Przed wprowadzeniem wyrobu medycznego na rynek niemiecki i jego potencjalnym uwzględnieniem w katalogu świadczeń refundowanych musi on uzyskać oznaczenie CE, potwierdzające zgodność produktu z unijnymi normami bezpieczeństwa i jakości (AiM 2023).

Instytut Systemu Wynagradzania Szpitali (niem. *Institut für das Entgeltsystem im Krankenhaus*, InEK) m.in. ustala stawki grup diagnostycznych (ang. *Diagnosis Related Groups*, DRG) i prowadzi konsultacje dotyczące zmian katalogów grup DRG. Kasy chorych indywidualnie negocjują umowy na wyroby medyczne stosowane ambulatoryjnie i mogą odmawiać refundacji do czasu uzyskania nowych dowodów klinicznych (IQWiG 2025, AiM 2023).

5.1.1. Nowe metody badania i leczenia (NUB)

Opis procedury

Sprzęt i wyroby medyczne w szpitalach są refundowane według systemu DRG. Szpitale otrzymują stałą opłatę za pobyt pacjenta, obejmującą koszty leczenia, operacji, opieki pielęgniarskiej i wyrobów medycznych. Stawki oblicza InEK na podstawie danych krajowych i może uwzględniać dodatkowe koszty (InEK 2025).

Przed objęciem refundacją nowej metody diagnostycznej/leczniczej w sektorze ambulatoryjnym i/lub szpitalnym musi być ona oceniona przez G-BA w oparciu o aktualny stan wiedzy medycznej. W przypadku, kiedy dostępne dowody naukowe nie są jeszcze wystarczające do udowodnienia korzyści wynikających z zastosowania ocenianej metody diagnostycznej/leczniczej G-BA może dopuścić ww. metodą do tzw. badania próbnego (G-BA 2025c) w ramach procedury Nowych Metod Badania i Leczenia (niem. *Neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden*, NUB) .

Również w przypadku nowych lub kosztownych wyrobów medycznych czy procedur, niedostosowanych do DRG, szpitale mogą ubiegać się o dodatkową refundację poprzez procedurę NUB. InEK ocenia innowacyjność, a po przyznaniu technologii statusu 1 NUB przez InEK szpital może negocjować z ubezpieczycielem tymczasowy zwrot kosztów za ww. technologię (AiM 2023, RI 2025).

Rodzaje badań

Istnieją trzy sposoby testowania nowej metody badania lub leczenia w ramach badania próbnego:

- na wniosek producenta/podmiotu stosującego metodę,
- w toku oceny nowej metody,
- ocena metody opartej na wyrobie medycznym klasy wysokiego ryzyka (G-BA 2025c).

<u>Badanie próbne nowej metody opartej na wyrobie medycznym na wniosek producenta/podmiotu stosującego metodę</u>

W przypadku gdy ww. procedura diagnostyczna/lecznicza opiera się w dużej mierze na zastosowaniu wyrobu medycznego wniosek o przeprowadzenie badania próbnego może być złożony przez producenta tego wyrobu medycznego. Dodatkowo do złożenia wniosku uprawnione są również przedsiębiorstwa, które jako podmioty stosujące nową metodę mają interes gospodarczy w świadczeniu usług na koszt ustawowych kas chorych.

Producenci wyrobów medycznych mają możliwość zasięgnięcia porady G-BA w zakresie przygotowania ww. wniosków (odpłatnie, zgodnie z ściśle określonym cennikiem).

W ciągu trzech miesięcy od otrzymania kompletnego wniosku G-BA podejmuje decyzję, czy wniosek zostanie przyjęty, czy odrzucony.

Wniosek zostaje przyjęty, jeśli:

- został złożony przez osobę uprawnioną,
- formularz wniosku jest kompletny,
- nowa metoda, przy wystarczających dowodach jej skuteczności, mogłaby być objęta świadczeniami dla ubezpieczonych w publicznym systemie zdrowia,
- nie istnieją żadne przeszkody prawne wobec jej stosowania jako świadczenia próbnego lub standardowego,
- wnioskodawca udowodnił za pomocą odpowiednich dokumentów, że metoda ma wystarczający potencjał do przeprowadzenia prób.

W przypadku odrzucenia wniosku, wniosek ponownie można złożyć dopiero po upływie roku.

Jeśli G-BA na podstawie dokumentów stwierdzi, że skuteczność metody jest już wystarczająco udowodniona (a nie tylko obiecująca), podejmuje natychmiastową decyzję o dopuszczeniu jej do świadczeń ambulatoryjnych lub szpitalnych.

Po akceptacji wniosku rozpoczyna się procedura badania próbnego, w którą mogą zaangażować się inni producenci/dostawcy. Jeśli jednak G-BA przewiduje, że wkrótce pojawią się wystarczające dane z innych badań, może zawiesić dalsze prace nad badaniem (G-BA 2025d).

Badanie próbne w toku oceny nowej metody

Badanie próbne może być przeprowadzone, również wtedy gdy G-BA ocenia nową metodę, która wydaje się obiecująca, ale jej skuteczność nie została jeszcze dostatecznie potwierdzona. Wtedy ocena zostaje zawieszona, a ustalane są wytyczne do testów. Po uzyskaniu wyników, G-BA ocenia, czy metoda jest skuteczna, konieczna medycznie i opłacalna. Jeśli spełnia te kryteria, zostaje włączona do usług refundowanych lub dopuszczona w opiece szpitalnej (G-BA 2025c).

Badania próbne nowej metody opartej na wyrobie klasy wysokiego ryzyka

G-BA ma za zadanie oceniać nowe metody diagnostyczne i terapeutyczne stosowane w leczeniu szpitalnym, których techniczne wykorzystanie opiera się głównie na zastosowaniu wyrobów medycznych o wysokim stopniu ryzyka. Procedura oceny rozpoczyna się, gdy szpital po raz pierwszy składa tzw. wniosek NUB do InEK, ubiegając się o dodatkowe wynagrodzenie za nową metodę. W takim przypadku szpital składający wniosek ma obowiązek, w porozumieniu z producentem odpowiedniego wyrobu medycznego, przekazać G-BA informacje o stanie wiedzy naukowej dotyczącej metody oraz jej zastosowania.

Jeśli G-BA uzna, że nie można jednoznacznie stwierdzić ani korzyści, ani szkodliwości, ani nieskuteczności metody przy użyciu tego wyrobu medycznego, podejmuje w ciągu 6 miesięcy decyzję o przeprowadzeniu badania próbnego. Może też określić warunki, na jakich wyrób medyczny będzie refundowany.

Po zakończeniu lub przedwczesnym przerwaniu badania, G-BA podejmuje w ciągu 3 miesięcy decyzję, czy metoda nadal będzie uznawana za świadczenie szpitalne finansowane przez publiczne ubezpieczenie zdrowotne, czy nie (G-BA 2025c).

Przebieg badania próbnego

G-BA określa kluczowe punkty planowanego badania w wytycznych dotyczących badań, przeprowadza postępowanie przetargowe i zleca niezależnej instytucji naukowej (niem. *unabhängige wissenschaftliche Institution*, UWI) realizację badania próbnego danej metody disgnostycznej/leczniczej. Istnieją jednak dwie możliwości zlecenia badania:

- Zlecenie przez producenta: producenci wyrobów medycznych lub przedstawiciele firmy mogą zlecić przeprowadzenie badania UWI, ponosząc jego koszty. Mogą powiadomić G-BA o zamiarze zlecenia badania w terminie określonym przez G-BA (co najmniej dwa miesiące) po wejściu w życie wytycznych dotyczących badań.
- Zlecenie przez G-BA: G-BA zleca przeprowadzenie badania UWI, jeśli żaden producent lub przedstawiciel wyrobu medycznego, nie wyrazi zamiaru zlecenia przeprowadzenia badania UWI. W celu ustalenia UWI G-BA publikuje zaproszenie do składania ofert w Dzienniku Urzędowym UE oraz na swojej stronie internetowej (G-BA 2025f).

W pierwszym kroku UWI przygotowuje protokół badania i uzyskuje oficjalne zgody niezbędne do rozpoczęcia badania. W drugim kroku UWI wybiera ośrodki badawcze, które następnie rekrutują pacjentów do badania i przeprowadzają leczenie oraz obserwację. Proces od dopuszczenia metody do badania próbnego do rozpoczęcia badania trwa 18 miesięcy (G-BA 2025e).

Świadczenia wykonywane w ramach badania są refundowane bezpośrednio przez ustawowe kasy chorych. Po zakończeniu badania UWI ocenia wyniki i przedkłada raport końcowy do G-BA. W kolejnej procedurze oceny G-BA analizuje, czy wyniki badania w wystarczającym stopniu wskazują na korzyści płynące z metody (G-BA 2025f).

5.1.2. Aplikacje e-Health (DiGA)

Opis programu

Ustawa o cyfrowej opiece zdrowotnej (niem. *Digitale-Versorgungs-Gesetz*, ang. *Digital Healthcare Act*, DVG) z dnia 19 grudnia 2019 r. wprowadziła „aplikację na receptę" (ang. "*app on prescription*"). Aplikacje mogą być przepisywane przez lekarzy i psychoterapeutów i są refundowane przez ubezpieczycieli zdrowotnych. Aby rozwiązanie cyfrowe zostało zakwalifikowane do katalogu refundowanych cyfrowych aplikacji zdrowotnych (tzw. katalogu DiGA) musi pomyślnie przejść ocenę przeprowadzaną przez Federalny Instytut Leków i Wyrobów Medycznych (niem. *Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte*, BfArM).

Szczegóły procedury składania wniosków, wymagania dla DiGA oraz strukturę katalogu DiGA określono w rozporządzeniu o cyfrowych aplikacjach zdrowotnych (niem. *Digitale-Gesundheitsanwendungen-*

Verordnung, DiGAV) wydanym przez Federalne Ministerstwo Zdrowia (niem. *Bundesministerium für Gesundheit*, BMG).

Ścieżka wstępnego umieszczania na liście DiGA (niem. *Digitale Gesundheitsanwendungen)* jest porównywalna z istniejącą ścieżką „nowych metod badań i leczenia" (NUB), która umożliwia refundację nowych metod badań i leczenia, nieobjętych jeszcze niemieckim systemem grup diagnostyczno-płatniczych (DRG). Wstępna lista DiGA jest ukierunkowana na zapełnienie luki między innowacją a dowodami, podczas gdy system NUB dąży do integracji nowych metod badań i leczenia z systemem refundacji.

Kryteria włączenia

Cyfrowe aplikacje zdrowotne, aby mogły zostać uwzględnione w katalogu DiGA, muszą wykazywać następujące właściwości:

- wyrób medyczny klasy ryzyka I lub IIa (zgodnie z MDR lub MDD);
- główna funkcja opiera się na technologiach cyfrowych;
- nie jest aplikacją cyfrową, która służy wyłącznie do zbierania danych z urządzenia lub do sterowania urządzeniem, cel medyczny musi zostać osiągnięty za pomocą głównych funkcji cyfrowych;
- wspiera rozpoznawanie, monitorowanie, leczenie lub łagodzenie chorób lub rozpoznawanie, leczenie lub łagodzenie lub kompensację urazów lub niepełnosprawności;
- nie służy profilaktyce pierwotnej;
- jest używana wyłącznie przez pacjenta lub przez pacjenta i dostawcę opieki zdrowotnej (aplikacje, z których korzysta wyłącznie lekarz w celu leczenia pacjentów nie kwalifikują się)
- pełni rolę „cyfrowego asystenta" w rękach pacjentów.

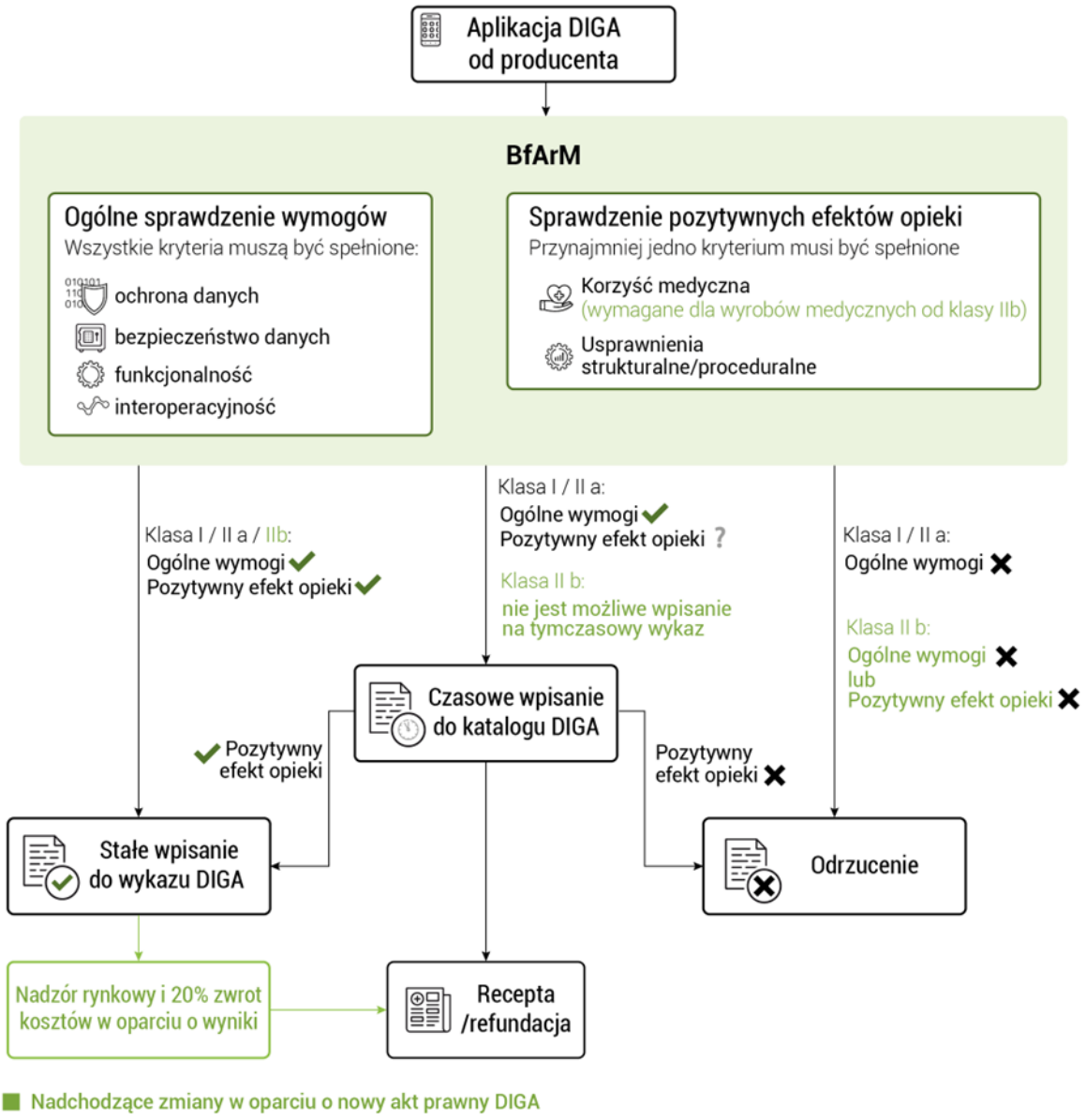
Zasadniczo DiGA może być aplikacją natywną (oprogramowaniem stworzonym na konkretny system operacyjny, np. iOS lub Android), jak również aplikacją na komputer lub przeglądarkę. DiGA może również obejmować urządzenia, czujniki lub inny sprzęt oprócz oprogramowania, pod warunkiem, że główna funkcja jest w przeważającej mierze cyfrowa, sprzęt jest niezbędny do osiągnięcia celu DiGA i sprzęt nie jest prywatnie finansowanym przedmiotem codziennego życia, takim jak mata gimnastyczna lub smartfon do wykonywania ćwiczeń prowadzonych przez DiGA. Niemniej jednak DiGA może na przykład uzyskać dane ze smartwatcha za pośrednictwem standardowego interfejsu, pod warunkiem, że zostały one uwzględnione i pozytywnie ocenione w ocenie zgodności (DiGA 2020).

Przebieg procesu

W przypadku wyrobów DiGA producenci składają wniosek bezpośrednio do BfArM. Po złożeniu wniosku BfArM ocenia go przez 3 miesiące, z możliwością przedłużenia o 2 miesiące. Zatwierdzony wyrób jest wpisany na listę DiGA i objęty refundacją. Producent ustala cenę i udostępnia aplikację przez receptę z kodem dostępu. Przez 12 miesięcy producent zbiera dodatkowe dowody kliniczne.

Jeśli są wystarczające, produkt zostaje na liście; jeśli nie, może być wycofany. W 12-tym miesiącu zaczynają się negocjacje cenowe z GKV-Spitzenverband, które trwają 5-6 miesięcy. W razie niepowodzenia, powoływana jest rada arbitrażowa. Po uzgodnieniu cena zastępuje początkową. Cały proces DiGA trwa około 18 miesięcy.

Rysunek 5. Ścieżka DiGA i planowane zmiany



Źródło: Schmidt 2024

Wymagania formalne, techniczne i kliniczne

Wpisanie cyfrowej aplikacji zdrowotnej do katalogu DiGA umożliwia: (1) refundację ostateczną (inaczej wpis ostateczny, ang. *final listing*), jeśli producent przedstawi pełne wyniki badania porównawczego dotyczącego skuteczności DiGA, które zostało zakończone, lub (2) refundację tymczasową (wpis tymczasowy, ang. *provisional listing* w ramach *fast-track procedure*), nawet jeśli nie przedstawiono pełnych dowodów naukowych potwierdzających jej skuteczność. W obu tych przypadkach aplikacja musi spełniać obowiązkowo określone **wymagania formalno-techniczne** (ang. *requirements for DiGA*), takie jak:

- główna funkcjonalność oparta na technologii cyfrowej,
- spełnianie wymogów bezpieczeństwa,
- zgodność ze standardami ochrony danych osobowych,
- zapewnienie interoperacyjności (w warunkach niemieckich rozumiana jako interakcja z elektroniczną kartą ubezpieczenia zdrowotnego (eGK), elektroniczną dokumentacją zdrowotną (ePA), cyfrowymi

platformami ubezpieczycieli zdrowotnych i telemedycyną; wdrażane równolegle z rozwijającą się krajową infrastrukturą e-zdrowia w Niemczech przez producentów DiGA),
- klasyfikacja jako wyrób medyczny niskiego ryzyka (klasa I lub IIa) zgodnie z europejskimi regulacjami MDR lub MDD (uwaga: planuje się rozszerzenie klasyfikacji DiGA o wyroby klasy IIb; zmiany te mają na celu umożliwienie refundacji bardziej zaawansowanych cyfrowych wyrobów medycznych, które mogą znacząco poprawić proces zarządzania pacjentami i leczenia chorób).

Powyższe wymagania stanowią przedmiot **list kontrolnych** (zawartych w Załączniku 1 i 2 do Rozporządzenia DiGAV) i są uporządkowane tematycznie:

- *Załącznik 1: Wymagania dotyczące ochrony danych i bezpieczeństwa informacji*,
- *Załącznik 2: Wymagania dotyczące interoperacyjności, odporności, ochrony konsumenta, łatwości użycia, wsparcia świadczeniodawców, jakości usług medycznych oraz bezpieczeństwa pacjenta. Listy kontrolne wypełnia i potwierdza producent*.

Dodatkowo DiGA musi wykazać co najmniej jeden **pozytywny efekt zdrowotny** (ang. *Positive Healthcare Effect*):

1) korzyść medyczną (poprawę stanu zdrowia, skrócenie czasu trwania choroby, wydłużenie przeżycia, poprawę jakości życia), lub
2) istotną dla pacjenta poprawę struktury i procesów opieki:
   - działania w ramach rozpoznawania, monitorowania, leczenia lub łagodzenia chorób, lub
   - działania w ramach rozpoznawania, leczenia, łagodzenia lub kompensowania urazów lub niepełnosprawności, oraz
   - działania ukierunkowane na wspieranie zachowań zdrowotnych pacjentów lub integrację procesów między pacjentami a świadczeniodawcami, oraz
   - obejmują w szczególności następujące obszary: (1) koordynacja procedur leczenia, (2) dostosowanie leczenia do wytycznych i uznanych standardów, (3) adherencja (przestrzeganie zaleceń terapeutycznych), (4) ułatwienie dostępu do opieki, (5) bezpieczeństwo pacjenta, (6) kompetencje zdrowotne, (7) autonomia pacjenta, (8) radzenie sobie z trudnościami życia codziennego związanymi z chorobą, (9) redukcja wysiłku i obciążenia związanego z terapią dla pacjentów i ich bliskich" (DiGA 2020).

Aby udowodnić pozytywny efekt zdrowotny, producent musi przedstawić wyniki badania porównawczego, które wskazują, że zastosowanie DiGA jest lepsze niż jego niezastosowanie. To oznacza: w grupie pacjentów stosujących DiGA w ramach terapii, korzyść medyczna musi zostać wykazana poprzez porównanie z inną grupą pacjentów, która nie korzysta z DiGA.

„Niezastosowanie" DiGA, czyli grupa porównawcza, może oznaczać:

- leczenie bez użycia DiGA, lub
- brak leczenia, lub
- leczenie inną, porównywalną DiGA, która w momencie składania wniosku jest już ostatecznie wpisana do katalogu DiGA.

W zależności od pytania badawczego i badanych punktów końcowych, badania przedstawiane w celu udowodnienia pozytywnych efektów zdrowotnych mogą być badaniami klinicznymi lub epidemiologicznymi, ale mogą być również projektowane i realizowane z użyciem metod z innych dziedzin naukowych, takich jak badania nad opieką zdrowotną, badania społeczne lub badania nad zachowaniem. Warunkiem wstępnym jest to, że są to ilościowe badania porównawcze oraz że wybrana metodologia jest adekwatna do wybranego przedmiotu badania. Badania te muszą być przeprowadzane w Niemczech (poza indywidualnymi przypadkami).

Badania muszą być zarejestrowane w publicznym rejestrze badań. Rejestr badań musi być rejestrem podstawowym lub partnerskim Światowej Organizacji Zdrowia (WHO) w ramach *International Clinical Trials Registry Platform*, lub dostawcą danych tej platformy. Uznanym rejestrem podstawowym dla Niemiec jest Niemiecki Rejestr Badań Klinicznych (DRKS) prowadzony przez BfArM.

Badania potwierdzające pozytywny wpływ na opiekę zdrowotną, które musi posiadać cyfrowa aplikacja zdrowotna aby ubiegać się o wpisanie do katalogu DiGA zostały przedstawione na rysunku poniżej.

Na podstawie przeprowadzonych badań producent musi dostarczyć dowód, iż DiGA jest lepsza niż grupa kontrolna. Nie wystarczy zatem udowodnić, że DiGA jest równoważna innej DiGA, która została już ostatecznie dopuszczona do katalogu.

Rysunek 6. Dowody naukowe potwierdzające pozytywny wpływ na opiekę zdrowotną, które musi posiadać cyfrowa aplikacja zdrowotna aby ubiegać się o wpisanie do katalogu DiGA

	Możliwe w oparciu o badanie porównawcze	Możliwe w oparciu o badanie retrospektywne	Możliwe w oparciu o badanie prospektywne	
Opinia ekspertów lub raport ekspertów	✗	✗	✗	→ wykluczone
Badania obserwacyjne, wyłącznie opisowe np. serie przypadków, opisy przypadków, badania przekrojowe	✗	✓	✗	→ wykluczone
Analityczne badania obserwacyjne np. badania kliniczno-kontrolne, badania kohortowe	✓	✓	✓	→ dozwolone
Eksperymentalne badania interwencyjne np. badania nie randomizowane, badania randomizowane	✓	✗	✓	→ dozwolone
Meta-analizy także z użyciem w nich własnych danych pierwotnych	✓	✓	✗	→ dozwolone

✓ możliwe ✗ niemożliwe

Źródło: DiGA 2020

Wniosek o wpis do katalogu wymaga przedłożenia co najmniej retrospektywnego badania porównawczego. Możliwe są, co najmniej:

- badania typu case-control,
- retrospektywne badania kohortowe lub
- badania porównawcze *intra-individual* (porównanie „przed-po" w jednej grupie pacjentów).

Niezależnie od tego, producent ma zawsze prawo złożyć badanie porównawcze prospektywne, czyli badanie o zasadniczo wyższym poziomie dowodu. Jeśli DiGA zawiera instrumenty diagnostyczne, czyli np. pomiar i interpretację danych życiowych, ankietę dotyczącą stanu fizycznego lub psychicznego użytkownika, ocenę odczuwania bólu itp., należy przedstawić dodatkowe badania dotyczące jakości testu (czułości, swoistości).

Aby uzyskać ostateczny wpis do katalogu DiGA, konieczne jest wykazanie co najmniej jednej korzyści medycznej na podstawie własnej analizy danych dotyczących stosowania DiGA, zgodnie z powyższym opisem. Samo powoływanie się na literaturę pierwotną i badania – nawet z innych, podobnych DiGA – nie jest dopuszczalne.

Cyfrowe aplikacje zdrowotne, które nie posiadają jeszcze ww. dowodów skuteczności, mogą skorzystać z wspomnianej powyżej przyspieszonej, trzymiesięcznej procedury zatwierdzania (ang. *Fast-Track Procedure*) w ramach refundacji tymczasowej.

W tym przypadku w ramach wniosku o wpis tymczasowy wymagane jest złożenie:

1) systematycznej oceny danych dotyczących użycia DiGA (obejmuje systematyczny przegląd literatury oraz uwzględnienie własnych danych uzyskanych podczas stosowania DiGA. Przykładowo w ramach składania wniosku o wpis tymczasowy producent może przedstawić analizy danych RWD z DiGA).
2) koncepcji ewaluacji opracowanej zgodnie z powszechnie uznanymi standardami naukowymi, która uwzględnia wyniki oceny danych. Protokół planowanego badania powinien stanowić część koncepcji ewaluacji. Ponadto producent przygotowuje dokument towarzyszący, który wyjaśnia wybór punktów końcowych i projekt badania dla wybranego porównania oraz rzeczywistą praktykę kliniczną. Taki dokument musi zostać opracowany przez niezależny od producenta instytut naukowy. „Niezależny od producenta" oznacza, że jest to instytucja, która nie jest szczególnie powiązana z producentem finansowo, organizacyjnie ani merytorycznie. Ponadto nie mogą istnieć konflikty interesów.

Zasady finansowania

Aplikacje cyfrowe wpisane do katalogu DiGA są objęte refundacją przez 12 miesięcy, w trakcie których producent zbiera dodatkowe dowody kliniczne. Jeśli są wystarczające, produkt zostaje na liście; jeśli nie, może być wycofany. W 12. miesiącu zaczynają się negocjacje cenowe, w wyniku których zostaje uzgodniona nowa cena, zastępująca początkową.

Drugą możliwością jest tymczasowe wpisanie do katalogu DiGA na okres 12 miesięcy, z możliwością przedłużenia – w uzasadnionych przypadkach – do 24 miesięcy (na wniosek producenta), która następuje w wyniku *Fast-Track Procedure*.

Po wstępnym wpisaniu do katalogu, producent zobowiązany jest do przeprowadzenia badania potwierdzającego pozytywny wpływ aplikacji na opiekę zdrowotną (lub do kontynuowania już rozpoczętego badania). Zasadniczo producent może wybrać projekt badania lub oceny w zależności m.in. od rodzaju DiGA i docelowego efektu zdrowotnego. Należy jednak przedstawić badania ilościowe, niezależnie od wybranego efektu zdrowotnego, który ma zostać zweryfikowany, czysto jakościowe wyniki badań nie są wystarczające.

Na podstawie uzyskanych wyników BfArM podejmuje decyzję o dalszym pozostawieniu aplikacji w katalogu DiGA lub o jej usunięciu. W przypadku braku przedstawienia wyników badań lub odrzucenia wniosku, aplikacja zostaje wykreślona z katalogu. Producent może ponownie złożyć wniosek o wpisanie aplikacji dopiero po upływie 12 miesięcy od daty odrzucenia, pod warunkiem przedstawienia nowych dowodów na jej pozytywny wpływ na opiekę zdrowotną. Wielokrotne tymczasowe wpisywanie aplikacji do katalogu wyłącznie w celach testowych nie jest dozwolone.

Jeszcze przed złożeniem wniosku producent musi zdecydować, czy ubiega się o tymczasowe, czy o ostateczne umieszczenie aplikacji w katalogu DiGA – decyzja ta zależy od dostępności dowodów skuteczności. Złożenie wniosku jest związane z uiszczeniem opłaty (DiGA 2020).

W przypadku wpisu tymczasowego do katalogu bezpieczeństwo wyrobu medycznego jest zapewnione zasadniczo przez prawo o wyrobach medycznych, producent DiGA ponosi odpowiedzialność zgodnie z ogólnymi zasadami prawa cywilnego oraz prawa odpowiedzialności za produkt.

W Niemczech nie istnieje odgórnie ustalony budżet ani limit wydatków na aplikacje DiGA w systemie ustawowego ubezpieczenia zdrowotnego (SHI).

5.2. Wielka Brytania

Brytyjska Narodowa Służba Zdrowia (ang. *National Health Service*, NHS) współpracuje z Agencją ds. Regulacji Leków i Produktów Zdrowotnych (ang. *Medicines and Healthcare products Regulatory Agency*, MHRA) i Agencją Oceny Technologii Medycznych w Wielkiej Brytanii (ang. *National Institute for Health and Care Excellence*, NICE) w zakresie regulacji, oceny oraz refundacji wyrobów medycznych. Przed ich dopuszczeniem do obrotu muszą one posiadać europejski znak CE lub znak UKCA, które potwierdzają spełnienie wymogów bezpieczeństwa i wydajności. Wszystkie wyroby muszą być zarejestrowane w MHRA przed wprowadzeniem do obrotu.

5.2.1. Ocena technologii medycznych

W Wielkiej Brytanii refundacja wyrobów medycznych zależy od innowacyjności, kosztu i dostępności funduszy w NHS. NICE ocenia skuteczność, koszty i programy finansowania. Nowe produkty przechodzą ocenę HTA, a NICE współpracuje z centrum zajmującym się analizą dowodów leczniczych (ang. *Centre for Evidence-based Decision Analysis and Research*, CEDAR) i komitetem doradczym (ang. *Medical Technology Advisory Committee*, MTAC). Program Oceny Technologii Medycznych (ang. *Medical Technologies Evaluation Programme*, MTEP) wspiera wprowadzanie nowych technologii do NHS. CEDAR ocenia dowody, przegląda literaturę i tworzy modele ekonomiczne. Rekomendacje NICE wpływają na decyzje refundacyjne. Proces trwa około 38 tygodni. Pozytywna rekomendacja NICE umożliwia finansowanie i włączenie wyrobu do ścieżek opieki, natomiast negatywna zaleca powstrzymanie się od jego stosowania (NICE).

Wczesna ocena wartości technologii medycznych

Wczesna ocena wartości technologii medycznych (ang. *Early Value Assessment*, EVA) to nowa inicjatywa NICE, której celem jest poprawa opieki nad pacjentami i efektywne wykorzystanie zasobów NHS poprzez szybszy dostęp do obiecujących technologii medycznych, które odpowiadają na krajowe niezaspokojone potrzeby. Głównym celem programu jest umożliwienie wcześniejszego dostępu do obiecujących technologii, zanim będą miały kompletne dane potrzebne do pełnej HTA przeprowadzanej przez NICE.

Aby opracować wczesną oceny wartości, NICE przyjmuje podejście „testuj i ucz się" i uruchamia pilotaże, których celem jest analiza luk klinicznych ekonomicznych. Każda wczesna ocena wartości obejmuje odpowiednie technologie, które są wykorzystywane do określonego celu lub wskazania. Zalecenia dotyczące wczesnej oceny wartości odnoszą się do każdej technologii indywidualnie.

EVA nie jest mechanizmem finansowania, jest to proces oceny. NICE nie finansuje technologii, rekomendacja EVA może zostać wykorzystana przez NHS lub inne podmioty jako podstawa do decyzji o sfinansowaniu tymczasowego wdrożenia lub warunek wejścia do specjalnych programów finansowania. EVA pokazuje, że technologia ma potencjał, ale wymaga dalszego sprawdzenia (EVA).

Program HealthTech

W lutym 2025 r. NICE opublikował podręcznik nowego programu HealthTech i rozpoczął konsultacje. Program będzie obejmował wytyczne: dotyczące procedur interwencyjnych i dotyczące HealthTech.

- Wytyczne dotyczące HealthTech obejmą technologie niemedyczne, takie jak diagnostyka, urządzenia medyczne i technologie cyfrowe, w tym sztuczną inteligencję. Program będzie wydawał zalecenia oparte na ocenie klinicznej i opłacalności produktów HealthTech.
- Wytyczne dotyczące procedur interwencyjnych będą istotne dla procedur obejmujących nacięcie, nakłucie lub wejście do jamy ciała lub użycie energii jonizującej, elektromagnetycznej lub akustycznej. Zalecenia będą wydawane na podstawie oceny skuteczności i bezpieczeństwa nowych, znacząco zmodyfikowanych lub ustalonych procedur.

Zmiany mają na celu przekształcenie sposobu oceny wyrobów medycznych, diagnostyki oraz cyfrowych i AI technologii medycznych związanej z ewolucją NHS. Umożliwi to ocenę większej liczby produktów i zniesie wymóg, aby wyroby medyczne wykazywały oszczędności, aby można je było rekomendować do stosowania w NHS (HealthTech)

5.2.2. Cyfrowe wyroby medyczne

NICE współpracuje z NHS, organizacją MEDCITY oraz organizacją wspierającą wdrażanie rozwiązań cyfrowych (ang. *Digital Health London*), aby opracować standardy dowodowe dotyczące różnych technologii medycznych. Celem owej współpracy jest umożliwienie innowatorom zrozumienie poziomu dowodów, jakie muszą przedstawić, co może przyśpieszyć proces generowania dowodów i ułatwić wdrażanie innowacyjnych rozwiązań w NHS. Public Health England stworzył przewodnik, który krok po kroku pokazuje proces generowania dowodów dla produktów cyfrowych oraz pomaga stworzyć Clinical Evaluation Report. NICE wymaga od innowatorów dostarczenia bardziej rozbudowanej bazy dowodowej, zarówno w zakresie oceny klinicznej, jak i ekonomicznej, które będą potem podstawą do stworzenia raportu HTA lub wytycznych.

NICE opracował *Evidence Standards Framework* dla cyfrowych technologii zdrowotnych, współpracując ściśle z NHS, MEDCITY oraz innymi interesariuszami. Składa się z on z 3 komponentów. Są to:

- dowody na efektywność, oparte na funkcjonalnej klasyfikacji cyfrowych technologii zdrowotnych dla określonych zastosowań,
- dowody na wpływ ekonomiczny,
- ocena zasobów, w tym studia przypadków.

Dostępny jest także szablon do opracowania analizy wpływu na budżet.

NICE opracował funkcjonalną kategoryzację narzędzi cyfrowych w „tierach", w których funkcje mogą być oceniane pod kątem wpływu klinicznego i ryzyk. Oczekiwany poziom dowodów wzrasta w miarę wzrostu ryzyka związanego z technologią. Dla produktów, które pełnią więcej niż jedną funkcję, wymagania dotyczące dowodów dla funkcji, która niesie najwyższy potencjalny wpływ i najwyższe ryzyka, powinny zostać spełnione.

Programy oceny technologii NICE, takie jak *Medical Technologies Evaluation Programme* (MTEP), rozważają produkty, które mogą oferować istotne korzyści dla pacjentów i systemu opieki zdrowotnej w porównaniu z obecną praktyką.

Tabela 11. Ocena i proces refundacji technologii cyfrowych w Wielkiej Brytanii

Etap	Opis
Wymagania w zakresie HTA	Technologie zdrowotne muszą przedstawić dowody na skuteczność i ocenę ekonomiczną.
Evidence Standards Framework	Określają wymagania dotyczące dowodów dla technologii zdrowotnych, w tym skuteczności i wpływu ekonomicznego.
Ocena ryzyka	Technologie wyższego ryzyka muszą spełniać dodatkowe standardy najlepszych praktyk.
NHS Apps Library	Aplikacje zdrowotne są oceniane pod kątem bezpieczeństwa, ochrony danych i interoperacyjności.
Zatwierdzenie NICE	NICE ocenia technologiczne rozwiązania i wydaje rekomendacje/wytyczne pozwalające na stosowanie ich w ramach NHS.

Skróty: HTA, health technology assessment, ocena technologii medycznych; NHS, National Health Service, Narodowa Służba Zdrowia w Wielkiej Brytanii; NICE, National Institute for Health and Care Excellence, agencja oceny technologii medycznych w Wielkiej Brytanii

W procesach refundacji wyrobów medycznych w Wielkiej Brytanii kluczową rolę odgrywają szczegółowe oceny dowodów na skuteczność oraz wpływ ekonomiczny technologii. Te procesy umożliwiają wdrażanie innowacyjnych rozwiązań w systemach ochrony zdrowia, a także zapewniają zgodność z odpowiednimi regulacjami i wymaganiami rynku.

5.2.3. Finansowanie nowych technologii

NHS wprowadził programy finansowania innowacji, aby przyspieszyć wdrażanie nowych technologii medycznych, zwłaszcza tych, które obiecują oszczędności lub znaczne korzyści dla pacjentów. Programy umożliwiają refundację lub centralne finansowanie, pomagając pokonać bariery finansowe związane z testowaniem nowych wyrobów.

Refundacja innowacyjnych wyrobów medycznych w ramach opieki szpitalnej

Szpitale w Wielkiej Brytanii otrzymują refundację za większość procedur w ramach systemu płatności opartej o wyniki, tzw. taryfa krajowa. W ramach tego systemu każda procedura szpitalna lub jednodniowa jest klasyfikowana w ramach grupy (ang. *Healthcare Resource Group*, HRG) z ustaloną ceną lub taryfą. Koszt standardowych wyrobów medycznych używanych w procedurze jest zazwyczaj wliczany do taryfy płaconej szpitalowi. W przypadku, gdy nowy wyrób medyczny jest znacznie droższy niż taryfa za świadczenie, szpital ponosi koszty, o ile taryfa nie zostanie dostosowana lub nie zostanie dokonana dodatkowa płatność. Taryfa NHS jest zazwyczaj aktualizowana co rok lub dwa lata, ale istnieją mechanizmy umożliwiające żądanie korekt lub wprowadzenie nowych płatności za innowacyjne technologie. W tym celu NHS definiuje wysokokosztowe wyroby medyczne wyłączone z taryfy. Są to implanty lub wyroby o bardzo wysokich kosztach jednostkowych. W przypadku takich pozycji szpitale otrzymują osobną refundację oprócz standardowej stawki za procedurę. (NHS England)

MedTech Funding Mandate

Program finansowania nowych technologii medycznych (ang. *MedTech Funding Mandate*, MTFM) to program uruchomiony w 2021 roku przez NHS England, mający na celu przyspieszenie wprowadzania do użytkowania wyrobów medycznych, diagnostycznych lub produktów cyfrowych przynoszących oszczędności, które zostały zatwierdzone przez NICE. Program MTFM ogranicza lub usuwa finansową niepewność dla szpitali w adoptowaniu pewnych innowacji, gwarantując, że oszczędności, wykazane w rekomendacji NICE, zostaną zrealizowane. Program ten jest corocznie aktualizowany o nowe technologie. Aby zakwalifikować się do programu, wyrób musi spełniać następujące kryteria:

- uzyskać pozytywną rekomendację NICE
- wykazać, że przynosi oszczędności w horyzoncie 3-letnim;
- jego wpływ na budżet nie może przekraczać 20 mln GBP rocznie.

Po spełnieniu tych kryteriów NHS England może obejmować wyrób medyczny refundacją poprzez centralne finansowanie lub alokację budżetu na finansowanie wyrobu, koordynowaną za pośrednictwem *NHS Supply Chain*.

Celem MTFM jest zapewnienie pacjentom NHS szybszego i bardziej sprawiedliwego korzystania z klinicznie skutecznych i oszczędnych technologii medycznych.

NHS England i NICE w 2024 r. konsultowały zintegrowaną, opartą na przejrzystych zasadach ścieżkę technologii medycznych. Planowane jest zaktualizowanie zasada i procesów oraz ulepszenie ścieżki dla technologii medycznych. W latach 2025/26 polityka *MedTech Funding Mandate* nie będzie wspierać żadnych dodatkowych technologii, podczas gdy opracowywana jest ścieżka oparta na nowych zasadach (Med. Tech)

Fundusze innowacyjne

Oprócz programu MTFM NHS utworzył fundusze, takie jak *Pathway Transformation Fund, PTF* czy *Health Technology Adoption and Acceleration Fund, HTAAF*. Są to jednorazowe lub ograniczone czasowo pule finansowania, które pomagają placówkom NHS kupować i wdrażać nowe wyroby medyczne. Trusty mogą składać oferty lub otrzymywać środki na pokrycie początkowych kosztów zatwierdzonych wyrobów medycznych. Celem jest przezwyciężenie ograniczeń budżetowych, które w przeciwnym razie mogłyby opóźnić wdrożenie, zwłaszcza jeśli zastosowanie wyrobu wymaga początkowego kapitału lub szkolenia przed wdrożeniem i przed osiągnięciem spodziewanych oszczędności.

Płatność za innowację i technologię

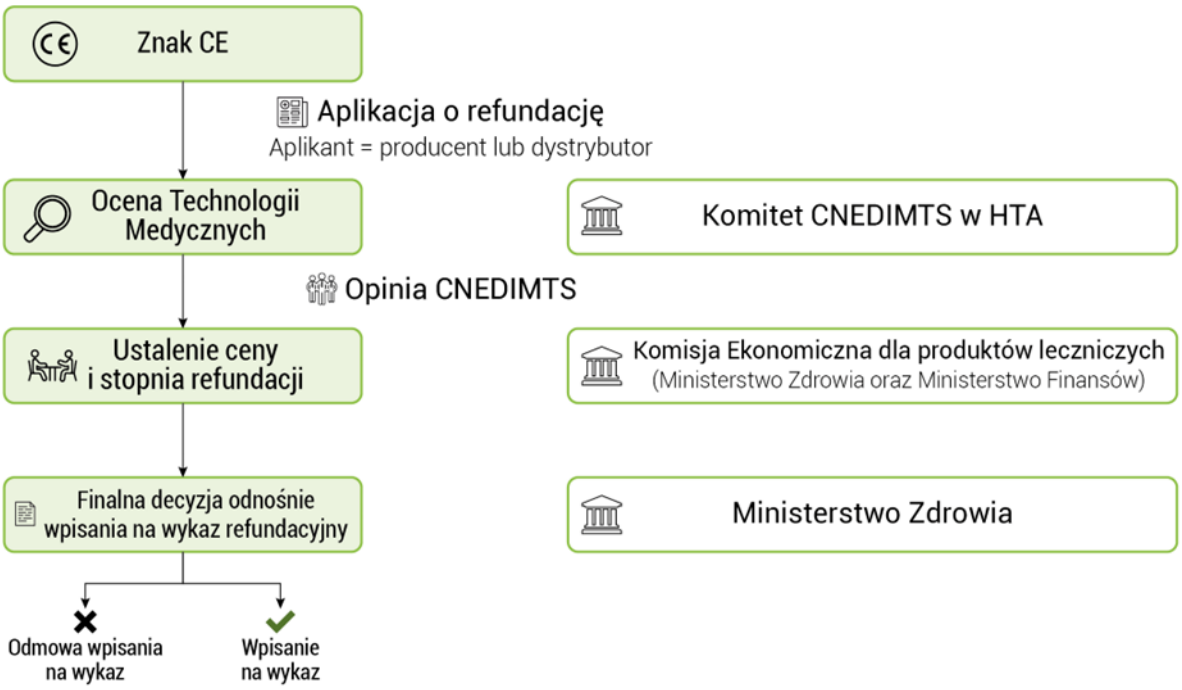
Przed wprowadzeniem finansowania w ramach MedTech, NHS prowadził programy pilotażowe, takie jak taryfa za innowacje i technologię (ang. *Innovation and Technology Tariff, ITT*) oraz płatność za innowacje i technologię (ang. *Innovation and Technology Payment, ITP*). Umożliwiły one centralne refundowanie niektórych sprawdzonych innowacji, które mogą być dostarczane do trustów bez dodatkowych kosztów, a NHS England pokrywa koszt w ramach ITT. Programy te częściowo zostały zastąpione przez *MedTech Funding Mandate*.

5.3. Francja

System opieki zdrowotnej we Francji jest dualny, obejmujący publiczne i prywatne ubezpieczenia, z obowiązkowym ubezpieczeniem zdrowotnym (fr. *Assurance Maladie Obligatoire*, AMO). Osoby o niskich dochodach mogą korzystać z darmowego ubezpieczenia (fr. *Couverture Maladie Universelle Complémentair*, CMU-C). System jest zarządzany centralnie przez rząd, a Regionalne Agencje Zdrowia (fr. *Agences Régionales de Santé*, ARS) nadzorują opiekę na poziomie regionalnym.

Na schemacie poniżej zostały przedstawione główne instytucje biorące udział w ogólnym procesie włączania wyrobu medycznego na listę refundacyjną.

Rysunek 7. Ogólny proces umieszczania wyrobów medycznych na liście refundacyjnej (Martin 2024)



Dostęp do wyrobów medycznych

Dostępnych jest kilka mechanizmów refundacji wyrobów medycznych:

- **Lista produktów i usług podlegających refundacji** (fr. *Liste des Produits et Prestations Remboursable,* ang. *the List of Reimbursable Products and Services*, LPPR) – lista obejmująca wyroby medyczne refundowane przez krajowy system ubezpieczeń zdrowotnych;
- **Jednorodne grupy pacjentów** (wg. francuskiej klasyfikacji jednorodnych grup pacjentów, fr. *Groupes Homogènes de Séjours*, GHS) – w przypadku wyrobów medycznych stosowanych w warunkach szpitalnych, refundacja może być zintegrowana z systemem GHS;
- **Finansowanie innowacji** (fr. *Forfait Innovation*, ang. *Innovation Funding*, FI) – czasowy mechanizm refundacji innowacyjnych technologii medycznych (wyrobów medycznych i procedur medycznych), które odpowiadają na niezaspokojone potrzeby medyczne, dający czas na zebranie niezbędnych danych klinicznych;
- **Finansowanie przejściowe** (fr. *The Prise en Charge Transitoire,* PECT) – czasowy mechanizm refundacji innowacyjnych wyrobów medycznych, przeznaczonych do leczenia rzadkich lub ciężkich chorób lub dla osób z niepełnosprawnością;
- **Finansowanie przejściowe aplikacji cyfrowych w ochronie zdrowia** (fr. *Prise en Charge Anticipée Numerique,* PECAN) – czasowy mechanizm refundacji innowacyjnych wyrobów medycznych obejmujący dwie kategorie wyrobów: cyfrowe wyroby medyczne o charakterze terapeutycznym, wyroby medyczne cyfrowe przeznaczone do celów monitorowania pacjentów, bez celu terapeutycznego.

Dodatkowo we Francji funkcjonują również ścieżki dedykowane wyłącznie wyrobom medycznym do diagnostyki *in vitro* (IVMDs) (Martin 2024).

W poniższej tabeli zaprezentowane zostały mechanizmy refundacji wyrobów medycznych oraz cyfrowych urządzeń medycznych (CUM) we Francji. Zawiera ona informacje o programach finansowania obejmujących zarówno tymczasową, jak i standardową refundację, zależnie od typu urządzenia i jego przeznaczenia.

Tabela 12. System zarządzania mechanizmami finansowania (refundacji) wyrobów medycznych i cyfrowych urządzeń medycznych we Francji

<table>
<tr><th rowspan="2">Rodzaj refundacji</th><th rowspan="2">Wyroby medyczne</th><th colspan="3">Cyfrowe urządzenia medyczne (CUM)</th></tr>
<tr><th>Inne CUM</th><th>CUM do celów terapeutycznych</th><th>CUM do zdalnego monitorowania</th></tr>
<tr><td rowspan="2">Tymczasowa refundacja (przed standardową refundacją)</td><td colspan="4">Program finansowania innowacji (FI)</td></tr>
<tr><td colspan="2">PECT</td><td colspan="2">PECAN</td></tr>
<tr><td rowspan="2">Standardowa refundacja</td><td colspan="3">LPPR</td><td>LATM</td></tr>
<tr><td>GHS</td><td colspan="3"></td></tr>
</table>

Źródło: https://www.has-sante.fr/jcms/c_928541/fr/comprendre-l-evaluation-des-dispositifs-medicaux

5.3.1. Program finansowania innowacji (FI)

Program finansowania innowacji (fr. Forfait Innovation, ang. Innovation Funding, FI) to francuska inicjatywa w dziedzinie opieki zdrowotnej, utworzona w 2009 r. na mocy francuskiej Ustawy o Finansowaniu Ubezpieczeń Społecznych (ang. the *French Social Security Financing Act.* Opiera się na tymczasowym pokryciu kosztów innowacyjnego wyrobu medycznego lub procedury, pod warunkiem przeprowadzenia badania mającego na celu dostarczenie brakujących danych klinicznych i/lub medyczno-ekonomicznych, celem późniejszego udzielenia wsparcia finansowego w sposób bardziej przemyślany i uzasadniony (Ministère de la Santé 2025)

Kryteria włączenia

1. Rodzaj technologii – do pakietu innowacyjnego mogą kwalifikować się: wyroby medyczne (DM), wyroby medyczne do diagnostyki in vitro (DM-DIV) oraz procedury medyczne z wykorzystaniem tych wyrobów.
2. Innowacyjność technologii – technologia musi odpowiadać definicji innowacyjności zawartej w artykule R.165-63 francuskiego Kodeksu ubezpieczeń społecznych (z dnia 19 lutego 2015 r.):
   - prezentuje nowatorski charakter, wykraczający poza zwykłą ewolucję techniczną, w porównaniu do istniejących technologii medycznych stosowanych w zadeklarowanych wskazaniach.
   - znajduje się we wczesnej fazie wdrażania na rynek (ang. diffusion marked), nie jest i nie był wcześniej finansowany z środków publicznych w ramach deklarowanego wskazania.
   - został poddany ocenie pod kątem bezpieczeństwa dla pacjenta oraz potencjalnych zagrożeń związanych z jego użytkowaniem.
   - jego głównym celem jest przynosić istotną korzyść kliniczną w zakresie efektu terapeutycznego, diagnostycznego lub prognostycznego, umożliwiając odpowiedź na niezaspokojoną lub niewystarczająco zaspokojoną potrzebę medyczną lub redukcje kosztów opieki zdrowotnej dzięki korzyściom medyczno-ekonomicznym ocenianym pod względem efektywności lub wpływu budżetowego na koszty leczenia.
3. Badanie zaproponowane przez wnioskodawcę powinno być zarówno istotne, jak i możliwe do realizacji. Musi ono spełniać trzy warunki określone w artykule R.165-64 Kodeksu zabezpieczenia społecznego:
   - umożliwiać pozyskanie brakujących danych niezbędnych do oceny potencjalnej poprawy korzyści klinicznej oraz potwierdzenia wartości danej technologii;
   - uwzględniać istniejące lub planowane podobne badania, aby ocenić zasadność przeprowadzania nowego badania;
   - badanie musi być możliwe do przeprowadzenia, co powinno być uzasadnione na podstawie projektu protokołu oraz szacowanego budżetu (HAS 2021).

Zasady finansowania

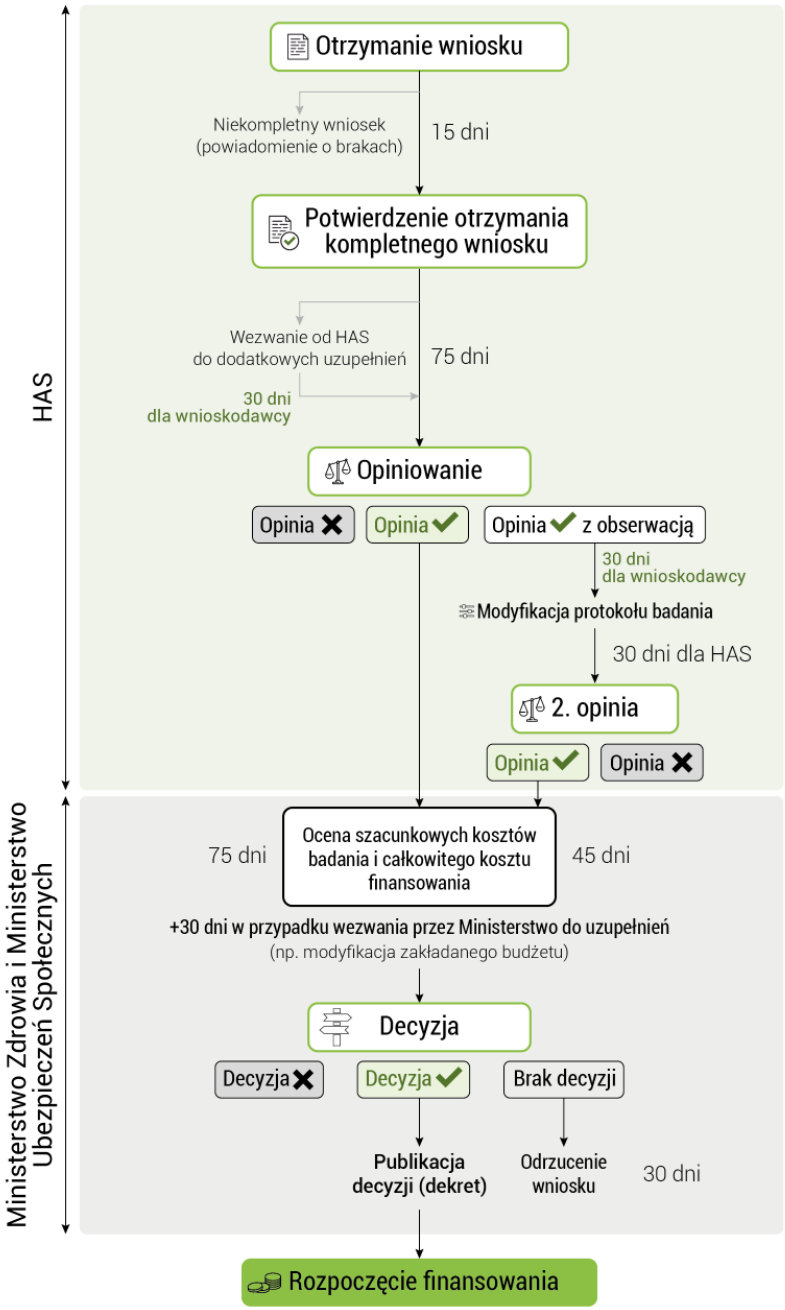
- tymczasowe finansowanie w ramach pakietu innowacyjnego obejmuje koszty technologii oraz opieki obejmujące zarówno pacjentów uczestniczących w badaniu klinicznym, jak i dla kolejnej grupy pacjentów – w celu zachowania ciągłości stosowania;
- koszt badania klinicznego ponosi sponsor (G_NIUS 2025).

Konsultacje przed złożeniem wniosku

HAS oferuje producentom, którzy sobie tego życzą, możliwość umówienia się na spotkanie przed złożeniem wniosku w celu omówienia protokołu badania. Spotkania te są bezpłatne i poufne. (HAS 2020)

Szczegółowy przebieg programu 'Finansowanie innowacji' przedstawiono poniżej.

Rysunek 8. Procedura oceny dokonywana w ramach Pakietu Innowacyjnego Forfait Innovation



Źródło: Innovation package https://gnius.esante.gouv.fr/en/financing/reimbursement-profiles/innovation-package

5.3.2. Finansowanie przejściowe (PECT)

PECT(fr. The Prise en Charge Transitoire) to program utworzony na mocy Art. L165-1-5 francuskiego Kodeksu Ubezpieczeń Społecznych, dotyczący finansowania w przypadku nieukończonego badania klinicznego i stanowiący wsparcie przejściowe w celu zapewnienia czasowej refundacji innowacyjnych wyrobów medycznych. Ta ścieżka umożliwia pacjentom z poważnymi lub rzadkimi chorobami dostęp do nowych terapii, podczas gdy producenci gromadzą niezbędne dowody kliniczne w celu uzyskania standardowej refundacji.

Refundacja, realizowana poprzez tymczasowe włączenie do LPPR, jest teoretycznie dostępna na maksymalnie 12 miesięcy, zanim nastąpi decyzja o stałej rejestracji w LPPR.

Aby kwalifikować się do programu PECT, muszą zostać spełnione następujące warunki:

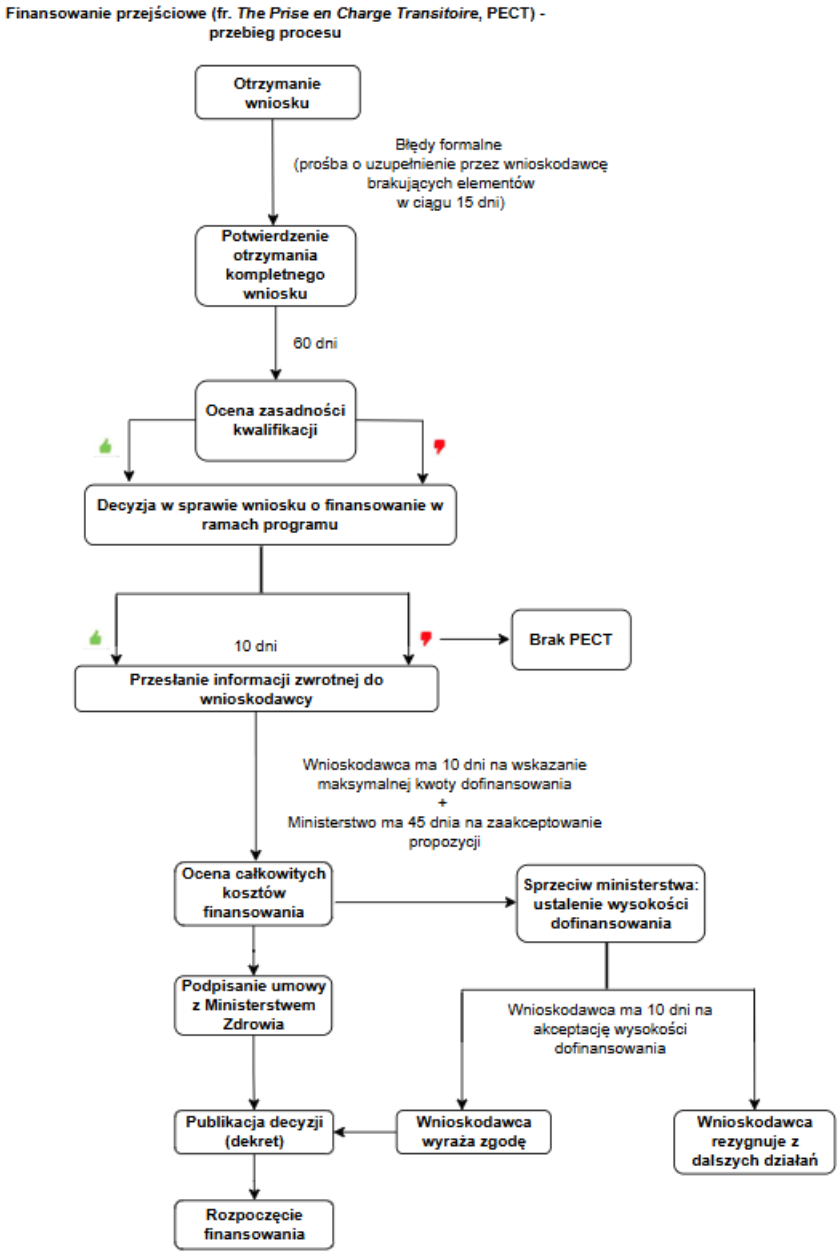
- Wyrób medyczny musi posiadać znak CE,
- Urządzenie nie może być już objęte refundacją w ramach DRG,
- Producent musi zobowiązać się do złożenia wniosku o włączenie urządzenia do LPPR w ciągu 12 miesięcy od daty przyznania przejściowego pokrycia kosztów.

HAS wydaje opinię dotyczącą zasadności refundacji wyrobu medycznego; refundacja staje się oficjalna po opublikowaniu decyzji zatwierdzającej przez Ministra Zdrowia. Komitet (fr. *Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé*, CNEDiMTS) w ramach HAS przeprowadza ocenę w ciągu 60 dni, wydając opinię opartą na kluczowych kryteriach kwalifikacyjnych.

<u>Kryteria włączenia</u>

- przeznaczenie do leczenia rzadkiej choroby lub do kompensacji niepełnosprawności,
- zaspokajanie potrzeby medycznej, która nie jest odpowiednio zaspokajana przez istniejące terapie,
- przynosi potencjalną znaczną poprawę zdrowia pacjenta lub kompensację niepełnosprawności,
- wyróżniający się charakter innowacyjny (oferowanie nowego mechanizmu działania w porównaniu z obecnymi technologiami opieki zdrowotnej stosowanymi w przypadku deklarowanego wskazania),
- na podstawie wstępnych badań klinicznych wykazanie potencjalnie znaczącej klinicznie istotnej skuteczności przy akceptowalnych profilach bezpieczeństwa,
- udział w trwającym badaniu, które ma dostarczyć wystarczających danych w ciągu 12 miesięcy na poparcie standardowego wniosku o refundacji,
- nie może dotyczyć cyfrowych o przeznaczeniu terapeutycznym lub tych wykorzystywanych do zdalnego monitorowania medycznego; nie może być WM objęty listą LPPR (HAS 2023).

Rysunek 9. Schemat realizacji programu "Finansowanie przejściowe" PECT



Źródło: HAS-SANTE

Zasady finansowania

Całkowite pokrycie kosztów wyrobu medycznego po wynegocjowaniu kosztów między Ministerstwem Zdrowia a producentem.

5.3.3. Finansowanie przejściowe aplikacji cyfrowych w ochronie zdrowia (PECAN)

W przypadku, gdy badanie kliniczne nie jest jeszcze zakończone istnieje możliwość refundacji w ramach programu Finansowanie przejściowe aplikacji cyfrowych (PECAN fr. Prise en Charge Anticipée Numerique des Dispositifs Médicaux,). Program oferuje roczną refundację innowacyjnych cyfrowych wyrobów medycznych, co daje czas na zebranie dodatkowych danych klinicznych na potrzeby wydania opinii dotyczącej wniosku o refundację.

Finansowanie w ramach programu przyznawane jest na okres jednego roku, bez możliwości przedłużenia. Warunkiem jego przyznania jest pozytywna ocena HAS (CNEDiMTS) oraz uzyskanie certyfikatu od Agencji ds. Zdrowia Cyfrowego (ANS) w zakresie bezpieczeństwa oraz interoperacyjności systemów informatycznych. CNEDiMTS wydaje opinię w terminie 60 dni od potwierdzenia otrzymania kompletu dokumentów.

Program przeznaczony jest dla cyfrowych wyrobów medycznych:

- przeznaczonych do celów terapeutycznych, zanim zostaną objęte refundacją w ramach listy produktów i usług podlegających refundacji (LPPR) lub
- wykorzystywanych do zdalnego monitorowania stanu zdrowia pacjenta, zanim zostaną objęte refundacją w ramach listy z zakresu telemonitoringu medycznego (LATM) (Ministère de la Santé 2023).

Kryteria włączenia:

- wyrób cyfrowy musi posiadać oznakowanie CE
- wyrób medyczny jest innowacyjny, zwłaszcza ze względu na potencjalne korzyści kliniczne lub usprawnienia w organizacji opieki zdrowotnej. Ocena ta opiera się na dostępnych danych początkowych oraz uwzględnia wszystkie istotne elementy porównawcze.

  Kryterium to analizowane jest w oparciu o następujące zasady:
  - zastosowanie wyrobu medycznego może przyczynić się do poprawy organizacji opieki, ale nie może obniżać jakości świadczonych usług medycznych;
  - wyrób jest przedmiotem trwających badań, które według założeń mają dostarczyć wystarczających danych, umożliwiających wydanie opinii dotyczącej wniosku o refundację.

Podmiot składający wniosek zobowiązuje się do złożenia w terminie 6 miesięcy wniosku o refundację w ramach LPPR lub 9 miesięcy na złożenie wniosku o wsparcie w ramach LATM (HAS 2024).

Zasady finansowania

Płatność ryczałtowa (ang. lump sum payment) na rzecz operatora cyfrowego WM, dystrybutora detalicznego lub operatora telemonitoringu medycznego.

5.4. Belgia

Belgia przyjęła rozbudowany system składek na ubezpieczenia społeczne, który obejmuje obowiązkowe ubezpieczenie zdrowotne zarządzane przez belgijski narodowy instytut ubezpieczeń zdrowotnych i świadczeń z tytułu niezdolności do pracy (NIHDI) (fr. Institut national d'assurance maladie-invalidité (INAMI) (Wyckmans)

Regulacje prawne

Wyroby medyczne są regulowane przez ustawę z dnia 22 grudnia 2020 r. o wyrobach medycznych, która wdraża Rozporządzenie (UE) 2017/745 z dnia 5 kwietnia 2017 r. dotyczące wyrobów medycznych (MDR), a także dwa rozporządzenia wdrażające unijne rozporządzenie dotyczące wyrobów medycznych do diagnostyki *in vitro* (IVDR) – Rozporządzenie (UE) 2017/746, które weszło w życie w maju 2022 r. (Vooren).

Ocena wyrobów medycznych

W Belgii instytucją odpowiedzialną za ocenę skuteczności klinicznej i wartości dodanej wyrobów medycznych w ramach oceny technologii medycznych jest Federalne Centrum Eksperckie ds. Opieki Zdrowotnej (fr. *Centre fédéral d'expertise des soins de santé,* nl. *Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg* KCE).

Działalność KCE obejmuje następujące obszary ekspertyzy:

- badania nad organizacją i finansowaniem opieki zdrowotnej
- ocena technologii medycznych,
- opracowywanie wytycznych praktyki klinicznej dostosowanych do najnowszych osiągnięć naukowych oraz udział w belgijskiej sieci praktyki opartej na dowodach (Evidence-Based Practice),
- koordynacja belgijskiego programu niekomercyjnych badań klinicznych,
- opracowywanie precyzyjnych podręczników metodologicznych mających na celu ustanowienie zatwierdzonych metod pracy dla wszystkich badaczy w sektorze opieki zdrowotnej i zdrowia publicznego (KCE).

5.4.1. Czasowa refundacja innowacyjnych wyrobów medycznych (ACL)

Procedura Application Clinique Limitée (ACL) stanowi mechanizm tymczasowego włączenia do systemu refundacyjnego innowacyjnych wyrobów medycznych, w sytuacjach gdy występuje naukowa niepewność co do ich wartości terapeutycznej. Jest formą programu typu CED (*Coverage with Evidence Development*). Celem ACL jest umożliwienie ograniczonego klinicznego zastosowania danego wyrobu w warunkach kontrolowanych, co pozwala na zebranie dodatkowych danych niezbędnych do podjęcia decyzji o ewentualnym włączeniu do regularnej listy świadczeń refundowanych.

Wniosek o zastosowanie procedury ACL może zostać sformułowany wyłącznie przez Komisję ds. Refundacji Implantów i Inwazyjnych Wyrobów Medycznych (CRIDMI). Ani przedsiębiorstwa, ani stowarzyszenia zawodowe nie są uprawnione do samodzielnego wnioskowania o ACL. Propozycja ACL może zostać przedstawiona przez CRIDMI po dokonaniu analizy merytorycznej złożonego wniosku refundacyjnego.

ACL może zostać zaproponowana innowacyjnym technologiom medycznym, w przypadku istnienia naukowej niepewności co do przewagi klinicznej lub wartości dodanej wyrobu. Zastosowanie ACL musi być uzasadnione wyłącznie przesłankami naukowymi, z wyłączeniem argumentów o charakterze budżetowym. (INAMIb)

5.4.2. Refundacja aplikacji cyfrowych

20 stycznia 2021 r. narodowy instytut ubezpieczeń zdrowotnych i świadczeń z tytułu niezdolności do pracy. (fr. Institut national d'assurance maladie-invalidité, INAMI) ogłosił program „Zwrot kosztów aplikacji medycznych" (fr. Applications mobiles médicales)

<u>Warunki jakie musi spełniać aplikacja medyczna:</u>

- posiada oznaczenie CE jako wyrób medyczny i jest zgłoszony do Federalnej Agencji ds. Leków i Produktów Zdrowotnych,
- umożliwia pacjentowi udostępnianie informacji o stanie zdrowia personelowi medycznemu,
- umożliwia pracownikowi służby zdrowia diagnozowanie, stosowanie terapii lub monitorowanie pacjenta na odległość za pomocą urządzenia medycznego przeznaczonego do użytku przez pacjenta.

<u>Przebieg procesu:</u>

1) **Złożenie wniosku:** Wnioskodawca składa wniosek o refundację. W ciągu 30 dni sprawdzana jest kompletność i poprawność dokumentacji. Jeśli są braki, procedura zostaje przerwana do czasu ich uzupełnienia.
2) **Ocena wniosku**: Przygotowywana jest notatka ewaluacyjna, omawiana przez wielodyscyplinarną grupę roboczą. W skład grupy wchodzą przedstawiciele reprezentujący dostawców usług opieki zdrowotnej, lekarzy, kierowników szpitali, organizacji ubezpieczeniowych, uniwersytetów oraz organizacji takich jak beMedTech, Agoria, FPS Public Health, eHealth i FAMHP i KCE.

   Wnioskodawca ma możliwość pisemnej odpowiedzi oraz krótkiego ustnego wyjaśnienia.

3) **Decyzja o refundacji:**
   - pozytywna ocena
   - jeśli dowody naukowe nie zostaną uznane za wystarczające może być zaproponowana tymczasowa refundacja
   - negatywna ocena: proces zostaje zakończony, a wnioskodawca otrzymuje uzasadnienie decyzji.
4) **Terminy:** Obecnie przewidziano 270 dni na ocenę i ewentualne opracowanie propozycji refundacji, natomiast docelowo zakłada się skrócenie tego terminu do 180 dni.

5.4.3. Tymczasowy zwrot kosztów aplikacji cyfrowych

Program ma na celu zapewnienie tymczasowego (do 3-5 lat) finansowania w wybranej liczbie ośrodków, celem zgromadzenia dodatkowych danych umożliwiających podjęcie dalszych decyzji dotyczących stałego finansowania implantowalnych i inwazyjnych urządzeń medycznych w Belgii. Program ten można zakwalifikować jako system finansowania warunkowego opartego na rozwoju dowodów naukowych.

Kryteria kwalifikacji:

- muszą już istnieć dowody wskazujące, że dana aplikacja może mieć wartość dodaną: kliniczną i/lub organizacyjną. Proponowana aplikacja oraz związany z nią proces opieki muszą być innowacyjne w porównaniu do innych dostępnych rozwiązań.
- brak wystarczających dowodów oraz ewentualne związane z nimi konsekwencje muszą być jasno określone. Wniosek musi zawierać jasny i wykonalny plan działania mający na celu usunięcie braków w dowodach. Wnioski dotyczące aplikacji, dla których już rozpoczęto badania w celu wyeliminowania braków dowodowych, również są kwalifikowane. W przypadku badań międzynarodowych należy uzasadnić, dlaczego uzyskane dane będą miały zastosowanie w belgijskim kontekście.
- wniosek musi zostać złożony przez producentów i dystrybutorów aplikacji, szpitale oraz członków wielodyscyplinarnej grupy roboczej we współpracy z odpowiednim towarzystwem naukowym lub zawodowym. Organizacja ta powinna wyrazić formalne poparcie dla jego potencjalnej wartości dodanej – zarówno samej aplikacji, jak i towarzyszącego jej procesu opieki, aby możliwe było szybkie wdrożenie i praktyczne zastosowanie proponowanego rozwiązania

Zasady funkcjonowania tymczasowego zwrotu kosztów:

Refundacja przyznawana na standardowy okres 3 lat (z możliwością modyfikacji) dla ograniczonej liczb szpitali, aby umożliwić zebranie dodatkowych danych, które będą podstawą ostatecznej decyzji dotyczącej refundacji.

Komisja ds. Refundacji Implantów i Inwazyjnych Urządzeń Medycznych (ang. *Commission for the Reimbursement of Implants and Invasive Medical Devices*, CRIDMI) określa zakres programu oraz zaprasza szpitale do udziału. Po rozpoczęciu refundacji wnioskodawca zobowiązany jest do składania sprawozdań okresowych co 18 miesięcy do wielodyscyplinarnej grupy roboczej, która może również zdecydować o przedterminowym zakończeniu tymczasowej refundacji. Po zakończeniu okresu finansowania szpitale wraz z odpowiednią organizacją zawodową przygotowują wspólny raport. Na jego podstawie Komisja podejmuje decyzję o dalszej refundacji urządzenia w Belgii.

Najpóźniej 6 miesięcy przed końcem okresu tymczasowego należy złożyć wniosek o ostateczną refundację.

W przypadku negatywnej oceny końcowej – zakończenie refundacji.

Wnioskodawca:

- producenci i dystrybutorzy aplikacji mHealth zarejestrowani w Federalnej Agencji ds. Leków i Produktów Zdrowotnych,
- stowarzyszenia naukowe,
- organizacje zawodowe zrzeszające świadczeniodawców lub działające w strukturach INAMI,
- szpitale,
- członkowie wielodyscyplinarnej grupy roboczej odpowiedzialnej za ocenę wniosków (INAMIa).

5.5. Hiszpania

System opieki zdrowotnej w Hiszpanii jest zdecentralizowany, ze wspólnym pakietem świadczeń zdefiniowanym na poziomie centralnym za zgodą Regionalnych Władz Zdrowia w ramach Międzyterytorialnej Rady Krajowego Systemu Zdrowia. Świadczenie i finansowanie opieki zdrowotnej zależy od Regionalnych Władz Zdrowia. Dyrekcja Generalna wspólnego portfolio usług Narodowego Systemu Zdrowia (NHS) i Farmacji (DGPSPh) hiszpańskiego Ministerstwa Zdrowia (MoH) jest krajową organizacją odpowiedzialną za zatwierdzanie zasięgu wszystkich technologii zdrowotnych w Hiszpanii. Hiszpańska Sieć Oceny Technologii i Usług Technologii Zdrowotnych NHS (RedETS) jest organizacją odpowiedzialną za ocenę dostępnych dowodów na temat bezpieczeństwa, skuteczności, opłacalności, aspektów organizacyjnych oraz kwestii prawnych, etycznych, organizacyjnych i środowiskowych wszystkich technologii niefarmaceutycznych. Hiszpańska Agencja Leków i Urządzeń Medycznych (AEMPS) jest agencją państwową powiązaną z MoH, odpowiedzialną za ocenę jakości, bezpieczeństwa i skuteczności leków przed dostępem do rynku technologii farmakologicznych.

5.5.1. Badania monitorujące

W Hiszpanii funkcjonują badania monitorujące (hiszp. *Estudios de Monitorización*) technik, technologii i procedur (zwane dalej badaniami monitorującymi), które mają formę badania obserwacyjnego. Mają na celu monitorowanie wyników techniki, technologii lub procedury wprowadzonej do wspólnego portfolio usług Narodowego Systemu Zdrowia ze względu na jego potrzeby zdrowotne, tak aby uzyskać informacje, które pozwolą później ocenić ich sytuację we wspólnym portfelu usług. Ich celem jest:

- określić skuteczność i/lub wydajność techniki, technologii lub procedury, gdy istnieje pewna niepewność co do ich zachowania podczas wykonywania jej w praktyce klinicznej w sposób uogólniony lub w określonych grupach populacji;
- uzyskać informacje na temat wyników zastosowania techniki, technologii lub procedury o przewidywalnym wpływie na opiekę, organizacyjnym lub ekonomicznym.

Badania monitorujące są technicznie koordynowane przez Agencję Oceny lub inną jednostkę ewaluacyjną należącą do Hiszpańskiej Sieci Oceny Technologii Zdrowotnych i Korzyści (RedETS). Agencja odpowiedzialna za badanie zostaje wskazana w Rocznym Planie Oceny Technologii Medycznych. Koordynacja techniczna jest prowadzona zgodnie z ustalonymi standardowymi procedurami pracy oraz metodologią jakości obowiązującą w RedETS.

Każde badanie jest realizowane zgodnie z zatwierdzonym protokołem, w czasie określonym przez właściwą jednostkę ewaluacyjną, w zależności od specyfiki ocenianej techniki, technologii lub procedury oraz potrzeb informacyjnych. Propozycja harmonogramu oraz zakres badania jest ratyfikowana przez Komisję ds. Świadczeń, Ubezpieczeń i Finansowania przed rozpoczęciem gromadzenia danych.

Do badania kwalifikowane są jedynie te techniki, technologie lub procedury, które uzyskały zgodę na realizację w ramach wspólnego portfolio usług, w wyznaczonych ośrodkach zaproponowanych przez wspólnoty autonomiczne. Wszyscy pacjenci spełniający kryteria włączenia określone w protokole będą mieli zapewniony dostęp do objętych badaniem świadczeń w tych placówkach. Wspólnoty autonomiczne, które nie wyznaczyły ośrodków badawczych, zobowiązane będą do zapewnienia transferu pacjentów do odpowiednich ośrodków, na zasadach analogicznych do pozostałych świadczeń z katalogu wspólnego, z uwzględnieniem dostępności dla osób z niepełnosprawnościami.

Realizacja badań monitorujących musi być zgodna z obowiązującymi przepisami prawnymi, a w przypadkach wymaganych przez regulacje szczegółowe – badania zostaną zatwierdzone przez właściwe komisje etyczne.

Wnioski o realizację badań monitorujących mogą być składane przez Ministerstwo Zdrowia, administracje zdrowia wspólnot autonomicznych, instytucje ubezpieczenia wzajemnego lub inne uprawnione podmioty trzecie. Komisja ds. Świadczeń, Ubezpieczeń i Finansowania dokonuje oceny zasadności i wykonalności wniosku, biorąc pod uwagę poziom niepewności dotyczący ocenianej technologii, jej znaczenie kliniczne, potrzeby zdrowotne oraz koszty. Na tej podstawie może zostać sformułowana propozycja przeprowadzenia badania monitorującego.

W przypadku konieczności, Komisja może nadać priorytety poszczególnym badaniom, kierując się wspomnianymi kryteriami. Ostateczną decyzję o wdrożeniu techniki, technologii lub procedury do badania

monitorującego podejmuje Ministerstwo Zdrowia w drodze uchwały Dyrekcji Generalnej ds. Podstawowego Portfolio Usług Krajowego Systemu Zdrowia i Farmacji.

Uchwała ta określa szczegółowe wymagania techniczne dla każdego badania monitorującego, zgodnie z rekomendacjami Komisji i w porozumieniu z właściwą wspólnotą autonomiczną oraz jednostką ewaluacyjną odpowiedzialną za techniczną koordynację badania.

Badania monitorujące – zasady realizacji

Protokół badania

Przed rozpoczęciem badania monitorującego opracowuje się protokół określający zasady doboru pacjentów, zbierania danych, częstotliwość obserwacji oraz zmienne konieczne do oceny efektywności i bezpieczeństwa technologii. Protokół powstaje w dwóch częściach – pierwszą opracowuje jednostka ewaluacyjna, drugą przygotowuje z udziałem ekspertów oraz ośrodków wskazanych przez wspólnoty autonomiczne. Dokument ten musi zostać zatwierdzony przez Komisję ds. Świadczeń, Ubezpieczeń i Finansowania.

Prowadzenie badania

Po zatwierdzeniu protokołu wspólnoty autonomiczne przedstawiają ostateczne listy ośrodków spełniających wymagania badania. Jedynie zatwierdzone placówki mogą stosować technologię objętą monitoringiem. Ośrodki są zobowiązane do przestrzegania protokołu i przekazywania danych do jednostki ewaluacyjnej. W razie uchybień zostają wykluczone z badania. Jednostka monitoruje bezpieczeństwo, gromadzi dane i zapewnia zgodność z przepisami o ochronie danych i świadomej zgodzie pacjentów.

Zakończenie badania

Po zakończeniu badania jednostka ewaluacyjna opracowuje raport techniczny zawierający opis technologii, wyniki badania oraz wnioski dot. skuteczności, bezpieczeństwa, kosztów i zaleceń dot. dalszego stosowania. Przy badaniach wieloletnich sporządzane są też coroczne raporty postępu. Wyniki przedstawiane są Komisji, która może na ich podstawie dokonać aktualizacji wspólnego portfolio świadczeń zdrowotnych.

Udział przedsiębiorstw handlowych

W przypadku badań z wykorzystaniem wyrobów medycznych, przedsiębiorstwa mogą przekazywać jednostce ewaluacyjnej dodatkowe informacje pomocne w przygotowaniu protokołu i raportu. Zobowiązane są też do udostępnienia danych potrzebnych do rozwiązania niepewności będących przyczyną badania (z wyłączeniem danych poufnych). Warunki ekonomiczne stosowania produktu podczas badania są ustalane wspólnie przez Generalną Dyrekcję oraz wspólnoty autonomiczne z firmą – w ramach zarządzania ryzykiem.

5.6. Finlandia

System finansowania wyrobów medycznych w Finlandii jest złożony i wieloetapowy, łącząc elementy oceny technologii medycznych, refundacji publicznej oraz mechanizmów zakupów publicznych. Główne instytucje odpowiedzialne za ten system to:

- Fińskie Centrum Koordynacji Oceny Technologii Medycznych (ang. *Finnish Coordinating Centre for Health Technology Assessment*, FinCCHTA) – koordynuje krajowe oceny efektywności kosztowej i klinicznej nowych technologii medycznych, w tym wyrobów medycznych. Jest to kluczowy element procesu decyzyjnego dotyczącego refundacji.
- Instytut Ubezpieczeń Społecznych (ang. *The Social Insurance Institution*, KELA) – odpowiada za wdrażanie decyzji dotyczących refundacji leków i niektórych wyrobów medycznych. Po pozytywnej decyzji organu odpowiedzialnego za ocenę, KELA ustala szczegółowe kryteria dostępu dla pacjentów.

W Finlandii nie istnieje jednolity krajowy system refundacji dla wszystkich wyrobów medycznych. Decyzje o refundacji są podejmowane na poziomie regionalnym przez obszary, które odpowiadają za organizację opieki zdrowotnej i społeczne. W ramach tych decyzji uwzględnia się wyniki ocen HTA oraz dostępność budżetową.

5.6.1. Digi- HTA – model oceny cyfrowych technologii medycznych w ochronie zdrowia

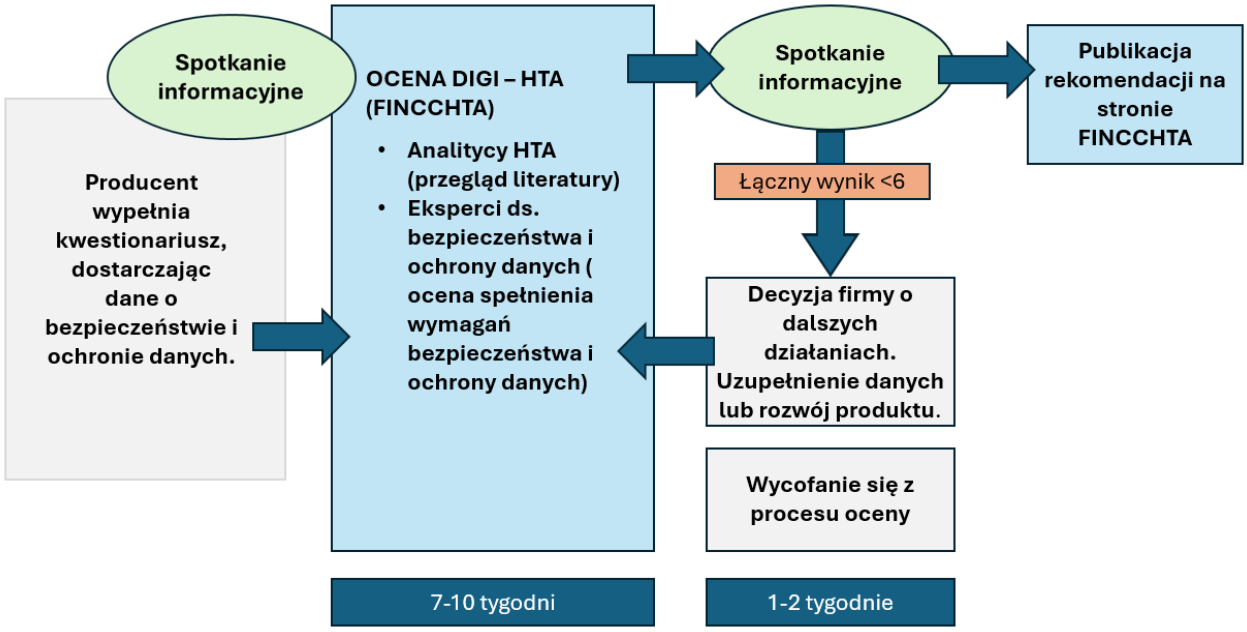
Metoda oceny Digi-HTA została opracowana na zlecenie Ministerstwa Spraw Społecznych i Zdrowia w celu umożliwienia prowadzenia oceny technologii zdrowotnych (HTA) dla szerokiego zakresu cyfrowych technologii zdrowotnych (*Digital Health Technologies*, DHT), obejmujących, m.in. aplikacje zdrowotne, terapie cyfrowe (digital therapeutics, DTx), rozwiązania wspierające osoby starsze (AgeTech), technologie oparte na sztucznej inteligencji oraz robotykę.

Proces ten ma zastosowanie zarówno do urządzeń medycznych, jak i niemedycznych. Ocena obejmuje kluczowe aspekty, takie jak skuteczność kliniczna, koszty, bezpieczeństwo, ochrona danych, użyteczność oraz dostępność rozwiązań. Szczególną uwagę poświęca się również czynnikom mającym znaczenie przy wdrażaniu produktów cyfrowych, takim jak zmiany organizacyjne i technologiczne, w tym związane z infrastrukturą IT. Zakres oceny nie obejmuje natomiast kwestii etycznych ani społecznych.

Rekomendacje opracowane w ramach procesu Digi-HTA są publikowane na oficjalnej stronie internetowej FinCCHTA i zachowują swoją ważność przez okres trzech lat.

W ramach procesu oceny firmy technologiczne przekazują informacje dotyczące swoich produktów z zakresu cyfrowych technologii zdrowotnych (DHT), zgodnie z kryteriami bezpieczeństwa i ochrony danych opracowanymi w ramach projektu Cyber Health Project. Przedsiębiorstwa zobowiązane są również do dostarczenia niezbędnej dokumentacji, w tym wyników badań. Dane te są uzupełniane o przeglądy literatury naukowej przygotowywane przez ekspertów w dziedzinie oceny technologii medycznych (HTA) oraz specjalistów ds. cyberbezpieczeństwa. Proces Digi-HTA dostarcza decydentom systemu ochrony zdrowia wartościowych, opartych na dowodach rekomendacji. W obecnym, zdecentralizowanym systemie opieki zdrowotnej w Finlandii, o wdrożeniu poszczególnych rozwiązań DHT decydują samodzielnie poszczególne hrabstwa (OYS, Haverinen).

Rysunek 10. Proces oceny DIGI-HTA



Źródło: OYS

5.6.2. Refundacji terapii cyfrowych – program pilotażowy

Ministerstwo Spraw Socjalnych i Zdrowia (fiń. *Sosiaali- ja terveysministeriö*, STM) uruchomiło pilotażowy program refundacji terapii cyfrowych. Celem projektu jest wypracowanie alternatywnych modeli refundacji dla aplikacji cyfrowych i urządzeń służących wsparciu terapii cyfrowej. Program będzie dążył do zbadania, w jaki sposób cyfrowe formy leczenia – takie jak terapie cyfrowe oparte na dowodach naukowych mogłyby być udostępniane użytkownikom ze środków publicznych.

Do programu będą mogły być zakwalifikowane gotowe rozwiązania cyfrowe – aplikacje lub zestawy obejmujące aplikacje cyfrowe wraz z urządzeniami wspomagającymi – odpowiednie do objęcia pilotażowym badaniem w zakresie możliwości refundacji cyfrowych metod leczenia. Zgłaszana metoda leczenia musi być przeznaczona do terapii choroby już zdiagnozowanej oraz/lub do zapobiegania jej nawrotom lub pogorszeniu stanu zdrowia (tzw. profilaktyka wtórna). Metody oparte wyłącznie na profilaktyce pierwotnej, tj. zapobieganiu wystąpieniu choroby, nie kwalifikują się do udziału w badaniu.

Nabór dla producentów aplikacji i urządzeń potrwa od 5 czerwca do 6 sierpnia 2025 r. Do udziału w programie pilotażowym zostanie wybranych około dziesięciu podmiotów. Ostateczna liczba wybranych rozwiązań będzie uzależniona od dostępnego budżetu oraz harmonogramu projektu. Wybór zostanie dokonany na podstawie oceny relacji ceny do jakości. Budżet przeznaczony na realizację projektu wynosi maksymalnie 1 000 000 EUR, co odpowiada około 100 000 EUR na jedno rozwiązanie cyfrowe.

Za koordynację projektu odpowiada Ministerstwo Spraw Socjalnych i Zdrowia, a za jego realizację – podmiot sektora publicznego DigiFinland, które zapewnia krajowe usługi cyfrowe. W pilotażu wezmą udział instytucje partnerskie: Zakład Ubezpieczeń Społecznych (ang. *The Social Insurance Institution*, KELA), Fiński Fundusz Innowacji (fiń. *Suomen itsenäisyyden juhlarahasto*, SITRA) oraz Fińskie Centrum Koordynacji Oceny Technologii Medycznych (ang. *Finnish Coordinating Center for Health Technology Assessment*, FinCCHTA). W ramach programu profesjonaliści medyczni oraz ich pacjenci będą mogli nieodpłatnie przetestować, w jaki sposób terapie cyfrowe mogą wspierać kompleksowe leczenie.

Głównym celem projektu jest opracowanie modelu oceny skuteczności i przydatności terapii cyfrowych jako elementu krajowego systemu refundacji i świadczeń zdrowotnych. Pilotaż pomoże zrozumieć, w jaki sposób można je bezpiecznie i na równych zasadach włączyć do publicznego systemu opieki zdrowotnej

Czas trwania projektu wynosi 12 miesięcy.

Udział w badaniu jest całkowicie bezpłatny dla placówek ochrony zdrowia oraz dla pacjentów. Koszty korzystania z cyfrowych metod leczenia wybranych do pilotażu zostaną zrekompensowane dostawcom przez DigiFinland Oy.

Dostawcy zakwalifikowani do udziału w badaniu zobowiązani będą do przeprowadzenia oceny Digi-HTA w trakcie jego trwania.

Niniejszy pilotaż nie przewiduje opracowywania nowych, indywidualnych rozwiązań technologicznych. W związku z tym, do udziału kwalifikują się wyłącznie produkty gotowe, w pełni funkcjonalne i możliwe do wdrożenia w praktyce w możliwie najkrótszym czasie po rozpoczęciu badania.

Na podstawie pilotażu zostanie opracowana ocena końcowa oraz rekomendacje dotyczące wdrożenia koncepcji terapii cyfrowych w fińskiej służbie zdrowia. W ramach projektu analizowane będą także alternatywne scenariusze dotyczące różnych modeli wdrażania i refundacji. Jednym z celów częściowych jest zgromadzenie dowodów na skuteczność wybranych do programu aplikacji oraz wspieranie możliwości rozwoju fińskich przedsiębiorstw technologicznych. Jednocześnie zbierane będą cenne doświadczenia użytkowników – zarówno specjalistów, jak i pacjentów – na temat funkcjonowania terapii cyfrowych w praktyce.

Końcowy raport z pilotażu zostanie opracowany do końca 2026 roku. Dokument zawierać będzie kompleksową ocenę, krajowe rekomendacje operacyjne oraz propozycje trwałych modeli organizacyjnych i możliwych schematów refundacyjnych na przyszłość.

Projekt jest częścią krajowego programu badań, rozwoju i innowacji w sektorze zdrowia i dobrostanu, którego celem jest wzmocnienie pozycji Finlandii jako lidera w dziedzinie rozwoju i wdrażania cyfrowych rozwiązań zdrowotnych. Wyniki pilotażu będą wspierać krajowe procesy decyzyjne oraz wytyczać kierunki rozwoju systemu opieki zdrowotnej opartego na danych i efektywności.

Projekt realizowany jest w ścisłej współpracy z regionalnymi jednostkami opieki społecznej i zdrowotnej, dostawcami usług, instytucjami publicznymi i innymi interesariuszami (STM, HILMA).

W Finlandii Ministerstwo Spraw Społecznych i Zdrowia opublikowało programy Hyteairo i KATI, które mają na celu dalszy rozwój fińskiej opieki zdrowotnej poprzez zastosowanie nowatorskich DHT. Programy te mają na celu wspieranie wykorzystania sztucznej inteligencji i robotyki w fińskiej opiece zdrowotnej oraz dostarczanie technologii wspierających inteligentne starzenie się i opiekę w domu.

5.6.3. Program Hyteario

Program Sztucznej Inteligencji i Robotyki w Sektorze Zdrowia i Opieki Społecznej (Hyteairo) miał na celu wspieranie oraz przyspieszenie wykorzystania sztucznej inteligencji i robotyki w sektorze zdrowia. Był to program wspólny, oparty na współpracy wszystkich interesariuszy, służący zarówno komunikacji, jak i rozwojowi innowacji.

Cele programu Hyteairo:

- Przyspieszenie wdrażania sztucznej inteligencji i robotyki w usługach oraz procesach operacyjnych sektora zdrowia i opieki społecznej.
- Identyfikacja oraz eliminacja barier, a także stworzenie warunków sprzyjających rozwojowi i wdrażaniu technologii AI i robotyki w sektorze dobrostanu.
- Wspieranie działalności gospodarczej związanej z technologiami AiRo (ang. *Artificial Intelligence and Robotics*) w Finlandii oraz promocja eksportu tych rozwiązań.

Priorytetowe obszary działania programu:

- Wdrażanie technologii wspierających osoby starsze w ich codziennym życiu w domu (program KATI).
- Wykorzystanie sztucznej inteligencji w opiece zdrowotnej i społecznej.
- Analiza danych przy użyciu sztucznej inteligencji w celu poprawy jakości usług i efektywności procesów operacyjnych.

Realizacja programu zakończyła się w 2021 r. (THL Hyteario).

5.6.4. Technologie wspierające inteligentne starzenie się i opiekę domową (KATI)

Celem programu jest systematyczne i celowe wspieranie wdrażania nowych technologii i usług cyfrowych na rzecz dobrego samopoczucia, starzenia się i opieki nad osobami starszymi w domu w Finlandii. Program był finansowany przez Ministerstwo Spraw Społecznych i Zdrowia (Ministry of Social Affairs and Health) i zakończył się w 2023r.

Celem programu KATI była transformacja modeli usług oraz organizacji opieki domowej poprzez wdrażanie technologii, które:

- wspierają utrzymanie sprawności funkcjonalnej oraz dobrostanu osób starszych mieszkających w domu,
- umożliwiają samodzielne i bezpieczne życie w środowisku domowym,
- wspierają świadczenie usług domowych,
- poprawiają dobrostan oraz zmniejszają obciążenie pracowników opieki domowej.

Nowe technologie były rozwijane, testowane (w ramach pilotaży) i wdrażane w obszarze opieki społecznej i zdrowotnej w sposób systematyczny i skoordynowany na poziomie krajowym.

Dodatkowo, program zakładał pozytywny wpływ na fińską gospodarkę oraz sektor innowacji i przedsiębiorczości – w tym także na internacjonalizację działalności firm technologicznych.

Nowy model krajowej koordynacji miał także wspierać współpracę między partnerami społecznymi a sektorem prywatnym w zakresie pilotażu i wdrażania technologii (THL KATI).

Realizacja programu

W ramach programu KATI rozwijano i wdrażano szeroki zakres technologii wspierających opiekę nad osobami starszymi w środowisku domowym. Obejmowały one m.in. rozwiązania umożliwiające zdalną opiekę i monitorowanie stanu zdrowia pacjentów, w tym przypomnienia o przyjmowaniu leków oraz automatyczne dozowniki. W programie wykorzystywano również technologie zdalnych pomiarów parametrów życiowych oraz urządzenia wspierające codzienne funkcjonowanie i bezpieczeństwo.

Szczególną uwagę poświęcono także technologiom rehabilitacyjnym, cyfrowym platformom do zarządzania opieką. Wszystkie te technologie miały na celu zwiększenie efektywności usług, poprawę jakości życia osób starszych oraz odciążenie pracowników sektora opieki zdrowotnej i społecznej (EESC 2023).

5.7. Zestawienie informacji dotyczących finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych (w tym cyfrowych) w wybranych krajach

W celu zbiorczego zestawienia informacji dotyczących finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych (w tym cyfrowych) w innych krajach, analizie poddano informacje uzyskane z przeglądu systematycznego literatury oraz rozwiązań organizacyjnych w innych krajach.

W przypadku części krajów, zidentyfikowane programy dotyczyły różnych interwencji medycznych i nie są dedykowane wyłącznie IWM. Zestawione informacje należy zatem traktować jako źródło doniesień możliwości finansowania ze środków publicznych interwencji, które nie są możliwe do finansowania w ramach standardowych procedur w danym kraju.

Zestawienie kluczowych parametrów zidentyfikowanych programów przedstawiono w tabelach poniżej.

Tabela 13. Zestawienie informacji dotyczących finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych (z wyłączeniem cyfrowych) w wybranych krajach europejskich

Parametry	Belgia	Hiszpania	Francja		Wielka Brytania
Program	**Czasowa refundacja innowacyjnych wyrobów medycznych** (nl. *Beperkte klinische toepassing,* fr. *Application Clinique Limitée (ACL)*	**Badania monitorujące** (hiszp. *Estudios de Monitorización*)	**Program finansowania Innowacji** (fr. *Forfait Innovation, IF*)	**Przejściowe Finansowanie** (fr. *The Prise en Charge Transitoire, PECT*)	**Program finansowania technologii medycznych** (ang. *MedTech Funding Mandate, MTFM*) - obecnie finansowanie w ramach programu zostało wstrzymane
Przeznaczenie programu (cel)	Stworzenie możliwości zastosowania nowych technologii w warunkach klinicznych, gdy dane naukowe wskazują na ich potencjał, ale nie są wystarczające.	Dedykowany niefarmakologicznym interwencjom (w tym wyrobom medycznym) co do których istnieje niepewność co do wyników klinicznych.	Tymczasowe finansowanie kosztów IWM, pod warunkiem zobowiązania się firmy do przeprowadzenia i zakończenia badania klinicznego w celu zgromadzenia brakujących danych klinicznych i medyczno-ekonomicznych.	Tymczasowe finansowanie kosztów IWM w celu terapeutycznym (do leczenia rzadkich lub ciężkich chorób) lub w celu kompensacji niepełnosprawności, wchodzących w zakres LPPR.	Program dedykowany nowym WM (m.in. innowacyjnym), których zastosowanie może przynieść oszczędności w ciągu trzech lat i które uzyskały pozytywną rekomendację NICE.
Finansowanie	Finansowane badania prospektywne obserwacyjne.	Finansowane badania prospektywne obserwacyjne.	(1) Częściowe lub całkowite pokrycie kosztów wyrobu medycznego i związanej z nim opieki dla pacjentów objętych badaniem oraz dodatkowej kohorty, aby zapobiec przerwom w dostępie do czasu zwrotu kosztów wyrobu medycznego, (2) Koszt badania klinicznego ponoszony przez firmę technologii medycznej.	Całkowite pokrycie kosztów wyrobu medycznego po wynegocjowaniu kwoty „rekompensaty" między Ministerstwem Zdrowia a producentem	Po spełnieniu kryteriów kwalifikowalności do programu NHS England może obejmować WM refundacją poprzez centralne finansowanie lub alokację budżetu na finansowanie WM, koordynowaną za pośrednictwem *NHS Supply Chain*
Organ oceniający	CRIDMI wydaje rekomendację. Ostateczną decyzję podejmuje MZ.	Technologie są identyfikowane przez MZ (na podstawie raportów RedETS)	HAS – opinia dot. kryteriów kwalifikowalności MZ – ocen przewidywanego budżetu badania, ostateczna decyzja	HAS (CNEDiMTS) – opinia dot. kryteriów kwalifikowalności MZ – ostateczna decyzja	NICE – opinia dot. skuteczność klinicznej i opłacalności technologii. NHS England – ostateczna decyzja (wybór do MTFM)

Parametry	Belgia	Hiszpania	Francja		Wielka Brytania
Kryteria oceny	2 łączne kryteria: (1) Innowacyjność technologii (2) Możliwość uzyskania odpowiedzi na pytania badawcze w przewidzianym czasie trwania badania	Oceniane 4 domeny: (1) Populacja (np. obciążenie chorobami, częstotliwość użytkowania) (2) Technologia (innowacyjność, oczekiwania dotyczące użytkowania) (3) Bezpieczeństwo/ skutki niepożądane (4) Organizacja/ koszty i inne implikacje (np. krzywa uczenia się, wpływ finansowy, organizacyjny lub strukturalny)	3 łączne kryteria: (1) rodzaj technologii, (2) innowacyjny charakter technologii (na podstawie definicji) (3) trafność/istotność proponowanego badania klinicznego lub ekonomicznego	7 łącznych kryteriów: (1) leczenie chorób rzadkich lub ciężkich lub kompensacji niepełnosprawności, (2) zaspokajanie UNN, lub niewystarczająco zaspokojonej potrzeby medycznej, (3) potencjalna znaczna poprawa zdrowia pacjenta lub kompensacja niepełnosprawności, (4) wyróżniający się charakter innowacyjny (5) potencjalne znaczące korzyści kliniczne, (6) trwające badania dostarczające dowodów w ciągu 12 msc., (7) nie może dotyczyć cyfrowych WM ani telemonitoringu	WM, który może zostać zakwalifikowany do programu: (1) jest skuteczny (uzyskał pozytywną rekomendację NICE) (2) przyczynia się do redukcji kosztów (przyniesie oszczędności w horyzoncie 3-letnim) (3) jego wpływ na budżet nie przekroczy 20 mln GBP rocznie
Ramy / czas finansowania	b.d.	Okres finansowania zależy od specyfiki ocenianej technologii medycznej oraz celów konkretnego badania	Do czasu zakończenia badania nad danym WM	12 msc. (z możliwością przedłużenia)	Nie dotyczy (MTFM nie jest programem refundacji tymczasowej. To program trwałego finansowania wybranych technologii w systemie NHS) Na lata 2025/2026 wstrzymane jest finansowanie nowych technologii, na czas stworzenia nowej, usystematyzowanej ścieżki programu.

Tabela 14. Zestawienie informacji dotyczących finansowania cyfrowych wyrobów medycznych w wybranych krajach europejskich

Parametry	Belgia		Francja	Niemcy	Finlandia
Program	**Zwrot kosztów aplikacji medycznych** (fr. *Applications mobiles médicales*)	**Tymczasowy zwrot kosztów aplikacji mobilnych** (fr. *Le remboursement temporaire*)	**Przejściowe Finansowanie Cyfrowych Wyrobów Medycznych** (fr. *Prise en Charge Anticipée Numerique des Dispositifs Médicaux, PECAN*)	**Finansowanie Cyfrowych Aplikacji Zdrowotnych (DiGA) w ramach ostatecznej i tymczasowej listy** (ang. *Final Listing, Provisional Listing*)	**Refundacja terapii cyfrowych – program pilotażowy**
Przeznaczenie programu (cel)	Umożliwienie refundacji aplikacji medycznych, które mają udowodnioną kliniczną i/lub organizacyjną wartość dodaną	Umożliwienie szybszego dostępu do innowacyjnych aplikacji medycznych przed pełnym wdrożeniem procedury refundacyjnej	Tymczasowe finansowanie innowacyjnych cyfrowych WM, przeznaczonych do włączenia do LPPR lub LATM. Ścieżka obejmuje dwie kategorie WM: (1) cyfrowe WM o charakterze terapeutycznym, (2) WM cyfrowe przeznaczone do celów monitorowania pacjentów, bez celu terapeutycznego.	Ostateczne finansowanie aplikacji cyfrowych (DiGA). Tymczasowe finansowanie aplikacji cyfrowych (DiGA) z ograniczonymi dowodami dot. skuteczności (ang. *Fast-Track Procedure*) Przed złożeniem wniosku producent decyduje czy ubiega się o ostateczne, czy o tymczasowe umieszczenie w katalogu DiGA (w zależności od posiadanych dowodów)	Wypracowanie modeli refundacji dla aplikacji cyfrowych
Finansowanie	Całkowite pokrycie kosztów całego świadczenia z wykorzystaniem aplikacji mobilnej	Tymczasowe pokrycie kosztów całego świadczenia z wykorzystaniem aplikacji mobilnej	Płatność ryczałtowa (ang. *lump sum payment*) na rzecz operatora cyfrowego WM, dystrybutora detalicznego lub operatora telemonitoringu medycznego.	Całkowite pokrycie kosztów wyrobu medycznego przez 12 miesięcy (cena wnioskowana przez producenta) Po 12 miesiącach od wpisu, cena DiGA jest negocjowana (producent z GKV-SV). Jeśli nie dojdzie do porozumienia, możliwe jest rozstrzygnięcie arbitrażowe	Udział w badaniu jest całkowicie bezpłatny dla placówek ochrony zdrowia oraz pacjentów
Organ oceniający	Ocenę przeprowadza wielodyscyplinarna grupa robocza	Ocenę przeprowadza wielodyscyplinarna grupa robocza	HAS (CNEDIMTS) – opinia dot. kryteriów kwalifikowalności; Digital Health Agency – certyfikat; MZ – ostateczna decyzja	BfArM – ocena wymagań formalno-technicznych, efektów zdrowotnych, badań ewaluacyjnych, ostateczna decyzja	Fińskie Centrum Koordynacji Oceny Technologii Medycznych (FinCCHTA)

Parametry	Belgia		Francja	Niemcy	Finlandia
Kryteria oceny	4 łączne kryteria: 1) Posiada oznaczenie CE 2) zgłoszony do Federalnej Agencji ds. Leków i Produktów Zdrowotnych; 3) Aplikacja umożliwia pacjentowi udostępnianie informacji o stanie zdrowia personelowi medycznemu,; 4) Aplikacja umożliwia zdalne diagnozowanie, prowadzenie terapii lub monitorowanie pacjenta przez personel medyczny.	4 łączne kryteria: 1) Muszą już istnieć dowody wskazujące, że dana aplikacja może mieć wartość dodaną: kliniczną i/lub organizacyjną; 2) Brak wystarczających dowodów oraz ewentualne związane z nimi konsekwencje muszą być jasno określone; 3) Wniosek musi zostać złożony przez producentów i dystrybutorów aplikacji, szpitale oraz członków wielodyscyplinarnej grupy roboczej we współpracy z odpowiednim towarzystwem naukowym lub zawodowym; 4) Możliwe szybkie wdrożenie i praktyczne zastosowanie proponowanego rozwiązania.	2 łączne kryteria: (1) Posiadanie oznakowania CE; (2) Wyrób medyczny jest innowacyjny, zwłaszcza ze względu na potencjalne korzyści kliniczne lub usprawnienia w organizacji opieki zdrowotnej. Kryterium to analizowane jest w oparciu o następujące zasady: • zastosowanie wyrobu medycznego może przyczynić się do poprawy organizacji opieki, ale nie może obniżać jakości świadczonych usług medycznych • wyrób jest przedmiotem trwających badań, które według założeń mają dostarczyć wystarczających danych, umożliwiających wydanie opinii dotyczącej wniosku o refundację	5 łącznych kryteriów formalno-technicznych: 1) Funkcjonalność; 2) Bezpieczeństwo; 3) Ochrony danych osobowych; 4) Interoperacyjność; 5) Klasyfikacja jako wyrób medyczny niskiego ryzyka (klasa I lub IIa). Co najmniej jeden pozytywny efekt zdrowotny (z dowodami lub bez w zależności od rodzaju refundacji) • korzyść medyczna (poprawę stanu zdrowia, skrócenie czasu trwania choroby, wydłużenie przeżycia, poprawę jakości życia), lub • istotna dla pacjenta poprawa struktury i procesów opieki.	Kryteria: 1) Aplikacje lub zestawy obejmujące aplikacje cyfrowe wraz z urządzeniami wspomagającymi; 2) Zgłaszana metoda leczenia musi być przeznaczona do terapii choroby już zdiagnozowanej oraz/lub do zapobiegania jej nawrotom lub pogorszeniu stanu zdrowia (tzw. profilaktyka wtórna); 3) Metody oparte wyłącznie na profilaktyce pierwotnej, tj. zapobieganiu wystąpieniu choroby, nie kwalifikują się do udziału w badaniu.
Ramy / czas finansowania	Okres finansowania nieograniczony	3 lata	12 miesięcy	Okres finansowania: nieograniczony lub czasowa 12 mies. (ścieżka „*Fast-track*”) z możliwością przedłużenia do kolejnych 12 mies. (w indywidulanych przypadkach)	12 miesięcy

5.7.1. Podsumowanie

Projektowanie nowej ścieżki finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych w polskim systemie ochrony zdrowia nie może opierać się bezpośrednio na istniejących zagranicznych rozwiązaniach. Każde państwo wdraża własne modele, oparte na odmiennych założeniach, celach oraz kryteriach kwalifikacji.

Bezpośrednie przeniesienie rozwiązań z zagranicznych programów, opisanych wcześniej, na grunt krajowy jest nieuzasadnione z powodu: różnic w strukturze systemów ochrony zdrowia i sposobie finansowania świadczeń, zróżnicowanych kryteriów włączenia i oceny technologii, różnic w regulacjach prawnych i kompetencjach instytucji odpowiedzialnych za refundację.

Przykładowe ograniczenia.

- Programy typu CED (Coverage with Evidence Development) w niektórych krajach koncentrują się przede wszystkim na finansowaniu badań klinicznych, a nie bezpośrednio na wspieraniu wdrażania wyrobów medycznych. Przykładami takich rozwiązań są: Program finansowania innowacji (Francja), Czasowa refundacja innowacyjnych wyrobów medycznych (Belgia) oraz Badania monitorujące (Hiszpania). W ramach tych programów producent lub podmiot odpowiedzialny zobowiązany jest do realizacji i finansowania badania klinicznego lub medyczno-ekonomicznego, przy jednoczesnym finansowaniu wyrobu medycznego przez płatnika publicznego. Programy te mogą obejmować wyroby medyczne zarówno z oznaczeniem CE, jak i bez niego.
- Programy wczesnego dostępu EAP (Early Access Program) mogą być realizowane w sposób sekwencyjny – początkowo poprzez udział w programie typu CED (np. Forfait Innovation, Francja), a następnie poprzez ubieganie się o warunkową refundację w trakcie trwania badania (np. PECT, Francja). Taki model odpowiada na zróżnicowane potrzeby pojawiające się na różnych etapach cyklu życia innowacji (Martin, 2024).
- Część programów typu CED dedykowana jest wyłącznie określonym grupom pacjentów, np. osobom z chorobami rzadkimi, ciężkimi lub z niepełnosprawnością (np. PECT, Francja).
- Istnieją również rozwiązania skierowane wyłącznie do określonych typów wyrobów medycznych, w szczególności wyrobów cyfrowych, co ogranicza możliwość ich zastosowania w odniesieniu do całej grupy innowacyjnych wyrobów medycznych. Przykładami takich programów są: PECAN (Francja), DiGA (Niemcy), Refundacja aplikacji cyfrowych (Belgia) oraz Program pilotażowy (Finlandia).
- W niektórych krajach, takich jak Belgia (Program czasowej refundacji), inicjowanie programów typu CED odbywa się z udziałem badaczy lub instytucji klinicznych, co różni się od planowanego, nowego podejścia w Polsce.
- Niektóre programy są przeznaczone wyłącznie dla wyrobów określonych klas (np. I lub IIa), co ogranicza jego zastosowanie do wyrobów o niższym ryzyku i wyklucza bardziej zaawansowane technologie. (DiGA, Niemcy).
- Część programów jest zaprojektowana z myślą o wdrażaniu i finansowaniu nowych wyrobów medycznych a nie wyłącznie innowacyjnych, co sprawia, że ich zakres jest zbyt szeroki w porównaniu do przyjętych założeń (Badania monitorujące, Hiszpania; Program finansowania nowych technologii medycznych, Wielka Brytania).
- W wielu przypadkach brakuje wiarygodnych danych dotyczących rezultatów wdrożonych programów zagranicznych, co uniemożliwia ocenę ich skuteczności i kosztów oraz ogranicza możliwość ich adaptacji w naszym systemie ochrony zdrowia.
- Doświadczenia francuskie wskazują na trudności wynikające z równoległego funkcjonowania kilku programów EAP, z podobnymi kryteriami kwalifikacyjnymi dla urządzeń cyfrowych i innych. Złożoność procedur stanowi barierę dla rozwoju start-upów, co doprowadziło do rekomendacji uproszczenia procesów i zapewnienia rzeczywiście przyspieszonych ścieżek (Martin, 2024).

5.7.2. Kluczowe wnioski z przeglądu rozwiązań zagranicznych

W kontekście celu projektu, najbardziej adekwatne modele wsparcia finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych – szczególnie w warunkach ograniczonej dostępności dowodów klinicznych – funkcjonują w Niemczech i Francji. Systemy te oferują mechanizmy tymczasowej lub warunkowej refundacji, łącząc finansowanie z obowiązkiem generowania dowodów naukowych potwierdzających skuteczność interwencji.

W przypadku Niemiec, szczególną uwagę zwrócono na założenia programu DiGA, w tym procedurę „Fast Track", umożliwiającą tymczasową refundację aplikacji cyfrowych przy równoczesnym zobowiązaniu do późniejszego dostarczenia dowodów skuteczności. Francja natomiast oferuje komplementarny zestaw instrumentów wsparcia, obejmujący m.in. Forfait Innovation, mechanizm finansowania przejściowego PECT oraz dedykowany program dla wyrobów cyfrowych PECAN. Wspólnym mianownikiem rozwiązań niemieckich i francuskich jest możliwość wdrożenia finansowania warunkowego, powiązanego z procesem generowania danych klinicznych.

Choć koncepcja Coverage with Evidence Development (CED) jest obecna również w innych krajach, wiele z tych rozwiązań charakteryzuje się istotnymi ograniczeniami. Część programów jest zawężona do wybranych grup pacjentów (np. osoby z chorobami rzadkimi), inne dotyczą wyłącznie wyrobów cyfrowych. Niektóre mechanizmy mają zbyt ogólny charakter, obejmując wszystkie nowe technologie niezależnie od ich poziomu innowacyjności, lub koncentrują się głównie na finansowaniu badań, bez zapewnienia realnego wsparcia dla wdrożenia i refundacji. Dodatkowo, część inicjatyw ma charakter oddolny – realizowany przez szpitale lub zespoły badawcze, jak ma to miejsce np. w Belgii.

Z uwagi na zgodność z założeniami projektowanej ścieżki, dalsza część dokumentu koncentruje się wyłącznie na rozwiązaniach niemieckich i francuskich, przedstawiając ich szczegółową charakterystykę.

6. Metody identyfikacji innowacyjnych wyrobów medycznych, w tym cyfrowych

W Polsce obowiązuje dedykowana ścieżka legislacyjna dla innowacyjnych technologii medycznych, jednak dotyczy ona wyłącznie technologii lekowych. Procedura ta koncentruje się na identyfikacji, ocenie i rozpatrywaniu wniosków o objęcie refundacją technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (TLI). Proces identyfikacji potencjalnie innowacyjnych produktów leczniczych oparty jest na corocznym przeglądzie leków, dla których decyzja o dopuszczeniu do obrotu w procedurze centralnej Unii Europejskiej została wydana między 1 stycznia a 31 grudnia danego roku i opublikowana najpóźniej do 31 grudnia tego samego (analizowanego) roku. Zastosowanie analogicznego etapu identyfikacji innowacyjnych wyrobów medycznych nie jest możliwe ze względu na zasadnicze różnice w systemie rejestracji i klasyfikacji wyrobów medycznych, dużą różnorodność pod względem konstrukcji, przeznaczenia oraz ryzyka klinicznego wyrobów medycznych. Zgodnie z MDR prowadzenie badań klinicznych jest obowiązkowe dla wyrobów klasy III oraz implantów (z niewielkimi wyjątkami). W przypadku wyrobów klas I, IIa i IIb wymagana jest ocena kliniczna, natomiast decyzja o konieczności przeprowadzenia badań klinicznych zależy od dostępności i jakości danych klinicznych.

Przedstawione poniżej metody identyfikacji innowacyjnych wyrobów medycznych – w tym cyfrowych – opracowano na podstawie wewnętrznych analiz Agencji.

Wybrane, potencjalne metody identyfikacji innowacyjnych wyrobów medycznych do dalszej oceny zasadności refundacji lub finansowania ze środków publicznych:

1. **Wniosek producenta** – producent wyrobu medycznego, w tym cyfrowego, może złożyć formalny wniosek o objęcie go refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych, po spełnieniu określonych kryteriów włączenia do dedykowanego programu lub ścieżki legislacyjnej dla technologii innowacyjnych. Takie rozwiązania dotyczą programów francuskich (FI, PACT, PECAN) oraz niemieckich (DiGA: *Final listing* oraz *Provisional listing*, tzw. *Fast-Track Procedure*).

   Podstawą takiego podejścia jest samodzielna inicjatywa podmiotu gospodarczego będącego producentem, upoważnionym przedstawicielem, importerem, dystrybutorem wyrobu medycznego (w rozumieniu rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady, UE)[5] dotycząca złożenia wniosku o objęcie refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych wyrobu medycznego. Wskazane podmioty określane są jako wnioskodawca.

   Poniżej wskazano obszary wymagające doprecyzowania formalnych warunków omawianej metody:

   1) Opłata za wniosek – złożenie wniosku w ramach dedykowanej ścieżki legislacyjnej oceny zasadności refundacji lub finansowania ze środków publicznych wyrobu medycznego może wiązać się z opłatą wnioskodawcy za ocenę wniosku (analogicznie do standardowej refundacji produktów leczniczych oraz refundacji w ramach TLI, opłata wnoszona jest na rachunek urzędu obsługującego Ministra Zdrowia).

      Wysokość opłaty w przypadku nowej ścieżki legislacyjnej dla wyrobów medycznych wymaga konsultacji z Ministerstwem Zdrowia oraz wypracowania konsensusu z przedstawicielami środowiska wyrobów medycznych – *kwestia ta pozostaje poza realizacją projektu*.

   2) Komórki odpowiedzialne w Ministerstwie Zdrowia – zasadne wydaje się, aby Minister Zdrowia określił, który departament będzie odpowiedzialny za obsługę i rozpatrywanie wniosków składanych w ramach dedykowanej ścieżki legislacyjnej dotyczącej oceny zasadności refundacji lub finansowania ze środków publicznych wyrobu medycznego – *kwestia ta wykracza poza zakres projektu i nie była jego przedmiotem*.

   3) Wzór wniosku – powinien być dostosowany do przyjętego modelu nowej ścieżki legislacyjnej dotyczącej oceny zasadności refundacji lub finansowania ze środków publicznych wyrobu medycznego.

[5] **art. 2** pkt 35 rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2017/745 z dnia 5 kwietnia 2017 r. w sprawie wyrobów medycznych, zmiany dyrektywy 2001/83/WE, rozporządzenia (WE) nr 178/2002 i rozporządzenia (WE) nr 1223/2009 oraz uchylenia dyrektyw Rady 90/385/EWG i 93/42/EWG (Dz. Urz. UE L 117 z 05.05.2017, str. 1, z późn. zm.) lub **art. 2** pkt 28 rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2017/746 z dnia 5 kwietnia 2017 r. w sprawie wyrobów medycznych do diagnostyki in vitro oraz uchylenia dyrektywy 98/79/WE i decyzji Komisji 2010/227/UE (Dz. Urz. UE L 117 z 05.05.2017, str. 176, z późn. zm.)

– kwestia wypracowania wzoru lub wzorów wniosku pozostaje do dalszych prac, nie była zakresem przedmiotowego projektu.

2. **Wniosek Konsultantów krajowych z dziedziny medycyny odpowiedniej dla danego wyrobu medycznego** – podstawą takiego podejścia jest:

   - inicjatywa własna Konsultantów krajowych wszystkich dziedzin medycyny lub
   - zgłoszenie dokonane przez producenta, upoważnionego przedstawiciela, importera lub dystrybutora wyrobu medycznego za pośrednictwem Konsultantów krajowych, po ich ocenie zasadności takich wniosków

   – w celu wystąpienia do Ministra Zdrowia z wnioskiem o objęcie wyrobu refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych.

3. **Horizon scanning innowacji**

   - Na podstawie corocznego badania opinii Konsultantów krajowych ze wszystkich dziedzin medycyny dotyczących innowacyjnych nielekowych technologii medycznych (w tym wyrobów medycznych) potencjalnie mających istotną wartość dla polskiego systemu ochrony zdrowia. Rozwiązanie opracowane na podstawie wewnętrznych analiz Agencji.
   - Na podstawie wskazań instytucji ochrony zdrowia (rozwiązanie obowiązuje m.in. w Hiszpanii w ramach badania gromadzącego dowody po uruchomieniu, hiszp. *Estudios de Monitorización*, gdzie technologie są identyfikowane przez Ministerstwo Zdrowia, Usług Społecznych i Równości (hiszp. *Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad*) na podstawie raportów RedETS);

4. **Raporty HB-HTA** (ang. *Hospital-Based Health Technology Assessment*) – opracowywane na poziomie szpitali, raporty HB-HTA mogą dostarczać praktycznych informacji o skuteczności klinicznej, użyteczności oraz warunkach wdrożenia technologii w rzeczywistym środowisku świadczeniodawców. Ich wykorzystanie mogłoby wspierać Ministerstwo Zdrowia w identyfikowaniu wyrobów medycznych, które spełniają kryteria innowacyjności, ale również wykazały praktyczną wartość w warunkach szpitalnych. (Strategia wdrożenia HB-HTA 2022).

5. **Wskazania z wykazu technologii podlegającej wspólnej oceny klinicznej w ramach Rozporządzenia HTA (UE) 2021/2282**

   Od 2025 r. wybrane wyroby medyczne wysokiego ryzyka będą podlegały wspólnej ocenie klinicznej (Joint Clinical Assessment, JCA) na poziomie Unii Europejskiej, zgodnie z Rozporządzeniem (UE) 2021/2282 w sprawie oceny technologii medycznych. Ocena ta może być wykorzystywana jako element identyfikacji innowacyjności, a także jako źródło potwierdzonych danych dotyczących skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa nowej technologii.

   Komisja, w drodze aktu wykonawczego będzie raz na dwa lata podejmować decyzje w sprawie wyboru do wspólnej oceny klinicznej wyrobów medycznych i wyrobów medycznych do diagnostyki in vitro, biorąc pod uwagę jedno z następujących kryteriów:

   - niezaspokojone potrzeby medyczne,
   - pierwszy wyrób w danej klasie,
   - potencjalny wpływ z punktu widzenia pacjentów, zdrowia publicznego lub systemów opieki zdrowotnej,
   - włączenie oprogramowania wykorzystującego sztuczną inteligencję, technologie lub algorytmy uczenia maszynowego,
   - istotny wymiar transgraniczny,
   - znaczna ogólnounijna wartość dodana.

7. Bibliografia

Przegląd systematyczny	
AG 2023	Australian Government, Department of Health and Aged Care, Therapeutic Goods Administration, Clinical evidence guidelines for medical devices, Version 3.2, November 2023 Źródło: https://www.tga.gov.au/sites/default/files/2023-11/clinical-evidence-guidelines-medical-devices-v3-2.pdf dostęp: 06.06.2025
Angela 2024	Daniela D'Angela, Antonio Migliore et al., Criteria to define innovation in the field of medical devices: a Delphi approach, GMS Health Innov Technol, 2024 Feb 28:18:Doc01. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC10967129/ dostęp: 25.04.2025
Arca 2025	Arcà E, Heldt D, Smith M. Comparison of health technology assessments for digital therapeutics in Germany, the United Kingdom and France. Digit Health. 2025 Jan 22;11:20552076241308704. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC11752730/ dostęp: 31.07.2025
Arora 2021	Arora A, Wright A, Cheng TKM, Khwaja Z, Seah M. Innovation Pathways in the NHS: An Introductory Review. Ther Innov Regul Sci. 2021 Sep;55(5):1045-1058. doi: 10.1007/s43441-021-00304-w. Epub 2021 May 19. PMID: 34009551; PMCID: PMC8132486. Źródło: Innovation Pathways in the NHS: An Introductory Review - PMC dostęp: 25.04.2025
Bernard 2014	Bernard A, Vaneau M, Fournel I, Galmiche H, Nony P, Dubernard JM. Methodological choices for the clinical development of medical devices. Med Devices (Auckl). 2014 Sep 23;7:325-34. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC4181748/ dostęp:31.07.2025
Boers 2025	Boers M, Rochereau A, Stuwe L, Miguel LS, Klucken J, Mezei F, Fabiano J, Boulet S, Perchant A, Tarricone R, Petracca F, Hoefgen B, Collignon C, Zohar S; European Taskforce for Harmonised Evaluation of Digital Medical Devices (DMDs) (EvalEUDMD). Classification grid and evidence matrix for evaluating digital medical devices under the European union landscape. NPJ Digit Med. 2025 May 24;8(1):304. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC12103570/ dostęp: 31.07.2025
Buccheri 2025	Buccheri S, James S, Mafham M, Landray M, Melvin T, Oldgren J, Bulbulia R, Bowman L, Hoogervorst LA, Marang-van de Mheen PJ, Juni P, McCulloch P, Fraser AG. Large simple randomized controlled trials-from drugs to medical devices: lessons from recent experience. Trials. 2025 Jan 21;26(1):24. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC11749104/ dostęp: 31.07.2025
Caiani 2024	Caiani E.G. et al., Standardized assessment of evidence supporting the adoption of mobile health solutions: a clinical consensus statement of the ESC Regulatory Affairs Committee, European Heart Journal -Digital Health 2024; 5: 509-523, Źródło: https://doi.org/10.1093/ehjdh/ztae042 dostęp: 31.07.2025
Catchii 2023	Halman A, Oshlack A. Catchii: Empowering literature review s.creening in healthcare. Res Synth Methods. 2024 Jan;15(1):157-165. Epub 2023 Sep 28. Źródło: https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1002/jrsm.1675 dostęp: 25.04.2025
Cook 2009	Cook JA. The challenges faced in the design, conduct and analysis of surgical randomised controlled trials. Trials. 2009 Feb 6;10:9. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC2654883/ dostęp: 31.07.2025
EDPS 2025	Kampouraki D. Digital Therapeutics (DTx). European Data Protection Supervisor. Źródło: https://www.edps.europa.eu/press-publications/publications/techsonar/digital-therapeutics-dtx_en dostęp: 11.02.2025
FDA 2020	US Food and Drug Administration. What is Digital Health? Źródło: https://www.fda.gov/medical-devices/digital-health-center-excellence/what-digital-health#:~:text=Digital%20health%20includes%20mobile%20health%20%28mHealth%29%2C%20health%20information,wearable%20devices%2C%20telehealth%20and%20telemedicine%2C%20and%20personalized%20medicine. dostęp: 11.02.2025
Federici 2021	Carlo Federici et al., Coverage with evidence development schemes for medical devices in Europe: characteristics and challenges, The European Journal of Health Economics (2021) 22:1253–1273. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC8526454/ dostęp: 25.04.2025
Fleetcroff 2021	Fleetcroft C, McCulloch P, Campbell B. IDEAL as a guide to designing clinical device studies consistent with the new European Medical Device Regulation. BMJ Surg Interv Health Technol. 2021 Mar 4;3(1):e000066. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC8647605/ dostęp: 31.07.2025
Fuchs 2016	Fuchs S, Olberg B, Panteli D, Busse R. HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT OF MEDICAL DEVICES IN EUROPE: PROCESSES, PRACTICES, AND METHODS. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2016;32(4):246-255. Źródło: https://www.cambridge.org/core/journals/international-journal-of-technology-assessment-in-health-care/article/health-technology-assessment-of-medical-devices-in-europe-processes-practices-and-methods/E66E16ECF6F7406CD7AB137CE8739EB3 dostęp: 31.07.2025
Goldsack 2019	Golsack J, Coder M, Fitzgerald Ch, Navar-Mattingly N, Coravos A, Atreja A. Digital Health, Digital Medicine, Digital Therapeutics (DTx): What's the difference? Clarity matters. Here's what you need to know. Źródło: https://dimesociety.org/digital-health-digital-medicine-digital-therapeutics-dtx-whats-the-difference/ dostęp: 11.02.2025

Graff 2024 Graff JS. Considerations for US coverage and reimbursement: Which digital health products to evaluate? Findings from a modified Delphi study. J Manag Care Spec Pharm. 2024 Aug;30(8):854-859. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC11293764/ dostęp: 25.04.2025

Groene 2023 Groene N, Schneck L. Covering digital health applications in the public insurance system: how to foster innovation in patient care while mitigating financial risks-evidence from Germany. Front Digit Health. 2023 Oct 11;5:1217479. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC10598733/ dostęp: 25 04 2025

Guerlich 2023 Guerlich K, Patro-Golab B, Barnacle A et. al., European Academy of Paediatrics. European expert recommendations on clinical investigation and evaluation of high-risk medical devices for children. Acta Paediatr. 2023 Nov;112(11): 2440-2448. Źródło: https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1111/apa.16919 dostęp: 31.07.2025

Guerlich 2024 Guerlich K, Patro-Golab B, Dworakowski P, et. al., Evidence from clinical trials on high-risk medical devices in children: a scoping review. Pediatr Res. 2024 Feb;95(3):615-624. Żródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC10899114/ dostęp:31.07.2025

HAS 2019 Haute Autorité de Santé, Assessment of medical devices: Assessment principles established by the Medical Device and Health Technology Evaluation Committee (CNEDiMTS) to determine the reimbursement eligibility of medical devices for individual use, November 2019 Źródło: https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2019-11/assessment_principles_established_by_cnedimts.pdf dostęp: 28.05.2025

HAS 2021b 2021 Haute Autorité de Santé, Methodology for the clinical development of medical devices, 8 June 2021 Żródło:https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2021-09/guide_methodology_for_the_clinical_development_of_md.pdf dostęp: 27.05.2025

HC 2022 Health Canada, Guidance on clinical evidence requirements for medical devices, November 2022, Źródło: https://www.canada.ca/content/dam/hc-sc/documents/services/drugs-health-products/medical-devices/application-information/guidance-documents/clinical-evidence-requirements-medical-devices/clinical-evidence-requirements-medical-devices.pdf dostęp: 05.06.2025

HC 2025 Health Canada, Guidance on supporting evidence to be provided for new and amended licence applications for Class III and Class IV medical devices, not including In Vitro Diagnostic Devices (IVDDs), July 5, 2012 https://www.canada.ca/content/dam/hc-sc/migration/hc-sc/dhp-mps/alt_formats/pdf/md-im/applic-demande/guide-ld/md_gd_data_im_ld_donnees_ciii_civ-eng.pdf dostęp: 05.06.2025

Hellmeier 2024 Hellmeier F. et.al., Beyond One-Time Validation: A Framework for Adaptive Validation of Prognostic and Diagnostic AI-based *Medical Devices*, Źródło:https://doi.org/10.48550/arXiv.2409.04794.

Huben 2021 von Huben A, Howell M, Howard K, Carrello J, Norris S. Health technology assessment for digital technologies that manage chronic disease: a systematic review. Int J Technol Assess Health Care. 2021 May 26;37(1):e66. doi: 10.1017/S0266462321000362. PMID: 34034851.

Hulstaert 2023 Hulstaert F, Pouppez C, Primus-de Jong C, Harkin K, Neyt M. Gaps in the evidence underpinning high-risk medical devices in Europe at market entry, and potential solutions. Orphanet J Rare Dis. 2023 Jul 25;18(1):212. Źródła: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC10369713/ dostęp: 31.07.2025

IQWiG 2023 Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen*, General Methods*, Version 7.0 of 19 September 2023, Źródło: https://www.iqwig.de/methoden/general-methods_version-7-0.pdf dostęp: 28.05.2025

Izmailova 2018 Izmailova ES, Wagner JA, Perakslis ED. Wearable Devices in Clinical Trials: Hype and Hypothesis. Clin Pharmacol Ther. 2018 Jul;104(1):42-52. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC6032822/ dostęp: 31.07.2025

Izmailova 2019 Izmailova ES, McLean IL, Bhatia G, Hather G, Cantor M, Merberg D, Perakslis ED, Benko C, Wagner JA. Evaluation of Wearable Digital Devices in a Phase I Clinical Trial. Clin Transl Sci. 2019 May;12(3):247-256. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC6510458/ dostęp: 31.07.2025

John 2024 John D. et al., Health technology assessment for digital health technologies in India: a framework for action, International Journal of Technology Assessment in Health Care 2024; 40 (1), e70: 1-9, Źródło: https://doi.org/10.1017/S0266462324000345 dostęp: 31.07.2025

Kolasa 2024 Kolasa, K., & Kozinski, G. (2020). How to Value Digital Health Interventions? A Systematic Literature Review. International Journal of Environmental Research and Public Health, 17(6), 2119. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC7143608/ dostęp: 25.04.2025

Lopatina 2023 E. Lopatina, L. Richer, J. Round, *Regulation, assessment, and adoption of digital health technologies in Canada*, Institute of Health Economics, IHE Discussion Paper, March 2023 Źródło: https://ihe.ca/files/regulation_assessment_and_adoption_of_digital_health_technologies_in_canada.pdf dostęp: 03.06.2025

Main 2023 Main C, Haig M, Chavez D, Kanavos P. Assessing the Value of Provider-Facing Digital Health Technologies Used in Chronic Disease Management: Toward a Value Framework Based on Multistakeholder Perceptions. Med Decis Making. 2024 Jan;44(1):28-41. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC10714693/ dostęp:31.07.2025

Mantovani 2023 Mantovani A, Leopaldi C, Nighswander CM and Di Bidino R (2023) Access and reimbursement pathways for digital health solutions and in vitro diagnostic devices: Current scenario and challenges. Front. Med. Technol. 5:1101476. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC9986593/ dostęp: 25.04.2025

Martelli 2017 N. Martelli et al., Hospital-based health technology assessment in France: A focus on medical devices, Therapie (2017), Źródło: http://dx.doi.org/10.1016/j.therap.2017.01.002 dostęp: 25.04.2025

Martin 2024 Tess Martin, Alexandra Hervias, Xavier Armoiry, Nicolas Martelli a,b, Early access programs for medical devices in France: Overview of recent reforms and outcomes (2015-2022), Health Policy, Volume 148, October 2024, Źródło: https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2024.105146 dostęp: 25.04.2025

Mazei 2023 Mezei F, Horváth K, Pálfi M, Lovas K, Ádám I and Túri G (2023) International practices in health technology assessment and public financing of digital health technologies: recommendations for Hungary. Front. Public Health 11:1197949 Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC10501404/dostęp: 25.04.2025

Melvin 2023 Melvin T, Dooms MM, Koletzko B, Turner MA, Kenny D, Fraser AG, Gewillig M, Jonker AH. Orphan and paediatric medical devices in Europe: recommendations to support their availability for on-label and off-label clinical indications. Expert Rev Med Devices. 2024 Oct;21(10):893-901. Źródło: https://www.tandfonline.com/doi/10.1080/17434440.2024.2404257?url_ver=Z39.88-2003&rfr_id=ori:rid:crossref.org&rfr_dat=cr_pub%20%200pubmed#abstract dostęp:31.07.2025

Melvin 2024 Melvin T, Dooms MM, Koletzko B, Turner MA, Kenny D, Fraser AG, Gewillig M, Jonker AH. Orphan and paediatric medical devices in Europe: recommendations to support their availability for on-label and off-label clinical indications. Expert Rev Med Devices. 2024 Oct;21(10):893-901. Źródło: https://www.tandfonline.com/doi/10.1080/17434440.2024.2404257?url_ver=Z39.88-2003&rfr_id=ori:rid:crossref.org&rfr_dat=cr_pub%20%200pubmed dostęp: 31.07.2025

Melvin 2024 Melvin T. et.al., *Orphan Medical Devices and Pediatric Cardiology – What Interventionists in Europe Need to Know, and What Needs to be Done*, Pediatric Cardiology (2023) 44:271–279 Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC9579647/ dostęp: 31.07.2025

Messori 2024 Andrea Messori , Sabrina Trippoli, Medical Devices in the Region of Tuscany, Italy: Definitions of Innovative Devices and Potentially Innovative Devices and Their Impact on Procurement Decisions, Cureus 2024 Dec 16;16(12):e75839 Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC11654317/ dostęp: 25.04.2025

Mezei 2023 Mezei F, Horváth K, Pálfi M, Lovas K, Ádám I, Túri G. International practices in health technology assessment and public financing of digital health technologies: recommendations for Hungary. Front Public Health. 2023 Aug 31;11:1197949. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC10501404/ dostęp: 31.07.2025

Mokhtarzadeh 2016 Mokhtarzadeh M., Eydelman M., Chen E. (2016) Challenges and opportunities when developing devices for rare disease populations, Expert Opinion on Orphan Drugs, 4:5, 457-459 Źródło: https://www.tandfonline.com/doi/pdf/10.1517/21678707.2016.1166948 dostęp:31.07.2025

Myung 2023 Jae-Eun Myung, MPharm, Liesl Strachan, PhD, Jaeyong Shin, MD, PhD, Jaejun Yim, MA, Sang-Soo Lee, Reimbursement Coverage Decision Making for Digital Health Technologies in South Korea: Does It Fit the Value Framework Used in Traditional Medical Technologies, Health Policy Analysis Volume 36 p27-33 July 2023, Źródło: https://linkinghub.elsevier.com/retrieve/pii/S2212-1099(23)00020-1 dostęp: 25.04.2025

Neugebauer 2017 Neugebauer EAM, Rath A, Antoine SL, Eikermann M, et al. Specific barriers to the conduct of randomised clinical trials on medical devices. Trials. 2017 Sep 13;18(1):427. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC5597993/ dostęp:31.07.2025

NICE 2018 National Institute for Health and Care Excellence, *Evidence standards framework for digital health technologies*, 10 December 2018 Źródło:https://www.nice.org.uk/corporate/ecd7/resources/evidence-standards-framework-for-digital-health-technologies-pdf-1124017457605 dostęp: 29.05.2025

Njoku 2023 Njoku C, Green Hofer S, Sathyamoorthy G, Patel N, Potts HW. The role of accelerator programmes in supporting the adoption of digital health technologies: A qualitative study of the perspectives of small- and medium-sized enterprises. *DIGITAL HEALTH*. 2023;9. Źródło: https://journals.sagepub.com/doi/full/10.1177/20552076231173303 dostęp: 26.03.2025

Olber 2017 Olberg B, Fuchs S, Panteli D, Perleth M, Busse R. Scientific Evidence in Health Technology Assessment Reports: An In-Depth Analysis of European Assessments on High-Risk Medical Devices. Value Health. 2017 Dec;20(10):1420-1426. Źródło: https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1098301517302590?via%3Dihub dostęp: 31.07.2025

Paez 2015 Páez A, Rovers M, Hutchison K, Rogers W, Vasey B, McCulloch P; IDEAL Collaboration. Beyond the RCT: When are Randomized Trials Unnecessary for New Therapeutic Devices, and What Should We Do Instead? Ann Surg. 2022 Feb 1;275(2):324-331. Źródła: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC8746919/ dostęp:31.07.2025

Pearson 2023 Pearson SD, Singh P, Beaudoin F, Campbell J, Schapiro L, Emond SK, Pearson C. Institute for Clinical and Economic Review - Peterson Health Technology Institute value assessment framework for digital health technologies. J Comp Eff Res. 2023 Dec;12(12):e230154. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC10734316/ dostęp: 31.07.2025

Prodan 2022	Prodan A, Deimel L, Ahlqvist J, Birov S, Thiel R, Toivanen M, Kolitsi Z, Kalra D. Success Factors for Scaling Up the Adoption of Digital Therapeutics Towards the Realization of P5 Medicine. Front Med (Lausanne). 2022 Apr 12;9:854665. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC9039393/ dostęp: 31.07.2025
Rodrigues 2024	Rodrigues C, Fu R, Ghose T, Yurga E, Nauenberg E (2025). The intersection of prescription drugs and medical devices: the evaluation and funding challenges of two categories of emerging health technologies. International Journal of Technology Assessment in Health Care, 41(1), e1, 1–6. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC11703628/ dostęp: 25.04.2025
RPEiRM UE 2017	Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady UE 2017/745 (MDR). Źródło: https://eur-lex.europa.eu/legal-content/PL/TXT/?uri=CELEX:32017R0745 dostęp: 31.07.2025
Schmidt 2024	Schmidt, L., Pawlitzki, M., Renard, B.Y. *et al.* The three-year evolution of Germany's Digital Therapeutics reimbursement program and its path forward. *npj Digit. Med.* **7**, 139 (2024). Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC11126413/ dostęp: 25.04.2025
Solaiman 2024	Solaiman B. Regulating AI-Based Medical Devices in Saudi Arabia: New Legal Paradigms in an Evolving Global Legal Order. Asian Bioeth Rev. 2024 Jun 21;16(3):373-389. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC11250741/ dostęp:3 1.07.2025
Szegedi 2018	Szegedi M, Zelei T, Arickx F, Bucsics A, et. al. The European challenges of funding orphan medicinal products. Orphanet J Rare Dis. 2018 Nov 6;13(1):184. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC6219168/ dostęp:31.07.2025
Tarricone 2020	Tarricone R, Ciani O, Torbica A, et. al. Lifecycle evidence requirements for high-risk implantable medical devices: a European perspective. Expert Rev Med Devices. 2020 Oct;17(10):993-1006. Źródło: https://www.tandfonline.com/doi/10.1080/17434440.2020.1825074?url_ver=Z39.88-2003&rfr_id=ori:rid:crossref.org&rfr_dat=cr_pub%20%200pubmed dostęp: 31.07.2025
Tarricone 2022	Tarricone R, Petracca F, Cucciniello M, Ciani O. Recommendations for developing a lifecycle, multidimensional assessment framework for mobile medical apps. Health Econ. 2022 Sep;31 Suppl 1(Suppl 1):73-97. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC9545972/ dostęp: 31.07.2025
Tarricone 2024	Tarricone R. et.al., Towards harmonizing assessment and reimbursement of digital medical devices in the EU through mutual learning, npj Digital Medicine 2024; 7: 268, Źródło: https://doi.org/10.1038/s41746-024-01263-w. dostęp:31.07.2025
Unger 2015	Unger CA, Barber MD. Studying surgical innovations: challenges of the randomized controlled trial. J Minim Invasive Gynecol. 2015 May-Jun;22(4):573-82. Źródło: https://www.sciencedirect.com/science/article/abs/pii/S1553465015001831?via%3Dihub dostęp:31.07.2025
Unsworth 2021	Unsworth H, Dillon B, Collinson L. et. al. The NICE Evidence Standards Framework for digital health and care technologies - Developing and maintaining an innovative evidence framework with global impact. Digit Health. 2021 Jun 24;7:20552076211018617. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC8236783/ dostęp: 31.07.2025
Vis 2020	Vis C, Bührmann L, Riper H, Ossebaard HC. Health technology assessment frameworks for eHealth: A systematic review. Int J Technol Assess Health Care. 2020 Jun;36(3):204-216. Źródło: https://www.cambridge.org/core/journals/international-journal-of-technology-assessment-in-health-care/article/health-technology-assessment-frameworks-for-ehealth-a-systematic-review/BD5492926EF87DF3A6ED45DAC5C36C60 dostęp: 31.07.2025
Yan 2021	an K, Balijepalli C, Druyts E. The Impact of Digital Therapeutics on Current Health Technology Assessment Frameworks. Front Digit Health. 2021 Jun 9;3:667016. Źródło: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC8521991/ dostęp: 31.07.2025
Rozwiązania organizacyjne w innych krajach	
Agencia Estatal Boletin del Estado	Rozporządzenie regulujące badania w zakresie technik monitorowania, technologii i procedur. Źródło: https://www.boe.es/buscar/act.php?id=BOE-A-2015-7629&p=20150708&tn=1 dostęp: 16.05.2025
AIM 2023	Assessment in Medicine. Reimbursment of Medical Devices in Germany. Źródło: https://www.iges.com/sites/igesgroup/iges.de/myzms/content/e29564/e30170/bitem30173/AiM_Reimbursement_of_Medical_Devices_in_Germany_2023_2024_eng.pdff dostęp: 16.05.2025
Bundesrecht 2025	§ 139 - Sozialgesetzbuch (SGB) Fünftes Buch (V) - Gesetzliche Krankenversicherung - (SGB V) Źródło: https://www.buzer.de/139_SGB_V.htm dostęp: 14.04.2025
G-BA 2025a	Gemeinsamer Bundesausschuss. Der Gemeinsame Bundesausschuss. Źródło: https://www.g-ba.de/ueber-den-gba/wer-wir-sind/ dostęp: 16.05.2025
G-BA 2025b	Gemeinsamer Bundesausschuss. Über den G-BA. Źródło: https://www.g-ba.de/ueber-den-gba/ dostęp: 16.05.2025
G-BA 2025c	Gemeinsamer Bundesausschuss. Erprobung neuer Untersuchungs- und Behandlungsmethoden. Źródło: https://www.g-ba.de/themen/methodenbewertung/bewertung-erprobung/erprobungsregelung/ dostęp: 16.05.2025
G-BA 2025d	Gemeinsamer Bundesausschuss. Antrag auf Erprobung. Źródło: https://www.g-ba.de/themen/methodenbewertung/bewertung-erprobung/erprobungsregelung/antragsgesteuert/ dostęp: 16.05.2025

G-BA 2025e	Gemeinsamer Bundesausschuss. Erprobungs-Richtlinien. Źródło: https://www.g-ba.de/themen/methodenbewertung/bewertung-erprobung/erprobungsregelung/richtlinien/ dostęp: 16.05.2025
G-BA 2025f	Gemeinsamer Bundesausschuss. Studien zur Erprobung von neuen Untersuchungs- und Behandlungsmethoden. Źródło: https://www.g-ba.de/studien/erprobung/ dostęp: 16.05.2025
GK 2025	Governement of Canada. Health care system. Źródło https://www.canada.ca/en/health-canada/services/health-care-systems.html dostęp: 14.04.2025
CADTH 2022	Health Technology Review. Rapid Review Process. The Canadian Agency for Drugs & Technologies in Health . Version: 2.0. Źródło: https://www.cda-amc.ca/sites/default/files/attachments/2022-02/Rapid%20Review%20Process_0.pdf 19.05.2025
CDA-AMC 2025	Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health. Źródło: https://www.cda-amc.ca/ dostęp: 14.04.2025
DiGA 2020	The Fast-Track Process for Digital Health Applications (DiGA) according to Section 139e SGB V. A Guide for Manufacturers, Service Providers and Users. Źródło: https://www.bfarm.de/SharedDocs/Downloads/EN/MedicalDevices/DiGA_Guide.pdf?__blob=publicationFile dostęp: 17.04.2025
ESSC	European Social Network, "A national programme to support well-being, ageing and care at home with new technologies" https://essc-eu.org/content/uploads/2023/07/essc2023_national-programme-to-support-wellbeing_heidi-antilla.pdf, dostęp: 11.06.2025
EVA	https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/eva-for-medtech dostęp: 07.05.2025 r.
Kodeks ubezpieczeń społecznych we Francji	Code de la sécurité socjale, Articles L111-1 à L961-5), https://www.legifrance.gouv.fr/loda/article_lc/LEGIARTI000030253337/2023-04-09, https://www.legifrance.gouv.fr/loda/article_lc/LEGIARTI000030253337/2023-04-09 dostęp: 07.04.2025
G_NIUS 2025	https://gnius.esante.gouv.fr/en/financing/reimbursement-profiles/innovation-package, dostęp: 16.05.2025
Haverinen	Jari Haverine at al, .Implementation of a new Digi-HTA process for digital health technologies in Finland https://www.cambridge.org/core/services/aop-cambridge-core/content/view/62CEB654AAEFFB6F51182E531BC6656C/S0266462322000502a.pdf/div-class-title-implementation-of-a-new-digi-hta-process-for-digital-health-technologies-in-finland-div.pdf, International Journal of Technology Assessment in Health Care, 38(1), e68, 1–8 https://doi.org/10.1017/S0266462322000502
HAS 2024	Haute Autorite De Sante, https://www.has-sante.fr/jcms/p_3376633/fr/dispositifs-medicaux-numeriques-la-prise-en-chargeanticipee#:~:text=La%20prise%20en%20charge%20anticip%C3%A9e%20concerne%20les%20DMN%20pr%C3%A9sum%C3%A9s%20innovants,le%20type%20de%20DMN%20concern%C3%A9, dostęp 15.05.2025
HAS 2023	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3269665/fr/dispositifs-medicaux-la-prise-en-charge-transitoire, dostęp: 16.05.2025
HAS 2021	Innovation funding: HAS assessment principles, https://www.has-sante.fr/jcms/c_2035788/fr/forfait-innovation, dostęp: 16.05.2025
HAS-SANTE	https://www.has-sante.fr/jcms/p_3269665/fr/dispositifs-medicaux-la-prise-en-charge-transitoire, dostęp:09.06.2025
HealthTech	https://www.nice.org.uk/news/articles/nice-announces-proposals-to-transform-its-healthtech-programme-to-drive-more-technology-into-the-nhs dostęp: 07.05.2025 r.
HILMA	https://www.hankintailmoitukset.fi/fi/public/procedure/17294/enotice/25702/, dostęp: 11.06.2025
ICI 2025	International Citizens Insurance. German Healthcare System–GKV. Źródło: https://www.internationalinsurance.com/health/systems/germany.php dostęp: 16.05.2025
INAMIa	Institut national d'assurance maladie-invalidité, Applications mobiles médicales : Introduire votre demande, www.inami.fgov.be/fr/professionnels/autres-professionnels/fabricants-et-distributeurs-d-implants-de-div-et-d-autres-dispositifs-medicaux/applications-mobiles-medicales-introduire-votre-demande, dostęp: 28.05.2025
INAMIb	Institut national d'assurance maladie-invalidité,Implants et Dispositifs médicaux invasifs: La Nouvelle Réglementation, www.inami.fgov.be/SiteCollectionDocuments/implants_dispositifs_medicaux_liste_demande_inscription.pdf, dostęp: 28.05.2025
InEK 2025	Institut für das Entgeltsystem im Krankenhaus. Źródło: https://www.g-drg.de/ag-drg-system-2025/fallpauschalen-katalog/fallpauschalen-katalog-2025/fallpauschalen-katalog-20253 dostęp: 16.05.2025
INESSS 2024	**I-13.03** - Loi sur l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux. Źródło: https://www.legisquebec.gouv.qc.ca/fr/document/lc/i-13.03 dostęp: 16.05.2025

IQWiG 2025	Institute for Quality and Efficiency in Health Care. Źródło: https://www.iqwig.de/en/about-us/methods/results/ dostęp: 16.05.2025
KCE	Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg, https://kce.fgov.be/fr/a-propos-de-nous/quest-ce-que-le-kce/nos-domaines-dactivites, dostęp: 03.06.2025
Comité économique des produits de santé(CEPS) 2019	Guide Pratique des procédures à suivre dans le cadre de la prise en charge des dispositifs médicaux sur la liste des produits et prestations remboursables définie à l'article L. 165 1 du code de la sécurité sociale (LPP), https://sante.gouv.fr/IMG/pdf/guide_pratique_depot_dossiers_dm.pdf, dostęp: 07.04.2025
NICE	https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-medical-technologies-evaluation-programme, dostęp 19.05.2025
NHS England	https://www.england.nhs.uk/commissioning/spec-services/key-docs/medical-devices/, dostęp 19.05.2025
Ministère de la Santé 2025	https://sante.gouv.fr/systeme-de-sante/innovation-et-recherche/forfait-innovation, dostęp: 07.04.2025
Ministère de la Santé 2023	https://sante.gouv.fr/soins-et-maladies/autres-produits-de-sante/dispositifs-medicaux/article/prise-en-charge-anticipee-numerique-d-un-dispositif-medical-numerique-presume, dostęp: 16.05.2025
MedTech	Medical technology (MedTech) funding mandate and support Źródło: https://www.england.nhs.uk/aac/what-we-do/how-can-the-aac-help-me/the-medtech-funding-mandate/, dostęp: 07.04.2025
Mordin 2024	Mordin M, Bhogal P, Warttig S, Gildea L, Long J, D'Souza V, Kinderås M, Ling C, Hartley L. HTA Requirements for Medical Technologies in Canada. 2024-05, ISPOR 2024, Atlanta, GA, USA. Value in Health, Volume 27, Issue 6, S1 (June 2024) Źródło: https://www.rtihs.org/sites/default/files/34034_Mordin_2024_HTA%20requirements%20for%20medical%20technologies%20in%20Canada.pdf dostęp 19.05.2025
OYS	Oulu University Hospital, https://oys.fi/fincchta/en/digi-hta-eng/about-digi-hta/, dostęp:10.06.2025
RI 2025	Reimbursement Institute. NUB – Neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden. Źródło: https://reimbursement.institute/glossar/neue-untersuchungs-und-behandlungsmethoden-nub/ dostęp: 16.05.2025
STM	Sosiaali- ja terveysministeriö, Ministerstwo Spraw Socjalnych i Zdrowia, https://stm.fi/-/digihoitojen-korvattavuuskokeiluun-haetaan-suomalaisia-sovelluksia-tai-laitteita, dostęp: 10.06.2025
THL Hyteario	Finnish Institute for Health and Welfare (THL), The Well-being and Health Sector's Artificial Intelligence and Robotics Programme (Hyteairo), https://thl.fi/en/research-and-development/research-and-projects/the-well-being-and-health-sector-s-artificial-intelligence-and-robotics-programme-hyteairo, dostęp: 10.06.2025
THL KATI	Finnish Institute for Health and Welfare (THL),Technology supporting smart ageing and care at home programme (KATI), https://thl.fi/en/research-and-development/research-and-projects/technology-supporting-smart-ageing-and-care-at-home-programme-kati, dostęp: 10.06.2025
Wyckmans	Wyckmans Pieter at al., Pricing & Reimbursement Laws and Regulations 2024 – Belgium, https://www.globallegalinsights.com/practice-areas/pricing-reimbursement-laws-and-regulations/belgium/ dostęp 03.06.2025
Vooren	Bart Van Vooren, Rosa Oyarzabal, Spotlight: medicine and medical device pricing and reimbursement in Belgium, https://www.lexology.com/library/detail.aspx?g=bdf2deac-cb02-493c-a163-9f16c9ddbe81#footnote-014, dostęp: 03.06.2025
Pozostałe źródła	
SRP 2025	Góral J, Janoszka M. Wnioski - IOWISZ - informacje podstawowe. Dolnośląski Urząd Wojewódzki. Źródło: https://www.gov.pl/web/dolnoslaski-uw/wnioski---iowisz---informacje-podstawowe dostęp: 26.03.2025
DHSC 2024	Department of Health & Social Care, Guidance: Medical technology innovation classification framework, 9 April 2024. Źródło: https://www.gov.uk/government/publications/medical-technology-innovation-classification-framework dostęp: 25.04.2025
NIK 2019	Najwyższa Izba Kontroli. Źródło: https://www.nik.gov.pl/najnowsze-informacje-o-wynikach-kontroli/portfel-pacjenta-w-opalach-rosna-doplaty-pacjentow-do-wyrobow-medycznych.html dostęp: 15.04.2025
AOTMiT 2019	Wytyczne do programów pilotażowych – przygotowanie i ewaluacja, AOTMiT, Warszawa, 16 lutego 2024
Strategia wdrożenia HB-HTA 2022	Strategia wdrożenia HB-HTA w Polsce na lata 2022-2027, z perspektywą do 2030 Źródło: https://hbhta.pl/wp-content/uploads/2022/06/22.06.15_Strategia_HBHTA_v10.2_do_konsultacji_zewn_IL-1.pdf dostęp: 06.05.2025
RCL	Projekt ustawy o zmianie ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych oraz niektórych innych ustaw https://legislacja.rcl.gov.pl/projekt/12398102 dostęp: 22.05.2025 r.

8. Spis tabel

Tabela 1. Kluczowe regulacje dotyczące cyfrowych wyrobów medycznych i technologii medycznych . 8

Tabela 2. Schemat dostępnych w Polsce mechanizmów finansowania wyrobów medycznych ze środków publicznych 11

Tabela 3. Zestawienie ścieżek dostępu do wyrobów medycznych w Polsce 13

Tabela 4. Mechanizmy finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych w wybranych krajach wskazanych przez respondentów 23

Tabela 5. Charakterystyka publikacji włączonych do przeglądu 33

Tabela 6. Charakterystyka publikacji włączonych do przeglądu z wyszukiwania uzupełniającego..... 35

Tabela 7. Kryteria włączenia i wykluczenia 40

Tabela 8. Przegląd krajowych programów finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych (w tym cyfrowych) w ramach przeglądu systematycznego 41

Tabela 9 Definicje i kryteria innowacyjnych wyrobów medycznych (Messori 2024, Martin 2024, Angela 2024)..... 42

Tabela 10. Programy finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych (Messori 2024, Martin 2024, Angela 2024, Federici 2021, Myung 2023, Arora 2021) 43

Tabela 11. Ocena i proces refundacji technologii cyfrowych w Wielkiej Brytanii 63

Tabela 12. System zarządzania mechanizmami finansowania (refundacji) wyrobów medycznych i cyfrowych urządzeń medycznych we Francji 66

Tabela 13. Zestawienie informacji dotyczących finansowania innowacyjnych wyrobów medycznych (z wyłączeniem cyfrowych) w wybranych krajach europejskich 79

Tabela 14. Zestawienie informacji dotyczących finansowania cyfrowych wyrobów medycznych w wybranych krajach europejskich 81

Tabela 15. Strategia wyszukiwania doniesień naukowych w bazie MEDLINE via PubMed (data wyszukiwania 14.02.2025) 99

Tabela 16. Strategia wyszukiwania doniesień naukowych w bazie EMBASE via Ovid (data wyszukiwania 14.02.2025) 100

Tabela 17. Charakterystyka publikacji włączonych do przeglądu systematycznego odnoszących się do innowacyjnych wyrobów medycznych 102

Tabela 18. Charakterystyka publikacji włączonych do przeglądu systematycznego odnoszących się do cyfrowych wyrobów medycznych 102

Tabela 19. Strategia wyszukiwania doniesień naukowych w bazie MEDLINE via PubMed (data wyszukiwania 20.05.2025) 104

Tabela 20. Strategia wyszukiwania doniesień naukowych w bazie EMBASE via Ovid (data wyszukiwania 20.05.2025) 104

Tabela 21. Wymagania dowodowe dla cyfrowych wyrobów medycznych wg NICE ESF 109

Tabela 22. Charakterystyka poziomów dowodów dotyczących oceny bezpieczeństwa i skuteczności DHT 114

Tabela 23. Wymagania dowodowe zapewniające minimalną i najlepszą jakość w zakresie oceny bezpieczeństwa i skuteczności dla każdego poziomu dowodów DHT 115

Tabela 24. Charakterystyka dowodów naukowych w zależności od etapu cyklu życia wyrobu medycznego wysokiego ryzyka 117

Tabela 25. Dowody skuteczności w zależności od poziomu cyfrowej technologii medycznej..... 128

9. Spis rysunków

Rysunek 1. Udział poszczególnych grup interesariuszy w badaniu ankietowym 21

Rysunek 2. Wykres ilustrujący deklarowany przez interesariuszy poziom wiedzy z zakresu ścieżek dostępu do finansowania wyrobów medycznych w Polsce 26

Rysunek 3. Ocena ścieżek dostępu do refundacji i finansowania wyrobów medycznych 30

Rysunek 4. Diagram wyboru programu wczesnego dostępu finansowania wyrobów medycznych we Francji 44

Rysunek 5. Ścieżka DiGA i planowane zmiany 58

Rysunek 6. Dowody naukowe potwierdzające pozytywny wpływ na opiekę zdrowotną, które musi posiadać cyfrowa aplikacja zdrowotna aby ubiegać się o wpisanie do katalogu DiGA 60

Rysunek 7. Ogólny proces umieszczania wyrobów medycznych na liście refundacyjnej (Martin 2024) 65

Rysunek 8. Procedura oceny dokonywana w ramach Pakietu Innowacyjnego Forfait Innovation 67

Rysunek 9. Schemat realizacji programu "Finansowanie przejściowe" PECT 69

Rysunek 10. Proces oceny DIGI-HTA 75

Rysunek 11. Diagram selekcji badań PRISMA 101

Rysunek 12. Diagram selekcji publikacji 105

Rysunek 13. Klasyfikacja cyfrowych technologii medycznych w zależności od funkcji oraz poziomu dowodów 126

Rysunek 14. Proces objęcia wyrobu medycznego refundacją w ramach refundacji aptecznej 146

Rysunek 15. Proces objęcia wyrobu medycznego refundacją w ramach zlecenia 148

Rysunek 16. Proces kwalifikacji świadczenia jako świadczenie gwarantowane (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego) 149

Rysunek 17. Proces zmiany technologii medycznej finansowanej ze środków publicznych (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego) 150

Rysunek 18. Proces usunięcia świadczenia (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego) z wykazu świadczeń gwarantowanych 151

Rysunek 19. Proces objęcia finansowaniem ze środków publicznych pilotażu (z zastosowaniem wyrobu medycznego) 153

Rysunek 20. Proces objęcia finansowaniem ze środków publicznych programów polityki zdrowotnej (z zastosowaniem wyrobu medycznego) 155

10. Załączniki do „Materiałów dodatkowych”

10.1. Ankieta

I. Informacje ogólne.

1. Jaką grupę interesariuszy Pani/Pan reprezentuje?

☐ Przedstawiciel przemysłu
☐ Przedstawiciel organizacji pozarządowych (innych niż stowarzyszenia pacjentów)
☐ Przedstawiciel sektora publicznego
☐ Przedstawiciel stowarzyszenia pacjentów lub Rzecznika Praw Pacjenta
☐ Przedstawiciel podmiotów zajmujących się oceną wyrobów medycznych
☐ Ekspert kliniczny/ Konsultant Krajowy
☐ Inna

2. Proszę wskazać rodzaj organizacji.
3. Proszę podać nazwę organizacji, którą Pani/Pan reprezentuje.

II. Ocena potrzeby wprowadzenia nowego procesu administracyjnego objęcia innowacyjnych wyrobów medycznych refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych.

1. Proszę podać definicję innowacyjnego wyrobu medycznego. Proszę podać źródło definicji lub wskazać, iż jest to propozycja własna.
2. Proszę wskazać, co stanowi największe bariery i ograniczenia w dostępie do refundacji lub finansowania ze środków publicznych innowacyjnych wyrobów medycznych, w tym biorąc pod uwagę perspektywę pacjenta (np. czas do wejścia na rynek, niezbędne dowody naukowe, długotrwałe procedury, ograniczenia formalne, koszty po stronie pacjenta, itp.). Proszę uzasadnić swoją odpowiedź.
3. Jakie Pani/Pana zdaniem korzyści powinien zapewniać dla pacjentów lub systemu ochrony zdrowia wyrób medyczny aby mógł zostać uznany za innowacyjny?

☐ Wpływać na obniżenie ryzyka powikłań

☐ Wpływać na poprawę skuteczności procesu diagnostyczno-terapeutycznej pacjenta

☐ Wpływać na poprawę jakości życia pacjentów

☐ Wpływać na skrócenie czasu hospitalizacji

☐ Umożliwiać szybszą diagnostykę

☐ Odciążać opiekunów pacjenta

☐ Umożliwiać zdalne monitorowanie

☐ Ułatwiać dostęp do usług medycznych

☐ Wpływać na zwiększenie efektywności lub użyteczności kosztowej w porównaniu do obecnie dostępnych rozwiązań

☐ Odciążać personel medyczny

☐ Odpowiadać na aktualne priorytety zdrowotne w Polsce

☐ Odpowiadać na niezaspokojoną potrzebę medyczną/zdrowotną

☐ Wpływać na zmniejszenie reinterwencji

☐ Inne

4. Proszę podać jakie inne warunki, niż wymienione powyżej, powinien spełniać wyrób medyczny aby mógł zostać uznany za innowacyjny?

5. Proszę podać trzy przykłady wyrobów medycznych, które w Pani/Pana ocenie spełniają kryteria dla innowacyjnych technologii medycznych, ale nie są aktualnie finansowane ze środków publicznych.
6. Czy znane są Pani/Panu kraje, w których funkcjonują ścieżki szybkiego/ułatwionego dostępu do innowacyjnych wyrobów medycznych, które byłyby możliwe do zaadaptowania w Polsce? Jeżeli tak, proszę napisać jakie to kraje wraz z uzasadnieniem i danymi źródłowymi.
7. Czy w Pani/Pana opinii programy pilotażowe są odpowiednim mechanizmem finansowania i wdrażania innowacyjnych wyrobów medycznych w Polsce?

   ☐ Tak

   ☐ Nie

   ☐ Nie mam zdania
8. Proszę uzasadnić swoją odpowiedź na pytanie powyżej.
9. Czy według Pani/Pana opinii podczas oceny innowacyjnych wyrobów medycznych istnieje konieczność przeprowadzenia rozszerzonej oceny z uwzględnieniem dodatkowych kryteriów, specyficznych tylko dla wyrobów medycznych (np. klasa ryzyka wyrobu medycznego, poszerzona analiza bezpieczeństwa, produkcja w Polsce)?

   ☐ Tak

   ☐ Nie

   ☐ Nie wiem
10. Proszę uzasadnić swoją odpowiedź na pytanie powyżej.
11. Jakie Pani/Pana zdaniem rodzaje dowodów naukowych powinien dostarczyć producent/dystrybutor innowacyjnych wyrobów medycznych wnioskując do Ministra Zdrowia o objęcie refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych? (np. badania obserwacyjne, rejestry, dane RWE, wytyczne kliniczne, rekomendacje niezależnych ekspertów klinicznych i towarzystw naukowych).
12. Czy Pani/Pana zdaniem powinna być możliwość wdrożenia modelu refundacji warunkowej na rzecz oceny innowacyjnych wyrobów medycznych w ramach prospektywnych badań obserwacyjnych finansowanych przez producenta?

    ☐ Tak, zawsze w przypadku niemożności osiągnięcia zadawalających obie strony warunków refundacyjnych. Wówczas badanie obserwacyjne posłuży do opracowania optymalnego modelu wdrożenia technologii do praktyki klinicznej.

    ☐ Tak, ale tylko w przypadku niewystarczających dowodów naukowych względem skuteczności i/lub efektywności.

    ☐ Nigdy

III. Aktualne procesy administracyjne dotyczące objęcia wyrobów medycznych refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych.

1. Jak ocenia Pani/Pan swoją wiedzę na temat obecnych ścieżek dostępu do refundacji lub finansowania ze środków publicznych wyrobów medycznych w Polsce?

	Nie mam wystarczającej wiedzy	**Posiadam wiedzę na poziomie ogólnym**	**Posiadam wiedzę na poziomie eksperckim**
Ścieżka 1: objęcie wyrobu medycznego refundacją w ramach refundacji aptecznej	☐	☐	☐
Ścieżka 2: objęcie wyrobu medycznego refundacją w ramach zlecenia	☐	☐	☐

	Nie mam wystarczającej wiedzy	Posiadam wiedzę na poziomie ogólnym	Posiadam wiedzę na poziomie eksperckim
Ścieżka 3: kwalifikacja świadczenia jako świadczenia gwarantowanego (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego)	☐	☐	☐
Ścieżka 4: zmiana technologii medycznej finansowanej ze środków publicznych (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego)	☐	☐	☐
Ścieżka 5: objęcie finansowaniem ze środków publicznych pilotażu (z zastosowaniem wyrobu medycznego)	☐	☐	☐
Ścieżka 6: objęcie finansowaniem ze środków publicznych programu polityki zdrowotnej (z zastosowaniem wyrobu medycznego)	☐	☐	☐

2. Jak ocenia Pani/Pan obecne ścieżki dostępu do refundacji lub finansowania ze środków publicznych wyrobów medycznych w Polsce?

	Bardzo źle	Źle	Umiarkowanie dobrze	Dobrze	Bardzo dobrze
Ścieżka 1: objęcie wyrobu medycznego refundacją w ramach refundacji aptecznej	☐	☐	☐	☐	☐
Ścieżka 2: objęcie wyrobu medycznego refundacją w ramach zlecenia	☐	☐	☐	☐	☐
Ścieżka 3: kwalifikacja świadczenia jako świadczenia gwarantowanego (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego)	☐	☐	☐	☐	☐
Ścieżka 4: zmiana technologii medycznej finansowanej ze środków publicznych (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego)	☐	☐	☐	☐	☐
Ścieżka 5: objęcie finansowaniem ze środków publicznych pilotażu (z zastosowaniem wyrobu medycznego)	☐	☐	☐	☐	☐
Ścieżka 6: objęcie finansowaniem ze środków publicznych programu polityki zdrowotnej (z zastosowaniem wyrobu medycznego)	☐	☐	☐	☐	☐

3. Proszę wskazać najważniejsze bariery i ograniczenia w ramach ścieżek objęcia wyrobów medycznych refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych:

	Brak określonego wnioskodawcy rozpoczynającego proces (np. producent/dystrybutor wyrobów medycznych, konsultant krajowy)	**Brak wykazu dokumentów składanych przez wnioskodawcę** (wymagania minimalne, wymagania formalne)	**Brak wskazanego czasu na weryfikację dokumentów przez MZ**	**Brak wskazanego czasu na realizację oceny przez AOTMiT**	**Brak ram czasowych pełnego procesu do przedstawienia decyzji MZ**	**Brak dedykowanej ścieżki dostępu do refundacji dla innowacyjnych wyrobów medycznych**	**Brak barier i ograniczeń**	**Inne**
Ścieżka 1: objęcie wyrobu medycznego refundacją w ramach refundacji aptecznej	☐	☐	☐	☐	☐	☐	☐	☐
Ścieżka 2: objęcie wyrobu medycznego refundacją w ramach zlecenia	☐	☐	☐	☐	☐	☐	☐	☐
Ścieżka 3: kwalifikacja świadczenia jako świadczenia gwarantowanego (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego)	☐	☐	☐	☐	☐	☐	☐	☐
Ścieżka 4: zmiana technologii medycznej finansowanej ze środków publicznych (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego)	☐	☐	☐	☐	☐	☐	☐	☐
Ścieżka 5: objęcie finansowaniem ze środków publicznych pilotażu (z zastosowaniem wyrobu medycznego)	☐	☐	☐	☐	☐	☐	☐	☐
Ścieżka 6: objęcie finansowaniem ze środków publicznych programu polityki zdrowotnej (z zastosowaniem wyrobu medycznego)	☐	☐	☐	☐	☐	☐	☐	☐

4. Proszę podać, jakie inne bariery i ograniczenia występują w ramach obecnych ścieżek objęcia wyrobów medycznych refundacją lub finansowaniem ze środków publicznych.

10.2. Materiały w zakresie dowodów naukowych dotyczących procesów refundacyjnych

10.2.1. Strategia wyszukiwania badań

Tabela 15. Strategia wyszukiwania doniesień naukowych w bazie MEDLINE via PubMed (data wyszukiwania 14.02.2025)

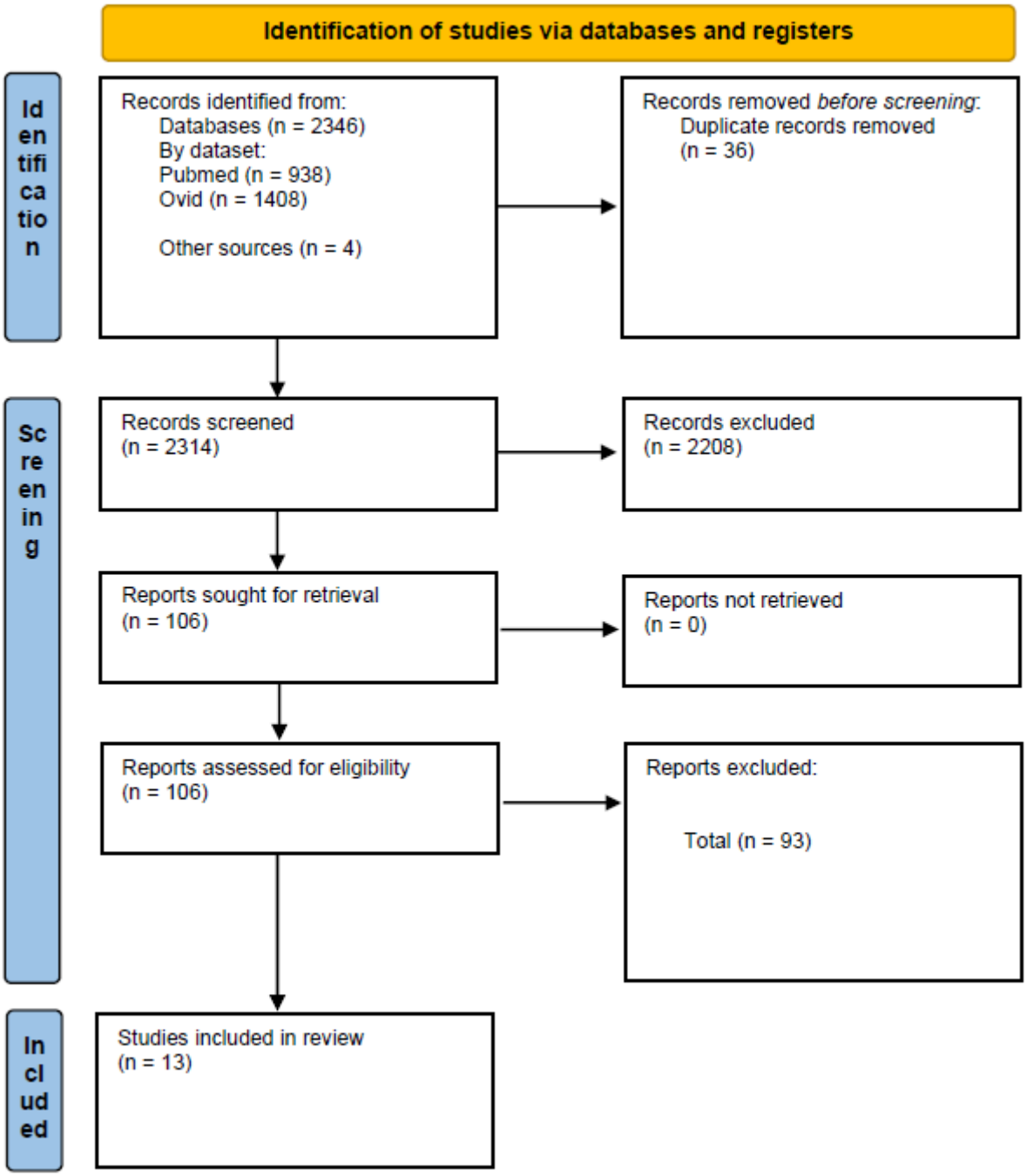
Lp.	Kwerenda	Liczba rekordów
1	Search: **"medical device*"[Title/Abstract]**	24 267
2	Search: **"medical technolog*"[Title/Abstract]**	7802
3	Search: **"Digital Health"[MeSH Terms]**	683
4	Search: **"digital health technolog*"[Title/Abstract]**	1511
5	Search: **"Digital Health"[MeSH Terms] OR "digital health technolog*"[Title/Abstract]**	2054
6	Search: **clinical technolog*[Title/Abstract]**	364
7	Search: **diagnostic tool*[Title/Abstract]**	59 764
8	Search: **medical equipment*[Title/Abstract]**	4221
9	Search: **surgical devic*[Title/Abstract]**	1166
10	Search: **hospital procurement[Title/Abstract]**	40
11	Search: **(((((("medical device*"[Title/Abstract]) OR ("medical technolog*"[Title/Abstract])) OR ("Digital Health"[MeSH Terms] OR "digital health technolog*"[Title/Abstract])) OR (clinical technolog*[Title/Abstract])) OR (diagnostic tool*[Title/Abstract])) OR (medical equipment*[Title/Abstract])) OR (surgical devic*[Title/Abstract])) OR (hospital procurement[Title/Abstract])**	98 640
12	Search: **"innovati*"[Title/Abstract]**	250 544
13	Search: **"emerging"[Title/Abstract]**	376 824
14	Search: **"pioneering"[Title/Abstract]**	12 864
15	Search: **"breakthrough"[Title/Abstract]**	32 198
16	Search: **"groundbreaking"[Title/Abstract]**	4703
17	Search: **"innovati*"[Title/Abstract] OR "emerging"[Title/Abstract] OR "pioneering"[Title/Abstract] OR "breakthrough"[Title/Abstract] OR "groundbreaking"[Title/Abstract]**	658 419
18	Search: **"reimburs*"[Title/Abstract]**	36 365
19	Search: **"policy"[Title/Abstract]**	301 290
20	Search: **"funding"[Title/Abstract]**	92 945
21	Search: **"decision-making"[Title/Abstract]**	233 075
22	Search: **"payment"[Title/Abstract]**	27 544
23	Search: **"pricing"[Title/Abstract]**	8447
24	Search: **"coverage"[Title/Abstract]**	175 613
25	Search: **purchase*[Title/Abstract]**	32 692
26	Search: **"reimburs*"[Title/Abstract] OR "policy"[Title/Abstract] OR "funding"[Title/Abstract] OR "decision-making"[Title/Abstract] OR "payment"[Title/Abstract] OR "pricing"[Title/Abstract] OR "coverage"[Title/Abstract] OR "purchase*"[Title/Abstract]**	832 573
27	Search: **((((((((("medical device*"[Title/Abstract]) OR ("medical technolog*"[Title/Abstract])) OR ("Digital Health"[MeSH Terms] OR "digital health technolog*"[Title/Abstract])) OR (clinical technolog*[Title/Abstract])) OR (diagnostic tool*[Title/Abstract])) OR (medical equipment*[Title/Abstract])) OR (surgical devic*[Title/Abstract])) OR (hospital procurement[Title/Abstract])) AND ("innovati*"[Title/Abstract] OR "emerging"[Title/Abstract] OR "pioneering"[Title/Abstract] OR "breakthrough"[Title/Abstract] OR "groundbreaking"[Title/Abstract])) AND ("reimburs*"[Title/Abstract] OR "policy"[Title/Abstract] OR "funding"[Title/Abstract] OR "decision-making"[Title/Abstract] OR "payment"[Title/Abstract] OR "pricing"[Title/Abstract] OR "coverage"[Title/Abstract] OR "purchase*"[Title/Abstract])**	938

Tabela 16. Strategia wyszukiwania doniesień naukowych w bazie EMBASE via Ovid (data wyszukiwania 14.02.2025)

Lp.	Kwerenda	Liczba rekordów
1	"medical device*".ab,kf,ti.	33633
2	"medical technolog*".ab,kf,ti.	10478
3	exp digital health technology/	590
4	"digital health technolog*".ab,kf,ti.	1669
5	3 or 4	1922
6	"clinical technolog*".ab,kf,ti.	448
7	"diagnostic tool*".ab,kf,ti.	83759
8	"medical equipment*".ab,kf,ti.	5728
9	"surgical devic*".ab,kf,ti.	1638
10	hospital procurement.ab,kf,ti.	61
11	"innovati*".ab,kf,ti.	310030
12	emerging.ab,kf,ti.	442830
13	pioneering.ab,kf,ti.	14356
14	breakthrough.ab,kf,ti.	44163
15	groundbreaking.ab,kf,ti.	4007
16	11 or 12 or 13 or 14 or 15	794589
17	"reimburs*".ab,kf,ti.	57484
18	policy.ab,kf,ti.	350676
19	funding.ab,kf,ti.	164993
20	decision-making.ab,kf,ti.	313610
21	payment.ab,kf,ti.	35097
22	pricing.ab,kf,ti.	12477
23	coverage.ab,kf,ti.	226048
24	"purchase*".ab,kf,ti.	44299
25	17 or 18 or 19 or 20 or 21 or 22 or 23 or 24	1105680
26	1 or 2 or 5 or 6 or 7 or 8 or 9 or 10	136152
27	16 and 25 and 26	1408

10.2.2. Diagram selekcji badań

Rysunek 11. Diagram selekcji badań PRISMA



10.2.3. Publikacje włączone do przeglądu systematycznego

Tabela 17. Charakterystyka publikacji włączonych do przeglądu systematycznego odnoszących się do innowacyjnych wyrobów medycznych

Publikacja	Charakterystyka
Angela 2024 Włochy	**Typ badania:** Konsensus ekspertów. **Cel badania:** Opracowanie kryteriów definiujących innowacyjność. **Metodyka**: Badanie rozpoczęto od przeprowadzenia elektronicznej ankiety skierowanej do interesariuszy włoskiego systemu ochrony zdrowia, której celem było zebranie propozycji kryteriów definiujących innowacyjność wyrobów medycznych. Na podstawie wyników tej ankiety opracowano zestaw 12 kryteriów, które następnie poddano ocenie w dwóch rundach metodą Delphi, prowadząc do osiągnięcia konsensusu co do najważniejszych z nich.
Messori 2024 Włochy (Toskania)	**Typ badania:** Badanie poglądowe. **Cel badania:** Określenie definicji dla wyrobów medycznych potencjalnie innowacyjnych oraz zdefiniowanie trójstopniowego algorytmu decyzyjnego, który obejmował zatwierdzanie innowacyjnych urządzeń, zatwierdzanie niektórych urządzeń nieinnowacyjnych i odrzucanie pozostałych urządzeń nieinnowacyjnych. **Metodyka:** Retrospektywny przegląd decyzji podjętych przez komitet Centro Operativo w sprawie refundacji wyrobów medycznych.
Martin 2024 Francja	**Typ badania:** Badanie poglądowe. **Cel badania:** Analiza programów wczesnego dostępu do wyrobów medycznych (early access programme) we Francji **Metodyka:** Publikacja obejmuje opis istniejących programów wczesnego dostępu do wyrobów medycznych, którymi są Innovation Funding (IF), przejściowe finansowanie (Prise en charge transitoire lub PECT) i przejściowe finansowanie dostosowane do aplikacji zdrowia cyfrowego (Prise en charge anticip´ee num´erique lub PECAN). Opisano również ewaluację i wyniki tych programów. Publikacja nie obejmowała ścieżek stworzonych dla wyrobów do diagnostyki in vitro.
Myung 2023 Korea Południowa	**Typ badania:** badanie poglądowe. **Cel badania:** Zbadanie statusu podejmowania decyzji w sprawie pokrycia kosztów refundacji dla cyfrowych aplikacji zdrowotnych w Korei Południowej. **Metodyka:** Przegląd artykułów w czasopismach, wytycznych, raportów, komunikatów prasowych i informacji publicznych opublikowanych przez rząd i z innych źródeł. Przegląd literatury przeprowadzono w okresie od kwietnia do maja 2022 r.
Arora 2021 Wielka Brytania	**Typ badania:** Badanie poglądowe. **Cel badania:** Przedstawienie głównych ścieżek innowacji w całej NHS – ich zakres, wyzwania, obszary do poprawy.
Federici 2021 Europa	**Typ badania:** Badanie poglądowe ankietowe. **Cel badania:** Analiza programów finansowania za rozwój dowodów naukowych (ang. coverage with evidence development, CED) w krajach europejskich. **Metodyka:** Przeprowadzono ustrukturyzowane wywiady z 25 decydentami z 22 krajów europejskich, w celu zbadania istniejących programów CED dla wyrobów medycznych oraz 13 wstępnie zidentyfikowanych wyzwań związanych z inicjowaniem i prowadzeniem programów CED. Zebrano dane na temat poszczególnych programów, które zostały zainicjowane lub były nadal realizowane w ciągu ostatnich 5 lat (na czas tworzenia publikacji).

Tabela 18. Charakterystyka publikacji włączonych do przeglądu systematycznego odnoszących się do cyfrowych wyrobów medycznych

Publikacja	Charakterystyka
Graff 2024 USA	**Typ badania:** Konsensus ekspercki **Cel:** Zidentyfikowanie obszarów zgody, rozbieżności i przesłanek dla płatników, określenie, które cyfrowe produkty zdrowotne powinny być oceniane pod kątem rozważenia w recepturze, oraz opracowanie uogólnionych kryteriów dla decydentów w zakresie opieki zdrowotnej opracowujących polityki i podejścia do cyfrowych produktów zdrowotnych. **Metodyka**: Konsensus ekspertów (zmodyfikowane podejście Delphi)
Schmidt 2024 Niemcy	**Typ badania:** Artykuł poglądowy

Publikacja	Charakterystyka
	Cel: przedstawienie podsumowania rozwoju programu refundacji cyfrowych aplikacji zdrowotnych w ciągu trzech lat, wyodrębnienie kluczowych wniosków i nakreślenie nadchodzących zmian legislacyjnych, które nadal kształtują tę ścieżkę dla cyfrowych produktów zdrowotnych.
Groene 2023 Niemcy	**Typ badania:** Artykuł poglądowy **Cel badania:** 1.Przedstawienie obrazu polityki niemieckiej poprzez ocenę jej skuteczności w osiąganiu celów oraz przegląd pojawiających się wyzwań w kontekście cyfrowych aplikacji zdrowotnych. 2.Nakreślenie perspektywicznych opcji politycznych i obszarów uzasadniających przyszłe badania. **Metodyka:** Analiza publicznie dostępnych danych Niemieckiego Federalnego Instytut Leków i Wyrobów Medycznych (Bundesamt für Arzneimittel und Medizinprodukte, BfArM) dotyczących DiHA,. W przypadkach, w których dane te nie były odpowiednie do udzielenia odpowiedzi na pytania dotyczące oceny polityki, dokonano przeglądu opublikowanej literatury w celu zidentyfikowania odpowiednich badań.
Mantovani 2023 USA, Australia, Niemcy, Francja, Wielka Brytania	**Typ badania:** przegląd niesystematryczny **Cel:** przedstawienie ogólnego przeglądu porównawczego scenariuszy regulacyjnych i podejścia do renuncjacji terapii cyfrowych i diagnostyki *in vitro* opartej na oprogramowani oraz zidentyfikowanie tych aspektów, które powinny być lepiej uwzględnione, aby wesprzeć ich przyjęcie i komercjalizację. **Metodyka:** Przegląd regulacji i rozwiązań refundacyjnych w wybranych krajach (m.in. szara literatura, wytyczne)
Mazei 2023 Świat/zalecenia dla Węgier	**Typ badania:** Przegląd niesystematyczny **Cel:** 1.Przegląd praktyk w innych krajach (pięć krajów UE) w zakresie finansowania publicznego i oceny technologii medycznych w odniesieniu do cyfrowych technologii medycznych. 2.Przedstawienie zaleceń dotyczących działań na szczeblu krajowym, które odpowiednie zainteresowane strony mogą rozważyć w celu wsparcia wdrażania cyfrowych rozwiązań zdrowotnych na Węgrzech. **Metodyka:** Przegląd niesystematyczny istniejących praktyk w zakresie HTA dotyczących cyfrowych technologii medycznych oraz ocena potencjalnych implikacji dla obecnych praktyk HTA na Węgrzech.
Kolasa 2020 Świat	**Typ badania:** Przegląd systematyczny **Cel badania:** 1.Sprecyzowanie zaleceń, które należy wziąć pod uwagę przy generowaniu dowodów podczas procesu opracowywania cyfrowych rozwiązań zdrowotnych przez producentów, 2.Opracownaie sugestii metodologicznych dotyczących przyszłych ram oceny wartości cyfrowych interwencji zdrowotnych w procesach wyceny i refundacji. **Metodyka:** Przegląd systematyczny publikacji odnoszących się do wytycznych/list kontrolnych stosowanych celem oceny cyfrowych interwencji zdrowotnych.
Njoku 2023 Wielka Brytania	**Typ badania:** Analiza badania ankietowego **Cel badania:** Badanie perspektywy interesariuszy korzystających z Programów Akceleracyjnych (ang. Accelerator Programmes, AP), zrozumienie czynników sprzyjających i utrudniających udział w AP z perspektywy małych i średnich przedsiębiorstw. **Metodyka:** Przeprowadzenie badania ankietowego wśród interesariuszy korzystających z AP oraz analiza jego wyników.

10.3. Materiały w zakresie dowodów naukowych dotyczących oceny klinicznej wyrobów medycznych

10.3.1. Strategie wyszukiwania badań

Tabela 19. Strategia wyszukiwania doniesień naukowych w bazie MEDLINE via PubMed (data wyszukiwania 20.05.2025)

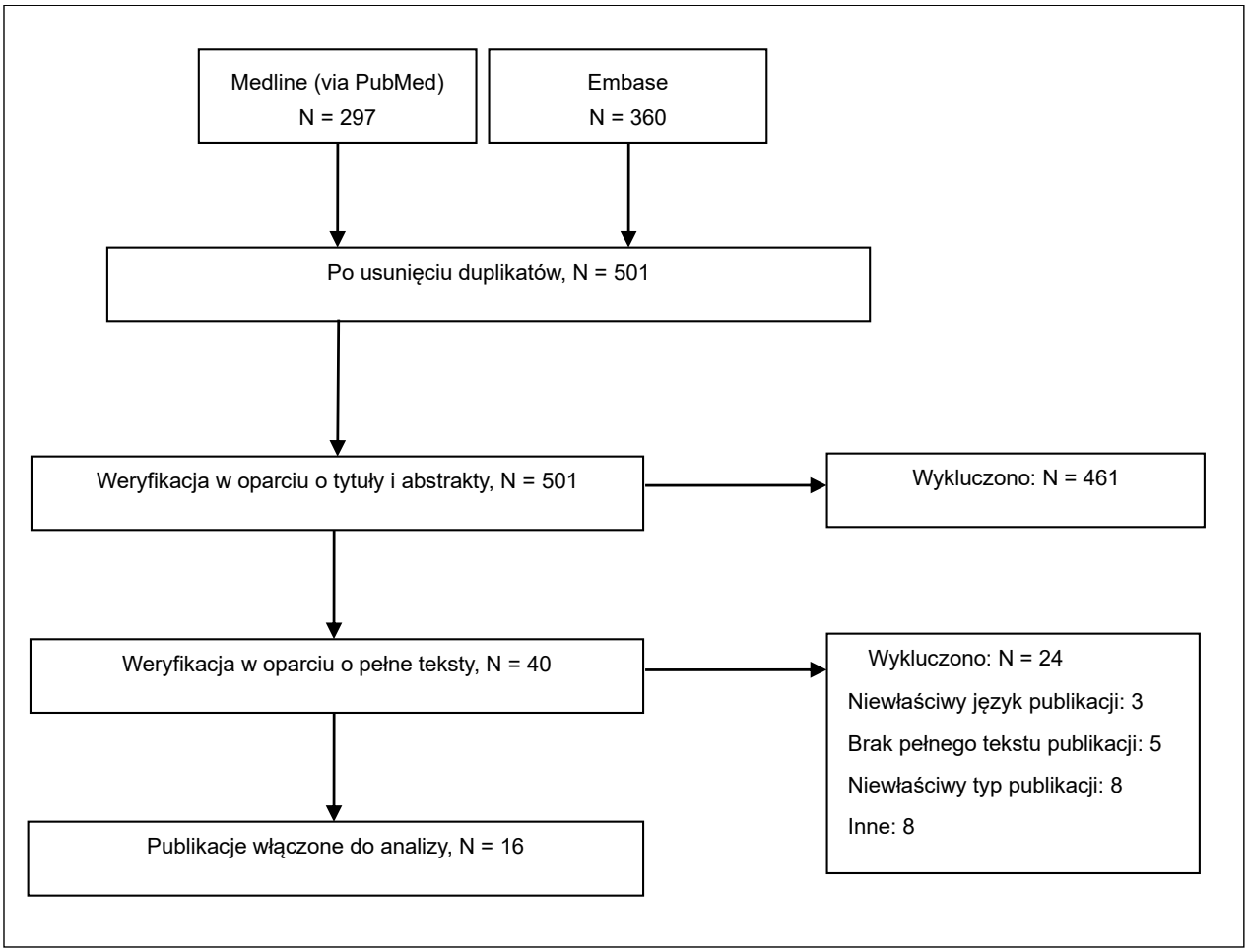
Lp.	Kwerenda	Liczba rekordów
1	“medical device*” [Title/Abstract] OR “medical technolog*” [Title/Abstract] OR “Digital Health” [Title/Abstract] OR “digital health technolog*” [Title/Abstract] OR “clinical technolog*” [Title/Abstract] OR “diagnostic tool*” [Title/Abstract] OR “medical equipment*” [Title/Abstract] OR “surgical devic*” [Title/Abstract] OR “hospital procurement*” [Title/Abstract] OR “medical instrument*” [Title/Abstract] OR “medical apparatus*” [Title/Abstract] OR “medical implement*” [Title/Abstract] OR “medical contrivance*” [Title/Abstract] OR “medical accesor*” [Title/Abstract] OR “medical digital tool*” [Title/Abstract]	114 281
2	“health technology assessment”[Title/Abstract] OR “HTA”[Title/Abstract] OR “evidence based medicine”[Title/Abstract] OR “EBM”[Title/Abstract] OR “evaluation method*”[Title/Abstract] OR “assessment approach”[Title/Abstract] OR “assessment methodology*”[Title/Abstract] OR “regulation*”[Title/Abstract] OR “decision making”[Title/Abstract] OR “best practice*”[Title/Abstract] OR “evaluation criteria”[Title/Abstract] OR “HTA methodolog*”[Title/Abstract] OR “evaluation principle*”[Title/Abstract] OR „HTA principle*”	1 490 905
3	“risk class*”[Title/Abstract] OR “device classification”[Title/Abstract] OR “risk category”[Title/Abstract] OR “class*”[Title/Abstract] OR “level*”[Title/Abstract] OR “stage*”	7 991 373
4	“evidence requirement*”[Title/Abstract] OR “evidence quality”[Title/Abstract] OR “evidence level*”[Title/Abstract] OR “evidence grade*”[Title/Abstract] OR “evidence strength”[Title/Abstract] OR “scientific proof*”[Title/Abstract] OR “evidence hierarchy”[Title/Abstract] OR “evidence standard*”OR "systematic review"[Title/Abstract] OR "methodological review"[Title/Abstract] OR "HTA report"[Title/Abstract] OR "guideline*"[Title/Abstract] OR "comparative analysis"[Title/Abstract] OR “consensus statement*”[Title/Abstract] OR “methodological guidance”[Title/Abstract] OR “position paper*”[Title/Abstract] OR “assessment framework*”	965 623
6	#1 AND #2 AND #3 AND #4	388
7	#1 AND #2 AND #3 AND #4 Filters: from 2017-3000/12/12	297

Tabela 20. Strategia wyszukiwania doniesień naukowych w bazie EMBASE via Ovid (data wyszukiwania 20.05.2025)

Lp.	Kwerenda	Liczba rekordów
1	("medical device*" or "medical technolog*" or "Digital Health" or "digital health technolog*" or "clinical technolog*" or "diagnostic tool*" or "medical equipment*" or "surgical devic*" or "hospital procurement*" or "medical instrument*" or "medical apparatus*" or "medical implement*" or "medical contrivance*" or "medical accesor*" or "medical digital tool*").ab,ti.	148 086
2	“health technology assessment” OR “HTA” OR “evidence based medicine” OR “EBM” OR “evaluation method*” OR “assessment approach” OR “assessment methodology*” OR “regulation*” OR “decision making” OR “best practice*” OR “evaluation criteria” OR “HTA methodolog*” OR “evaluation principle*” OR „HTA principle*”).ab,ti.	1 818 459
3	("risk class*" or "device classification" or "risk category" or "class*" or "level*" or "stage*").ab,ti.	10 401 467
4	("evidence requirement*" or "evidence quality" or "evidence level*" or "evidence grade*" or "evidence strength" or "scientific proof*" or "evidence hierarchy" or "evidence standard*OR systematic review" or "methodological review" or "HTA report" or "guideline*" or "comparative analysis" or "consensus statement*" or "methodological guidance" or "position paper*" or "assessment framework*").ab,ti.	991 576
5	1 and 2 and 3 and 4	500
6	5 and 2017:2027.(sa_year).	360

10.3.2. Diagram selekcji badań

Rysunek 12. Diagram selekcji publikacji



10.3.3. Wyniki przeglądu systematycznego

Tarricone 2024

Artykuł przeglądowy Tarricone 2024 dostarcza analizy polityki krajów Unii Europejskiej (UE) w zakresie oceny, refundacji i integracji cyfrowych wyrobów medycznych (ang. *digital medical devices*, DMD) w systemach ochrony zdrowia. Jednym z aspektów poruszanych w publikacji są wymagania dotyczące dowodów skuteczności i bezpieczeństwa, stanowiące podstawę do oceny klinicznej tych technologii (Tarricone 2024).

Z analizowanych państw UE, jedynie trzy kraje – Niemcy, Belgia i Francja – wdrożyły szczegółowe, formalne ramy refundacyjne dla DMD, które zawierają wymagania w zakresie oceny klinicznej. W każdym z tych przypadków dowody skuteczności i bezpieczeństwa stanowią kluczowy warunek dopuszczenia do refundacji (Tarricone 2024).

W Niemczech w ramach systemu DiGA (cyfrowe aplikacje zdrowotne, niem. *Digitale Gesundheitsanwendungen*), ocena kliniczna koncentruje się na wykazaniu tzw. „pozytywnego wpływu na opiekę zdrowotną" (niem. *positive Versorgungseffekt*), który może mieć charakter kliniczny (np. poprawa stanu zdrowia, redukcja objawów, jakość życia) lub organizacyjny (np. ułatwienie komunikacji z pacjentem, zwiększenie efektywności organizacyjnej). Preferowanym źródłem dowodów są randomizowane badania kliniczne z grupą porównawczą (ang. *Randomized Controlled Trial*, RCT), przy czym dopuszczalne są również badania obserwacyjne lub dane z rzeczywistej praktyki klinicznej (ang. *Real-World Data*, RWD), jeśli są odpowiednio uzasadnione. Dowody organizacyjne

lub proceduralne mogą być akceptowane, jeżeli wpływają bezpośrednio na poprawę opieki (np. skrócenie czasu terapii, redukcje kosztów administracyjnych). Dodatkowo, refundacja tymczasowa (uzyskanie tymczasowego wpisu do rejestru DiGA na 12 miesięcy) umożliwia dostęp do rynku jeszcze przed zakończeniem zbierania pełnych danych klinicznych, przy założeniu, że producent dostarczy wyniki w określonym czasie (Tarricone 2024).Belgijski system oparty jest na trójstopniowej piramidzie walidacyjnej, z której poziom trzeci (kwalifikacja do refundacji) wymaga przedstawienia wiarygodnych dowodów skuteczności i bezpieczeństwa, najlepiej popartych badaniami klinicznymi z grupą porównawczą (RCT). Dowody skuteczności klinicznej pochodzące z badań obserwacyjnych mogą być uznane przy odpowiednim uzasadnieniu (np. dla produktów już stosowanych w praktyce). Wraz z dowodami klinicznymi analizowana jest również ocena interoperacyjności i kontekstu klinicznego użycia wyrobu medycznego. DMD musi wykazać mierzalną poprawę zdrowotną lub wartość dodaną w praktyce klinicznej, przy czym zespół ekspertów z NIHDI (ang. *National Institute for Health and Disability Insurance*) analizuje również aspekty kosztowo-efektywnościowe i potencjał integracji z istniejącymi ścieżkami opieki. Mechanizm refundacji tymczasowej również przewiduje gromadzenie danych w warunkach rzeczywistej praktyki klinicznej (Tarricone 2024).

We Francji wymagania dotyczące dowodów różnią się w zależności od wybranej ścieżki refundacyjnej. Dla produktów aplikowanych do listy LPP (wykaz wyrobów medycznych i usług towarzyszących podlegających refundacji, fr. *Liste des Produits et Prestations remboursables par l'Assurance Maladie, LPP*) konieczne jest przedstawienie danych z badań potwierdzających skuteczność kliniczną z wynikami klinicznie istotnymi (ang. *patient-relevant outcomes).* Dowody z rzeczywistej praktyki klinicznej (ang. *Real-World Evidence*, RWE) – mogą być brane pod uwagę w ścieżce przyspieszonej refundacji (fr. *Prise en Charge Anticipée Numérique*, finansowanie przejściowe dla cyfrowych wyrobów medycznych, PECAN), o ile są uzupełnione planem dalszych badań. PECAN umożliwia roczne finansowanie dla innowacyjnych produktów, które nie posiadają jeszcze pełnego zestawu danych klinicznych, jednak zobowiązuje producenta do ich dostarczenia w określonym horyzoncie czasowym. Ponadto, jako wskaźniki wartości klinicznej we Francji analizowane są również dowody organizacyjne, wpływ na efektywność opieki czy też akceptowalność i zgodność pacjentów z terapią (ang. *compliance*). Dla standardowej refundacji wymagane jest wykazanie korzyści klinicznej (fr. *Service Attendu*) i wartości dodanej (fr. *Amélioration du Service Attendu*, ASA). Dla PECAN – wystarczy „obietnica wartości" i zobowiązanie do dostarczenia mocniejszych danych w określonym czasie (Tarricone 2024).

Wszystkie trzy kraje uznają dane kliniczne (szczególnie RCT) za złoty standard, ale dopuszczają również inne formy dowodów, jeśli są dobrze zaprojektowane i odpowiednio uzasadnione (Tarricone 2024).

Solaiman 2024

Publikacja Solaiman 2024 opisuje podejście SFDA (ang. *Saudi Food and Drug Authority*) do oceny wyrobów medycznych opartych na sztucznej inteligencji (ang. *Artificial Intelligence*, AI). SFDA wprowadza ramy regulacyjne łączące międzynarodowe najlepsze praktyki oraz specyficzne wymagania wynikające z lokalnego prawa o wyrobach medycznych. Jednym z kluczowych elementów regulacji jest wymóg przedstawienia kompleksowych dowodów potwierdzających skuteczność i bezpieczeństwo wyrobów medycznych opartych na AI. SFDA wymaga wykazania, że korzyści urządzenia przewyższają ryzyka, a funkcje AI mają kliniczne uzasadnienie. W szczególności, producenci muszą wykazać (Solaiman 2024):

Powiązanie kliniczne (ang. *Clinical Association*) – dowody muszą potwierdzać, że wynik generowany przez urządzenie AI wykazuje znaczenie kliniczne i jest powiązany z docelowym stanem klinicznym. Akceptowane są dane pochodzące z literatury naukowej, badań klinicznych lub wytycznych klinicznych. W przypadku braku wystarczających dowodów, producent jest zobowiązany do wygenerowania nowych dowodów np. poprzez analizy danych wtórnych lub badania kliniczne (Solaiman 2024).

Walidacja analityczna i techniczna (ang. *Analytical/Technical Validation*) – dowody potwierdzające poprawność przetwarzania danych wejściowych przez system AI oraz wiarygodność uzyskanego wyniku. Walidacja ta opiera się na testach technicznych i statystycznych przy użyciu wiarygodnych danych referencyjnych (Solaiman 2024).

Walidacja kliniczna (ang. *Clinical Validation*) – to wykazanie, że urządzenie dostarcza wiarygodne i użyteczne klinicznie wyniki, które przyczyniają się do poprawy opieki nad pacjentem. Walidacja może pochodzić z badań przed- i po wprowadzeniu na rynek, a także na danych ekstrapolowanych z podobnych urządzeń, jeśli brakuje dedykowanych badań. Może obejmować pomiary czułości, swoistości, wartości predykcyjnej dodatniej (ang. *Positive Predictive Value,* PPV) i ujemnej

(ang. *Negative Predictive Value*, NPV), dodatniego i ujemnego współczynnika prawdopodobieństwa (ang. *Positive ang Negative Likelihood Ratio*, LR+, LR-), jak również ocenę użyteczności klinicznej. Wymagane jest, by walidacja była dostosowana do specyfiki AI i celu urządzenia. (Solaiman 2024).

Ze względu na adaptacyjny charakter AI, SFDA podkreśla konieczność ciągłego nadzoru nad urządzeniem, aby monitorować jego bezpieczeństwo i skuteczność w warunkach rzeczywistych. Obejmuje to m.in. śledzenie zdarzeń niepożądanych, skuteczności terapeutycznej oraz wydajności algorytmów. Ponadto, rolę przy decyzji o wymaganym poziomie dowodów odgrywa nowość urządzenia (ang. *novelty*) – urządzenia uznane za „nowe" mogą wymagać bardziej zaawansowanych badań (Solaiman 2024).

Prodan 2022

W publikacji Prodan 2022 przedstawiono kompleksowe spojrzenie na wyzwania i sukcesy związane z adopcją cyfrowych terapii medycznych (ang. *Digital Therapeutics*, DTx) w systemach ochrony zdrowia, ze szczególnym uwzględnieniem procesów oceny klinicznej tych wyrobów medycznych. Autorzy analizują obecny stan wdrażania DTx w wybranych krajach europejskich, wskazując na bariery takie jak złożoność procesów regulacyjnych oraz niewystarczająca integracja DTx w istniejących ścieżkach opieki zdrowotnej (Prodan 2022).

Dokument podkreśla, że randomizowane badania kontrolowane (RCT) są złotym standardem w generowaniu dowodów na skuteczność kliniczną DTx. RCT zapewniają najwyższą naukową wiarygodność i są powszechnie akceptowane w środowisku medycznym. Jednak RCT same w sobie nie wystarczą, ponieważ skuteczność DTx musi być oceniana także w kontekście ich integracji z rzeczywistymi ścieżkami leczenia, czyli w warunkach codziennej praktyki klinicznej. Z tego powodu rekomendowane jest połączenie danych z badań klinicznych z dowodami z rzeczywistego świata (RWE), które pozwalają ocenić skuteczność i wpływ DTx w praktyce, m.in. na procesy leczenia i interakcje między pacjentem a pracownikami ochrony zdrowia. RWE mogą obejmować obserwacje, dane z rejestrów, elektroniczne bazy zdrowotne oraz wyniki tymczasowego stosowania DTx w systemach refundacji tymczasowej. Dodatkowo, w publikacji jest mowa o elastyczności w akceptowaniu innych form dowodów w zależności od specyfiki DTx i kontekstu zastosowania, np. badania pilotażowe, dane z badań jakościowych dotyczących użytkowania i zaangażowania pacjentów czy też analizy ekonomiczne potwierdzające korzyści zdrowotne i kosztowe (Prodan 2022).

Autorzy zaznaczają, że DTx muszą spełniać także wymagania dotyczące bezpieczeństwa technologicznego, prywatności i ochrony danych pacjentów, co jest istotnym elementem oceny klinicznej i certyfikacji. Dodatkowo, ze względu na charakter aplikacji skierowanych bezpośrednio do użytkownika, dokument wskazuje na konieczność spełnienia kryteriów dotyczących użyteczności i dostępności, co również wpływa pośrednio na bezpieczeństwo stosowania (Prodan 2022).

Aby pogodzić potrzebę rzetelnej oceny skuteczności i bezpieczeństwa z dynamiką innowacji, proponowany jest model tymczasowej refundacji produktów DTx. Pozwoli to producentom wprowadzić produkt do systemu opieki zdrowotnej i zbierać dodatkowe dane kliniczne i ekonomiczne z rzeczywistych warunków, które uzupełniają dowody z badań kontrolowanych (Prodan 2022).

Autorzy wskazują więc na konieczność zrównoważenia rygorystycznych wymogów dla dowodów naukowych wobec DTx z praktycznymi aspektami wdrażania innowacji oraz elastyczność w adaptacji nowych modeli oceny (Prodan 2022).

Caiani 2024 i Tarricone 2022

Publikacje Caiani 2024 oraz Tarricone 2022 traktują o mobilnych aplikacjach medycznych (MMA) i tzw. *mHealth*. Warto przytoczyć tu definicję WHO dotyczącą zdrowia mobilnego, tzw. *mHealth* (ang. *mobile health*), która mówi o tym, iż jest to praktyka medyczna i zdrowia publicznego wspierana przez urządzenia mobilne, takie jak telefony komórkowe, urządzenia do monitorowania pacjentów, osobiści asystenci cyfrowi (ang. *personal digital assistant,* PDA) i inne urządzenia bezprzewodowe (Caiani 2024). Z perspektywy personelu medycznego zdaniem Caiani i in. ważnym jest, aby dane rozwiązanie z zakresu m-zdrowia posiadało pozytywną ocenę zgodności oraz potwierdzoną w badaniach skuteczność kliniczną i bezpieczeństwo stosowania. Brakuje jednak regulacji prawnych i refundacyjnych, które w stopniu satysfakcjonującym pozwoliłyby rozwiązaniom mobilnym zaadaptować się w opiece medycznej (Caiani 2024, Tarricone 2022),

Zespół Tarricone i in. 2022 wykonał wieloetapowy przegląd zarówno międzynarodowych, jak i krajowych regulacji prawnych, a także publikacji oraz stron internetowych w poszukiwaniu wytycznych

i rekomendacji w zakresie regulacji i oceny technologii medycznych stanowiących medyczne aplikacje mobilne, które na koniec zostały poddane ocenie ekspertów. Z porównania regulacji wśród kilku państw oraz na skali światowej i europejskiej można stwierdzić, jakiej jakości dowody naukowe są wymagane przez dane instytucje, aby ocena skuteczności danej technologii była satysfakcjonująca (Caiani 2024, Tarricone 2022).

Medyczne aplikacje mobilne vs. evidence

Caiani i in. zauważyli, że wymagania dotyczące jakości dowodów i rodzaju badań różnią się między krajami, które już wdrożyły refundację cyfrowych technologii medycznych do codziennej praktyki. W większości przypadków przedstawiane były dowody kliniczne, jednak niektóre były nierandomizowane lub miały małą liczebność próby. Wybór komparatora również nie zawsze był standardem opieki. Za europejskiego lidera w cyfrowych wyrobach medycznych uważane są Niemcy – spośród refundowanych aplikacji, tylko dla jednej z nich źródłem dowodów naukowych była metaanaliza, a dla pozostałych badanie RCT (Caiani 2024, Tarricone 2022).

Niemcy

Medyczne aplikacje mobilne opisuje klasa ryzyka I i IIa, a wymagania dotyczące projektu badań potwierdzających ich skuteczność kliniczną obejmują co najmniej 1 porównawcze badanie retrospektywne (prospektywne jest bardziej pożądane) przeprowadzone przynajmniej częściowo w Niemczech. Uznaje się również alternatywne badania, takie jak: PCT - pragmatyczne badania kliniczne (ang. *pragmatic clinical trial*, PCT), randomizowane badanie sekwencyjne z wielokrotnym przypisaniem (ang. *sequential multiple assignment randomized trial*, SMART) czy strategia wielofazowej optymalizacji (ang. *multiphase optimization strategy*, MOST). Jeśli mowa o danych rzeczywistych (RWE), to preferowane są te pochodzące z praktyki medycznej (Caiani 2024, Tarricone 2022).

Wielka Brytania

W Wielkiej Brytanii klasa ryzyka C opisuje cyfrowe technologie medyczne do diagnozowania lub leczenia określonego stanu zdrowia albo wspomagania lub informowania o postępowaniu klinicznym i jako takie postrzegane są mobilne aplikacje medyczne. Do oceny ich skuteczności brane są pod uwagę wysokiej jakości badania obserwacyjne lub badania quasi-eksperymentalne, jako minimum, a w ramach najlepszej praktyki powinny być to wysokiej jakości badania RCT lub metaanaliza RCT lub wysokiej jakości (*quasi-*) eksperymentalne badania interwencyjne.

Światowa Organizacja Zdrowia prezentuje hybrydowe podejście do wymaganych dowodów naukowych bez podawania szczegółów. Unia Europejska w swoich dokumentach dot. oprogramowania urządzeń medycznych wyróżnia dwie klasy ryzyka, gdzie dla tych o wysokiej klasie wymagane są prospektywne badania, a dla tych o niższej klasie ryzyka wystarczające są badania retrospektywne. Ani w USA, ani we Francji nie ma zapisów dotyczących jakości dowodów naukowych (Caiani 2024, Tarricone 2022).

Zespół Tarricone i in. w domenie dotyczącej dowodów klinicznych rekomenduje wdrażanie elastycznych projektów badawczych, dostosowanych do specyfiki technologii MMA, które umożliwiają szybkie i efektywne generowanie wyników. Modele te powinny być integrowane z adaptacyjnymi/elastycznymi mechanizmami polityki regulacyjnej, opierając się na klasie ryzyka oraz etapie cyklu życia danej mobilnej aplikacji medycznej (Caiani 2024, Tarricone 2022),.

Unsworth 2021

Przedstawione w publikacji Unsworth 2021 ramy oceny „NICE ESF" (ang. „*The NICE Evidence Standards Framework*) przedstawiają kompleksowe podejście do oceny cyfrowych technologii zdrowotnych (DHT) w kontekście systemu ochrony zdrowia Wielkiej Brytanii (Unsworth 2021).

ESF definiuje trzy poziomy dowodów skuteczności, dopasowane do ryzyka funkcji DHT:

Tier A (ang. *System impact*) – najniższy poziom wymagań dowodowych, dotyczący DHT o niskim ryzyku, które mają wpływ głównie na system opieki (np. monitorowanie zdrowia).

Tier B (ang. *Understanding and communicating*) – średni poziom wymagań, dotyczy DHT wpływających na wiedzę i komunikację pacjenta z systemem opieki.

Tier C (ang. *Interventions*) – najwyższy poziom wymagań dowodowych, dla DHT oferujących bezpośrednie interwencje terapeutyczne lub diagnostyczne o istotnym ryzyku.

W tabeli poniżej przedstawiono wymagania dowodowe w zależności od poziomu (A, B lub C) zgodnie z informacjami przedstawionymi przez autorów publikacji Unsworth 2021.

Tabela 21. Wymagania dowodowe dla cyfrowych wyrobów medycznych wg NICE ESF

Poziom dowodów	Oczekiwane typy badań klinicznych i dowodów na skuteczność
Tier A	Dane z pilotaży, raporty z wdrożeń, dane obserwacyjne
Tier B	Badania kohortowe, przed-po, quasi-eksperymentalne, mniejsze RCT lub badania pilotażowe
Tier C	Randomizowane kontrolowane badania kliniczne (RCT), wysokiej jakości badania kohortowe z grupą kontrolną, szczegółowe raporty o bezpieczeństwie

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT na podstawie publikacji Unsworth 2021

Ramy oceny „NICE ESF" uwzględniają też ryzyko dla użytkownika i wymagają, by ocena dowodów obejmowała analizę bezpieczeństwa, zwłaszcza dla DHT stosowanych przez grupy wrażliwe lub o potencjalnie wysokim ryzyku negatywnych skutków. Ponadto, ESF dopuszcza i zachęca do wykorzystania dowodów RWE (np. dane z rejestrów), zwłaszcza jako uzupełnienie lub rozszerzenie wyników z badań klinicznych. Jednak dane te nie zastępują wymaganych badań klinicznych, szczególnie na najwyższym poziomie ryzyka (Tier C).

John 2024

Celem autorów publikacji John 2024 było zidentyfikowanie i omówienie istniejących ram oceny technologii zdrowotnych (HTA) dla cyfrowych wyrobów medycznych w Indiach oraz zaproponowanie wytycznych z uwzględnieniem perspektywy lokalnego systemu opieki zdrowotnej. Źródło danych stanowiły krajowe dokumenty HTA oraz międzynarodowe wytyczne dotyczące DHT–HTA (ang. *Digital Health Technologies–Health Technology Assessment*) (m.in. z Niemiec, Wielkiej Brytanii, Finlandii, Korei, Francji). Analizą objęto wyroby medyczne (terapeutyczne i diagnostyczne), urządzenia do zdalnego monitorowania pacjenta, aplikacje mobilne, narzędzia oparte na AI/ML (ang. *Artificial Intelligence/ Machine Learning*), EHR (ang. *electronic health records*) oraz platformy telemedyczne (John 2024).

Autorzy wskazują, iż w ocenie skuteczności wyrobów medycznych rekomendowana jest obecność badań z istotnymi klinicznie punktami końcowymi i grupą porównawczą (RCT).

Z wywiadów oraz analizy danych wynika, że w ramach proponowanego indyjskiego podejścia do HTA dla DHT za wartościowe dowody uznaje się:

- Badania jednoramienne (ang. *single-arm studies*) – w szczególności wtedy, gdy RCT są niemożliwe do przeprowadzenia.
- RWD – dane zebrane z codziennej rzeczywistej praktyki, np. z elektronicznej dokumentacji medycznej, dane z aplikacji.

Ponadto, ocenę skuteczności należy oprzeć na wynikach klinicznych, lat życia skorygowanych o jego jakość (ang. *Quality-Adjusted Life Year,* QALY), dokładności i precyzji, skróceniu czasu do diagnozy i usprawnieniu procesów, akceptowalności przez użytkownika oraz danych ciągłych zbieranych na poziomie indywidualnym i populacyjnym. Podkreślono także znaczenie porównania z opieką standardową oraz potrzebę ścisłej analizy ryzyk, błędów użytkownika i zdarzeń niepożądanych w ramach oceny bezpieczeństwa (John 2024).

Huben 2021

W przeglądzie systematycznym Huben 2021 przeanalizowano 44 ramy oceny HTA dotyczące cyfrowych technologii zdrowotnych (DHT). Zidentyfikowano, że aż 68% z nich odnosi się do kwestii skuteczności klinicznej, jednak jedynie niewielka część (5%) oferuje pełne lub niemal pełne pokrycie tej domeny w sposób kompleksowy. Oznacza to, że większość analizowanych ram oceny HTA dla DHT ogranicza się do fragmentarycznej oceny skuteczności (Huben 2021).

W publikacji podkreślono, że dla wyrobów DHT wysokiej klasy ryzyka (np. zdalnego monitorowania lub terapii online stosowanych w leczeniu przewlekłych chorób) nadal złotym standardem pozostają randomizowane badania kliniczne (RCT). Pomimo wielu trudności w ich realizacji, uznano, że powinny być one prowadzone na populacji docelowej oraz w warunkach odpowiadających danemu systemowi ochrony zdrowia i muszą uwzględniać potencjalne zmiany w technologii w trakcie trwania badania (np. aktualizacje oprogramowania, poprawki błędów), stopień zaangażowania pacjenta i jego poziom kompetencji cyfrowych, a także zastosowanie technologii kontrolnej lub standardowej opieki jako grupy porównawczej (Huben 2021).

Ponadto, dla DHT mogą być rozważane również badania alternatywne, szczególnie gdy technologia jest dodatkiem do standardowej opieki zdrowotnej. W publikacji wymieniono:

- Badania przed-po (ang. *pre-post*) – oceniane krytycznie, ponieważ przy braku grupy kontrolnej nie pozwalają na wyciągnięcie wiarygodnych, uzasadnionych i mało podatnych na błędy wniosków;
- Badania *quasi*-eksperymentalne – mogą być dopuszczalne przy braku możliwości randomizacji, ale wymagają silnych uzasadnień i kontroli zmiennych zakłócających;
- Badania kohortowe z klasteryzacją (ang. *cluster trials*) – mogą być stosowane, zwłaszcza gdy ocena dotyczy całych systemów (np. przy wdrażaniu DHT w szpitalach).

Dowody obserwacyjne i dowody z rzeczywistej praktyki (RWE) – zbieranie danych z codziennego użycia DHT (np. częstotliwość użycia, czas trwania sesji) może być użytecznym uzupełnieniem dla badań RCT, szczególnie do oceny zaangażowania użytkowników lub identyfikacji różnic w skuteczności między podgrupami użytkowników.

Autorzy wskazują również, że wiele ocenianych DHT nie spełnia standardów sprawozdawczości klinicznej, a stosowane miary skuteczności są niejednorodne. W ocenie skuteczności DHT proponowane jest zatem zastosowanie miar specyficznych dla tego rodzaju wyrobów medycznych, tj.:

- intensywność użytkowania,
- zgodność z zalecanym użyciem (adherencja),
- poziom zaangażowania użytkownika (ang. *engagement*),
- ocena przydatności i satysfakcji użytkownika (ang. *user-reported outcomes*) (Huben 2021).

W zakresie bezpieczeństwa 52% ram HTA odnosi się do tej domeny, jednak większość (45%) czyni to tylko częściowo. Przegląd wykazał, że DHT wprowadzają nowe, unikalne ryzyka, różniące się od tradycyjnych wyrobów medycznych. W szczególności zwrócono uwagę na: bezpieczeństwo danych i zgodność z RODO (Rozporządzenie o Ochronie Danych Osobowych), przejrzystość ryzyk związanych z technologią, w tym dostępem do danych przez podmioty trzecie, ryzyko niepożądanych skutków technicznych (takich jak błędne alarmy, brak stabilności systemu, awarie serwera, przerwy w działaniu systemu lub aktualizacje oprogramowania bez nadzoru klinicznego) oraz brak kanałów zgłaszania zagrożeń do producenta przez użytkownika końcowego (pacjenta).

Podkreślono też, że brak bezpośredniego kontaktu z personelem medycznym w przypadku DHT do samodzielnego stosowania może zwiększać ryzyko niezauważonego pogorszenia stanu zdrowia pacjenta (Huben 2021).

Guerlich 2024

Wdrożenie nowego rozporządzenia w sprawie wyrobów medycznych (ang. *Medical Devices Regulation*, MDR) wiąże się z większym bezpieczeństwem wyrobów medycznych z perspektywy pacjenta z uwagi na wymogi regulacyjne dotyczące oceny klinicznej tych wyrobów, opartej na dowodach naukowych. Wiąże się to z pewnymi wyzwaniami dla producentów wyrobów wysokiego ryzyka, zwłaszcza tych kierowanych do grupy pediatrycznej, ponieważ schorzenia występują rzadko, docelowa grupa pacjentów jest ograniczona, populacja badawcza jest heterogeniczna - od niemowląt aż do młodzieży, a dodatkowo występują względy etyczne, obawy rodziców oraz wysokie koszty regulacyjne, które ograniczają producentom osiągnięcie zwrotu kosztów inwestycji w pediatryczne wyroby medyczne wysokiego ryzyka (Guerlich 2024).

Z systematycznego przeglądu badań Guerlich 2024 dotyczącego pediatrycznych (0-21 lat) wyrobów medycznych wysokiego ryzyka z dziedziny diabetologii (88% badań) i kardiologii (12%) wynika, że 38% nich stanowiły badania RCT, 21% badania kontrolowane *pre-test/ post-test* i 20% badania kliniczne w układzie naprzemiennym (typu *crossover*). Spośród badań kontrolowanych i *crossover* 90% była randomizowana. Zaślepienie zastosowano jedynie w 13% badań RCT. Mediana liczby uczestników badania wynosiła 59, a grupę badawczą mniejszą niż 100 osób miało 64% odnalezionych badań. Większość badań miała charakter wieloośrodkowy (64%, z czego 73% dotyczyło jednego kraju, a reszta była badaniami międzynarodowymi) i pochodziła z Ameryki Północnej (38%) lub Europy (35%). Struktura wiekowa w poszczególnych badaniach wskazuje, że najczęściej badano dzieci (2–12 lat) i młodzież (12–21 lat) – 49% badań, kolejno młodzież (33%) i tylko dzieci (14% badań). Dwa badania obejmowały razem populację niemowląt (od 29. dnia do 2 lat), dzieci i młodzieży (2%); niemowlęta i dzieci stanowiły grupę badawczą w jednym badaniu (1%), tak jak noworodki (od urodzenia do 28. dnia

życia) - również 1 badanie (1%). W większości badań oceniano skuteczność zastosowanego wyrobu medycznego (79% badań) i bezpieczeństwo (73%). Mniej niż ¼ badań obejmowała wyniki zgłaszane przez pacjenta, jak i ocenę działania danego wyrobu (23%). W wyniku przeglądu nie odnaleziono badań z obszaru ortopedii i chirurgii dziecięcej, choć były zawarte w strategii wyszukiwania. Powyższe dane stanowią systematyczne podsumowanie metodologii stosowanych w badaniach klinicznych dotyczących wyrobów medycznych wysokiego ryzyka u dzieci w różnych systemach regulacyjnych. Z uwagi na wcześniej wspomniane ograniczenia badania RCT nie zawsze mogą być wykonalne w ramach oceny wyrobów medycznych u dzieci, dlatego też badania o innej konstrukcji, zidentyfikowane w tym przeglądzie, oferują pewien kompromis między najwyższym poziomem dowodów, a ich brakiem (Guerlich 2024).

Arca 2025

Publikacja Arca 2025 porównuje podejście do oceny HTA cyfrowych terapii (DTx) w trzech krajach Niemczech, Francji i Wielkiej Brytanii, które oceniały te same wyroby: dedykowane pacjentom aplikacje na telefon: Deprexis (leczenie depresji) i Velibra (leczenie lęku) (Arca 2025).Dowody dotyczące skuteczności Deprexis były wystarczające we wszystkich trzech krajach, a w przypadku Velibra, w Niemczech. W Wielkiej Brytanii krytykowano badanie za niewystarczającą moc i ocenę trzech różnych wskazań w jednym badaniu. W Wielkiej Brytanii i Francji zażądano dodatkowych danych dotyczących skuteczności. W Wielkiej Brytanii zasugerowano generowanie dowodów w ramach istniejącego programu dotyczącego świadczeń i dostępu do opartych na dowodach terapii psychologicznych w ramach NHS (ang. *National Health Service Talking Therapies)*, a we Francji poproszono o dane z rzeczywistych badań do ponownej oceny za rok. W kwestii bezpieczeństwa nie zgłoszono poważnych zdarzeń niepożądanych, ale agencje HTA często prosiły o dodatkowe dane dotyczące bezpieczeństwa. Niemieckie i brytyjskie agencje HTA podkreśliły, że narzędzia cyfrowe, takie jak Deprexis i Velibra, powinny być używane do uzyskiwania alertów bezpieczeństwa w czasie rzeczywistym poprzez system flagowania ryzyka wbudowany w oprogramowanie. Francja koncentrowała się na ocenie zdarzeń niepożądanych związanych z technologią (Arca 2025).

Wszystkie trzy kraje wysoko cenią dane specyficzne dla danego kraju i wysokiej jakości dane dotyczące skuteczności. Dane dotyczące bezpieczeństwa wydają się być w mniejszym stopniu brane pod uwagę. W kryteriach oceny niezaspokojona potrzeba zdrowotna i społeczna wartość dodana mają znaczenie we Francji i Wielkiej Brytanii – w Niemczech nie jest to jasno określone.

Analiza wykazała, że agencje HTA koncentrują się na pozycjonowaniu produktów w kontekście specyficznej dla danego kraju charakterystyki choroby oraz wyborze komparatora na podstawie krajowej praktyki klinicznej. Ważne jest również, aby przy projektowaniu i wdrażaniu RCT, przeglądów systematycznych i metaanaliz wybierać odpowiednie populacje i komparatory. Producenci powinni angażować w te procesy kluczowych ekspertów klinicznych (Arca 2025).

W analizie ujawniono, że istnieje brak spójności w rodzaju wymaganych dowodów i kryteriów stosowanych do oceny cyfrowych terapii w Niemczech, Wielkiej Brytanii i Francji, takich jak potrzeba dowodów specyficznych dla danego kraju, włączenie systemów oznaczania ryzyka do oceny bezpieczeństwa, skupienie się na dowodach użyteczności lub użytkowania oraz wartość niezaspokojonych potrzeb zdrowotnych i danych dotyczących efektywności kosztowej. Według autorów istotne jest, aby agencje HTA i decydenci rozważyli potrzebę harmonizacji na różnych rynkach, tak aby kryteria i procesy oceny były podobne. Usprawniłoby to proces dostępu do rynku i refundacji dla twórców DTx, stymulując w ten sposób cyfryzację systemów opieki zdrowotnej, ułatwiając dostęp pacjentów i zachęcając do rozwoju wiodącego na świecie europejskiego przemysłu cyfrowych terapii (Arca 2025).

Yan 2021

Yan i in. badali, w jaki sposób krajowe agencje refundacyjne lub organizacje *non-profit* w 6 krajach (Wielka Brytania, USA, Kanada, Niemcy, Francja, Australia) odnoszą się do zgłoszeń terapii cyfrowych (DTX) i opisują ich potencjalny wpływ na ramy oceny technologii medycznych (HTA). Zidentyfikowano wytyczne HTA dla zgłoszeń DTx jedynie w Wielkiej Brytanii – zawierają one ramy standardów dowodowych dla cyfrowych technologii zdrowotnych (DHT), z różnymi poziomami analiz ekonomicznych w zależności od wpływu organizacyjnego, zaangażowania finansowego i ryzyka ekonomicznego. Analizy ekonomiczne są podzielone na trzy kategorie: podstawowe, niskie i wysokie zaangażowanie finansowe. Wszystkie poziomy wymagają analizy wpływu na budżet. Dla DHT o wysokim zaangażowaniu finansowym zaleca się analizę kosztów użyteczności, a dla DHT o niskim zaangażowaniu finansowym – analizę kosztów konsekwencji. Na bazie dotychczasowych (aktualne na rok 2021) cyfrowych technologii zdrowotnych (np. w leczeniu uzależnienia od opioidów) dokumenty

amerykańskiego Instytutu Analiz Klinicznych i Ekonomicznych (ang. *Institute for Clinical and Economic Review,* ICER) wskazują na potrzebę aktualizacji tradycyjnych metod HTA o technologiczne i społeczno-ekonomiczne czynniki związane z używaniem nowych technologii (Yan 2021).

Mezei 2023

W publikacji Mezei 2023 analizowano międzynarodowe praktyki dotyczące oceny technologii zdrowotnych (HTA) oraz publicznego finansowania cyfrowych technologii zdrowotnych (DHT) na przykładzie pięciu krajów Unii Europejskiej. Na tej podstawie sformułowano również rekomendacje dla Węgier w zakresie wsparcia wdrażania opartych na dowodach cyfrowych technologii zdrowotnych.

Pomimo określonych warunków, czy też standardów wykonania oceny cyfrowych technologii medycznych, jedynie w Niemczech i Wielkiej Brytanii określono jakość dowodów naukowych, które uznane są za wystarczające do potwierdzenia skuteczności i bezpieczeństwa danego rozwiązania. Wskazano jednak, iż złożoność całego procesu i brak jednolitych definicji cyfrowych rozwiązań medycznych stanowi wyzwanie dla producentów, by sprostać oczekiwaniom co do przedłożenia najwyższej jakości dowodów (Mazei 2023).

Belgia

Struktura oceny DHT opisana jest przez belgijską trzypoziomową piramidę walidacji – *mHealthBelgium*. Ocena obejmuje mobilne aplikacje, które posiadają oznaczenie CE jako wyroby medyczne. Kryteria oceny obejmują odpowiednio:

- na poziomie M1: złożoną deklarację CE, zgodność z europejskim ogólnym rozporządzeniem o ochronie danych, dobrowolne powiadomienie Federalnej Agencji Leków i Produktów Leczniczych (ang. *Federal Agency for Medicines and Health Products, FAMHP*);
- M2: ocenę współdziałania i łączności z platformą e-zdrowia (narodowa platforma *eHealth Platform*) w zakresie bezpieczeństwa, uwierzytelniania, identyfikacji, powiązania pacjenta z terapią, świadomej zgody, stosowania lokalnych serwisów z zakresu e-zdrowia;
- M3: potwierdzenie klinicznych i socjoekonomicznych wartości rozwiązania

Finlandia

Strukturę oceny DTH opisuje dokument Digi-HTA (ang. *health technology assessment framework for digital healthcare services*), który obejmuje rozwiązania z zakresu *m-Health*, sztucznej inteligencji (AI) i robotyki. Kryteria oceny bazują na domenach ocenianych w standardowym procesie HTA i są następujące:

1) informacje o produkcie,

2) stabilność techniczna,

3) koszty,

4) efektywność,

5) bezpieczeństwo kliniczne,

6) bezpieczeństwo i ochrona danych,

7) użyteczność i dostępność,

8) współdziałanie,

9) względy pacjenckie i organizacyjne.

Dowody konieczne do oceny przedstawiane są zwykle przez twórcę danej technologii, jak i poparte danymi literaturowymi i opiniami eksperckimi. Wynikiem oceny Digi-HTA jest rekomendacja ważna przez 3 lata. Brakuje jednak formalnego, opracowanego decyzyjnego procesu refundacyjnego w tym kraju (Mazei 20223).

Francja

We Francji zidentyfikowano model przyspieszonej ścieżki oceny cyfrowych wyrobów medycznych (DMD) oparty o niemiecki mechanizm DiGA. Według tego schematu oceniane mogą być rozwiązania z zakresu telemonitoringu i telemedycyny, które są oznakowane CE (fr. *Conformité Européenne*, zgodność europejska), dedykowane do indywidualnego użycia i na które został złożony wniosek

o refundację. Kryteria oceny bazują na oznakowaniu CE, dostarczeniu odpowiednich dowodów klinicznych (korzyść kliniczna, kliniczne wartości dodane), zapewnienie współdziałania danych i spełnienie wymagań dotyczących standardów bezpieczeństwa. Taka przyspieszona procedura oceny DMD pozwala wnioskodawcom zyskać rok na ubieganie się o normalną ścieżkę refundacji (Mazei 20223).

Niemcy

W Niemczech opracowano najbardziej rozwinięty model oceny DHT umocniony prawnie przez *Digitale-Versorgung-Gesetz*. Za cyfrowe technologie zdrowotne (DiGA) wysokiej jakości uznaje się aplikacje mobilne lub platformy internetowe, oznakowane CE, będące wyrobami medycznymi klasy ryzyka I lub IIa, które mają cel terapeutyczny i dedykowane są pacjentom, a nie medykom.

Stałe włączenie do katalogu refundowanych technologii dotyczy DiGA, do których dołączono wystarczające dowody naukowe na pozytywny wpływ na opiekę zdrowotną Wstępne przyjęcie danej technologii do katalogu refundowanych DiGA może zostać dokonane nawet wtedy, gdy pozytywny wpływ DiGA na opiekę zdrowotną nie został jeszcze ustalony. Wnioskodawca ma wówczas 12 miesięcy na przedłożenie odpowiednich dowodów (Mazei 2023).

Kryteria oceny dotyczą dwóch głównych obszarów – ogólnych wymagań (bezpieczeństwo danych, funkcjonalność, jakość, bezpieczeństwo pacjenta, współdziałanie) i pozytywnego wpływu na opiekę zdrowotną (korzyść medyczna, istotne dla pacjenta ulepszenie procesów). Kluczowym w zakresie badań potwierdzających pozytywny efekt danej technologii na opiekę zdrowotną jest przeprowadzone w Niemczech badanie porównawcze, które wykaże wyższość stosowania danego DiGA nad brakiem jego stosowania. Złotym standardem są randomizowane kontrolowane badania kliniczne, jak również akceptowane są pragmatyczne badania kliniczne (PCT), randomizowane badanie sekwencyjne z wielokrotnym przypisaniem (SMART*),* czy wielofazowa strategia optymalizacji (MOST), będące jednocześnie retrospektywnym badaniem porównawczym (Mazei 2023).

Wielka Brytania

Brytyjski instytut NICE, jako pierwsza organizacja HTA na świecie, opublikował standardy oceny DHT. Ich klasyfikację oparto o potencjalne ryzyko dla użytkowników usług i systemów. W zależności od klasy DTH NICE wskazuje na rodzaj dowodów naukowych, które są uwzględniane jako źródło dowodów klinicznych: dla klas A i B są to: badania RWE, badania obserwacyjne, opinie ekspertów , badania mające na celu syntezę dowodów klinicznych, a dla klasy C: badania dokładności diagnostycznej, badania zgodności, badania interwencyjne, badania retrospektywne, badania prospektywne, akceptowalne są także badania jakościowe dotyczące doświadczeń pacjentów lub pracowników medycznych (Mazei 2023).

Brytyjskie kryteria oceny technologii cyfrowych dotyczą 5 obszarów: czynników projektowych (np. zgodność z normami jakości i bezpieczeństwa, wiarygodność danych), opisywanych wartości (np. określenie populacji docelowej, procesu działania, porównanie kosztów i efektów zdrowotnych z obecnymi rozwiązaniami), wykazania skuteczności (konieczne dowody z praktyki klinicznej i plan monitorowania działania danej technologii), dostarczania wartości (analiza wpływu na budżet i opłacalność), oraz wdrożenia (wymagania wdrożeniowe, instrukcja dla pacjentów) (Mazei 2023).

Węgry – rekomendacje

Na Węgrzech metodologie HTA zostały wprowadzone głównie w celu wspierania decyzji refundacyjnych dotyczących leków. Obecne przepisy i wytyczne nie uwzględniają DHT, jednak ich ocena nie jest formalnie zabroniona – jest możliwa, jeśli spełniają ogólne wymogi prawne i HTA. W odpowiedzi na pandemię COVID-19 wprowadzono refundację niektórych usług telemedycznych i tymczasowe przepisy prawne zostały później utrwalone. Decyzje refundacyjne nie opierają się jednak na certyfikacji ani ocenie HTA. Z uwagi na brak finansowania DHT ze środków publicznych na Węgrzech, twórcy technologii skupiają się na modelach prywatnych, co ogranicza dostępność DHT w publicznym systemie opieki zdrowotnej, a producenci często kierują swoje produkty najpierw na rynki zagraniczne (Mazei 2023).

W oparciu o europejską perspektywę i obecną sytuacją na Węgrzech grupa robocza wypracowała następujące rekomendacje w zakresie wsparcia wdrażania opartych na dowodach naukowych cyfrowych technologii zdrowotnych. Jak podkreślają autorzy, rekomendacje te powinny być rozważone przez inne kraje o podobnym statusie ekonomicznym i zarządzaniu opieką zdrowotną:

Zrozumienie potrzeb decydentów - zidentyfikowanie potrzeb decydentów z zakresu ochrony zdrowia w obszarze DHT oraz barier w ich wykorzystaniu.

Stworzenie krajowych ram oceny DHT – na bazie zharmonizowanych ram na poziomie UE lub, w przypadku ich braku, we współpracy z instytucjami krajowymi, bazując na doświadczeniach krajów przodujących w zakresie rozwoju oceny DHT.

Wspieranie europejskiej harmonizacji - zaangażowanie w działania europejskie na rzecz wspólnych kryteriów oceny DHT i dostosowanie krajowych ram oceny DHT do wypracowanego konsensusu.

Priorytetyzacja obszarów zdrowia publicznego - wskazanie obszarów, gdzie DHT mogą przynieść największe korzyści społeczne i ekonomiczne, uproszczenie oceny technologii o równoważnej skuteczności.

Ocena zgodności przed HTA - rozważenie wprowadzenia obowiązku posiadania certyfikatu CE jako warunku wstępnego przed oceną technologii medycznej (HTA).

Wykazanie wartości dodanej – wymaganie opisanych korzyści dla użytkownika końcowego, innowacyjności i przewagi DHT nad standardową opieką – zarówno pod względem skuteczności, jak i oszczędności kosztów.

Publiczny katalog certyfikowanych rozwiązań - utworzenie ogólnodostępnego rejestru bezpiecznych, certyfikowanych rozwiązań cyfrowych, wspierającego alternatywne modele finansowania (np. płatności prywatne, ubezpieczenia) (Mazei 2023).

Sieć laboratoriów innowacji, tzw. „*Living Labs*" - stworzenie sieci laboratoriów testowych, które umożliwią rozwój, testowanie i walidację DHT w rzeczywistych warunkach, z udziałem różnych interesariuszy (Mazei 2023).

Pearson 2023

Autorzy publikacji Pearson 2023 przedstawiają model koncepcyjny i związaną z nim metodę oceny klinicznej i ekonomicznej cyfrowych technologii zdrowotnych/ medycznych (DHT) opracowany przez amerykański ICER oraz Instytut Technologii Medycznych Peterson'a (ang. *Peaterson Health Technology Institute*, PHTI). Ramy tej oceny mają na celu m.in. ustanowienie standardów dowodowych prowadzących do generowania solidnych dowodów na temat danego wyrobu.

Poziom dowodów, który jest wymagany do oceny bilansu korzyści w stosunku do ryzyka ocenianej DHT jest według autorów zależny od funkcji, jaką spełnia dane rozwiązanie. Opracowano więc trzy kategorie funkcjonalne (Tabela 22.) opisujące DHT i sklasyfikowano je dodatkowo w oparciu o potencjalne ryzyko dla pacjentów, które może wynikać z rutynowego stosowania danego wyrobu. W Tabela 23. opisano czynniki, które pomagają określić stopień ryzyka w ramach każdego poziomu oraz odpowiadające im „minimalne" i „maksymalne" wymagania dowodowe dla danego poziomu (Pearson2023).

Tabela 22. Charakterystyka poziomów dowodów dotyczących oceny bezpieczeństwa i skuteczności DHT

Kategoria funkcjonalna	Poziom dowodów	Potencjalne ryzyko dla pacjentów	Funkcje	Przykłady
Samodzielne zarządzanie zdrowiem	**Poziom 1**	Niskie	Spersonalizowane informacje zdrowotne do użytku przez użytkownika końcowego, nieprzeznaczone do rozważenia przez profesjonalistę.	Mobilne aplikacje zdrowotne, spersonalizowane informacje zdrowotne do użytku domowego, elektroniczne dzienniki danych, urządzenia (*smart*) do użytku osobistego
Profesjonalnie ukierunkowane zarządzanie diagnostyczne i prognostyczne zdrowiem	**Poziom 2**	Umiarkowane do wysokiego	Diagnozowanie konkretnego stanu klinicznego lub kierowanie decyzjami diagnostycznymi lub zarządzanie poprzez diagnozę lub prognozę. Użycie DHT jest kierowane przez profesjonalistę medycznego lub dostarcza informacji, które byłyby wykorzystywane w konsultacji z profesjonalistą medycznym.	DHT z aktywnym monitorowaniem, które automatycznie rejestrują dane i przesyłają je bezpośrednio do profesjonalisty opieki zdrowotnej w celu podejmowania decyzji klinicznych (np. czujnik noszony na ciele), lub monitorowanie potencjalnie poważnych stanów.
Profesjonalnie ukierunkowane zarządzanie	**Poziom 3a**	Niskie do umiarkowanego	Zarządzanie profilaktyczne zachowaniem zdrowotnym z udziałem profesjonalisty.	Zalecane technologie zmiany zachowania (np. rzucenie palenia, utrata masy ciała, bezsenność).

Kategoria funkcjonalna	Poziom dowodów	Potencjalne ryzyko dla pacjentów	Funkcje	Przykłady
profilaktyczne i terapeutyczne zdrowiem,	**Poziom 3b**	Umiarkowane do wysokiego	Terapeutyczne. Bezpośrednio dostarczane leczenie lub działanie dodatkowe do innych interwencji w przypadku zdiagnozowanego stanu klinicznego	Mobilne aplikacje dostarczające interwencję terapeutyczną (np. terapia poznawczo-behawioralna); DHT kierujące leczeniem lub interwencjami medycznymi (np. urządzenia wykrywające okresy bezdechu podczas snu i alarmy budzące osobę). Oprogramowanie tworzące obrazy rekonstrukcji 3D i określające lokalizację.

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT na podstawie publikacji Pearson 2023.

Tabela 23. Wymagania dowodowe zapewniające minimalną i najlepszą jakość w zakresie oceny bezpieczeństwa i skuteczności dla każdego poziomu dowodów DHT

Poziom dowodów	Czynniki określające stopień ryzyka i rodzaj wymaganych dowodów	Wymagania dotyczące dowodów – minimalna jakość	Wymagania dotyczące dowodów – najlepsza jakość
Poziom 1	Nie dotyczy	DHT zapewnia ważne, dokładne i aktualne informacje	Dane empiryczne od użytkowników dotyczące postrzeganej zmiany zachowania lub poprawy zdrowia - zwykle badanie typu *pre-test/ post-test* przeprowadzone wśród użytkowników.
Poziom 2	Najlepsze dowody wymagane, jeśli: DHT jest rozwiązaniem innowacyjnym w swojej klasie (‘*first in class*’) Brak podobnych platform Poważne konsekwencje w przypadku wykorzystania niedokładnych informacji	Wstępna walidacja: dokładność i precyzja DHT względem ugruntowanego referencyjnego rozwiązania alternatywnego (najlepiej dobrany komparator, tzw. złoty standard); możliwość wykrycia istotnych klinicznie różnic.	RCT wykazujące poprawę wyników leczenia pacjentów za pomocą stosowanego DHT. Jeśli pomiar wyników pacjenta nie jest możliwy (np. długi czas trwania choroby), wówczas dopuszczalne są badania oceniające zmiany w diagnozie klinicznej oraz zachowaniu klinicysty.
Poziom 3a	Najlepsze dowody wymagane, jeśli: DHT jest rozwiązaniem innowacyjnym w swojej klasie (‘*first in class*’) Brak podobnych platform Poważne konsekwencje w przypadku wykorzystania niedokładnych informacji	Wysokiej jakości badanie obserwacyjne lub *quasi*-eksperymentalne z odpowiednim komparatorem i istotnymi wynikami pacjentów. Wyniki mogą obejmować dane raportowane przez pacjentów, zaangażowanie w system opieki zdrowotnej lub dane kliniczne.	RCT wykazujące skuteczność kliniczną. Badanie może być przeprowadzone na wybranej populacji. Dopuszczalne są zastępcze punkty końcowe (surogaty) i krótkoterminowa obserwacja.
Poziom 3b		RCT wykazujące skuteczność kliniczną. Badanie może być przeprowadzone na wybranej populacji. Dopuszczalne są zastępcze punkty końcowe (surogaty) i krótkoterminowa obserwacja.	Dodatkowe RCT wykazujące skuteczność kliniczną i możliwość uogólnienia wyników na populację pacjentów oraz systemy zdrowotne będące przedmiotem zainteresowania. Wykazanie trwałości efektu leczenia do wcześniej ustalonego punktu czasowego na podstawie opinii ekspertów. Uwzględnienie wyników ukierunkowanych na pacjenta. Porównanie z najlepszym lub najczęściej stosowanym aktywnym komparatorem.

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT na podstawie publikacji Pearson 2023.

Autorzy wskazują, że minimalne wymagania dowodowe, odpowiadające mniejszemu względnemu ryzyku dla użytkownika końcowego w danej kategorii, powinny być postrzegane jako minimum dowodów potrzebnych do oceny skuteczności klinicznej DHT. Standardy te dobrano w taki sposób, by były wykonalne dla producentów, chociaż w większości przypadków będą reprezentować wyższy poziom dowodów, niż normy obecne do tej pory na amerykańskim rynku DHT. Pearson i in. zwracają również uwagę na pewną rozbieżność pomiędzy chęcią uzyskania jak najlepszych dowodów, a kosztami

i wykonalnością ich wygenerowania po stronie producentów. Dlatego też proponowane standardy dla dowodów o najwyższej jakości mają na celu zachowanie odpowiedniej równowagi i ustanowienie rozsądnego poziomu dla DHT, które mogą potencjalnie zaszkodzić użytkownikom końcowym.

Main 2023

W ramach przeglądu analizowano wyniki badania przeprowadzonego wśród przedstawicieli grup interesariuszy z trzech krajów (Stany Zjednoczone Ameryki, Wielka Brytania i Niemcy). Celem badania było wypracowanie ram wartości (ang. *value framework*) dla cyfrowych wyrobów medycznych wykorzystywanych przez świadczeniodawców w leczeniu chorób przewlekłych.

W publikacji nie określono szczegółowo jakie konkretnie typy badań czy dane byłyby wymagane do oceny skuteczności i bezpieczeństwa elektronicznych wyrobów medycznych (np. randomizowane badania kontrolowane, badanie kohortowe, dane obserwacyjne, metaanalizy itp.). Wskazano natomiast, iż jednym z kluczowych wskaźników wartości jest użycie danych z rzeczywistej praktyki klinicznej (RWD) i ich analiz (ang. Real-World Insights, RWI) do generowania rzeczywistych dowodów klinicznych (Main 2023).

Neugebauer 2017

Na podstawie przeglądu systematycznego literatury i w oparciu o dyskusję członków panelu ekspertów metodologicznych ECRIN (ang. *European Clinical Research Infrastructure Network*) autorzy Neugebauer i in. wyróżnili 5 kluczowych wyzwań w prowadzeniu badań RCT z zastosowaniem wyrobów medycznych, są to m.in. czas oceny, akceptowalność, zaślepienie, wybór grupy porównawczej (komparatora) i krzywa uczenia się (Neugebauer 2017).

- Czas oceny klinicznej wyrobów medycznych

Istotny z perspektywy wyrobów medycznych jest fakt, iż ulegają one szybkim zmianom technologicznym, co może prowadzić do tego, że wyniki trwającego zwykle 2–3 lata badania RCT mogą być nieaktualne w momencie ich publikacji. Rozwiązaniem byłby: krótsze badania RCT, prowadzone przez wyspecjalizowane jednostki z doświadczeniem w badaniach wyrobów medycznych, przewidzenie zmian technologicznych wyrobu na etapie planowania badania (klasyfikowanie ich jako istotne lub nieistotne), uzupełnienie badania RCT danymi z równolegle prowadzonymi rejestrami pacjentów (zwłaszcza w zakresie długoterminowej oceny skuteczności i bezpieczeństwa), uwzględnienie doświadczenia personelu (zbyt wczesne badania mogą dawać zafałszowane wyniki z uwagi na brak doświadczenia personelu medycznego, dlatego zalecane są dwie fazy badania – faza nauki i faza po jej zakończeniu; z kolei zbyt późne mogą być nieefektywne z uwagi na powszechność stosowania danego wyrobu i nie przestrzeganie protokołu badania przez badaczy), konieczność przeprowadzenia szeroko zakrojonych badań przedklinicznych przed zastosowaniem określonych wyrobów wszczepialnych u pacjentów (Neugebauer 2017).

- Akceptowalność badań klinicznych z zastosowaniem wyrobów medycznych

Problemy z randomizacją, prowadzące do utraty wiarygodnych wyników, czy też niewystarczającej liczby uczestników badania, wynikają z tego, iż pacjenci i lekarze wolą wybrać odpowiednie leczenie i odmawiają randomizacji. Również preferencje chirurgów, co do dotychczas stosowanej przez siebie techniki chirurgicznej zniechęcają ich do randomizacji. Potencjalnym rozwiązaniem może być przeprowadzenie badania RCT opartego o wiedzę specjalistyczną, gdzie pacjenci są przypisywani np. do doświadczonego chirurga (Neugebauer 2017).

- Zaślepienie

Zaślepienie w badaniach z wyrobami medycznymi jest trudniejsze niż w badaniach nad lekami z przyczyn etycznych i praktycznych, jednak można zastosować w nich metodę zaślepienia całkowitego, częściowego lub ograniczyć się do zaślepienia jedynie oceny wyników. W przypadku braku możliwości zaślepienia personelu medycznego, należy zapewnić niezależny zespół oceniający wyniki danego badania, a także zarządzających danymi, komitety monitorujące bezpieczeństwo, statystyków i osoby formułujące wnioski. Jeśli w badaniu nie zastosowano zaślepienia, należy to uzasadnić i omówić ograniczenia w publikacji wyników (Neugebauer 2017).

- Wybór komparatora

Komparatorem w badaniach klinicznych powinna być terapia zgodna z istniejącymi standardami opieki medycznej i najlepszymi dostępnymi dowodami. Może się również zdarzyć, że istnieje więcej niż jedna alternatywna metoda leczenia lub stosowane są różne opcje w zależności od grupy pacjentów

i wówczas badacz powinien uargumentować swój wybór. Wyzwania, z jakimi należy się liczyć w zakresie wyboru komparatora, dotyczą sytuacji, gdy technika alternatywna do badanej jest inwazyjna lub powszechnie znana, co może mieć jednocześnie wpływ na problemy z randomizacją pacjentów – brak chęci udziału w badaniu. Nieetyczne jest również stosowanie inwazyjnych procedur pozorowanych (ang. *shame procedures*), gdzie pacjenci z grupy kontrolnej narażani są na ryzyko bez żadnych oczekiwanych korzyści (Neugebauer 2017).

- Krzywa uczenia się

Skuteczność technologii medycznych zależy od doświadczenia personelu medycznego. Ocena nowej technologii może być zniekształcona z uwagi na możliwe gorsze wyniki osiągnięte przez mniej doświadczonego operatora (większe ryzyko powikłań i błędów). Krzywa uczenia się powinna być brana pod uwagę zwłaszcza przy ocenie technik chirurgicznych lub interwencyjnych. Dlatego też przed rozpoczęciem badania należy określić wymagania dotyczące kompetencji personelu, jak i użytkowników, zapewnić szkolenia i monitorować proces uczenia się. W takim przypadku, w celu zwiększenia wiarygodności wyników, zaleca się prowadzenie badań, w których pacjenci są przypisywani do doświadczonych specjalistów (Neugebauer 2017).

Kluczowym wnioskiem płynącym z powyższego opracowania jest fakt, iż badania RCT przy zastosowaniu wyrobów medycznych powinny być realizowane do oceny skuteczności zawsze wtedy, gdy jest to możliwe (Neugebauer 2017).

Tarricone 2020

W publikacji Tarricone 2020 dokonano przeglądu obejmującego kontekst regulacyjny i oceny HTA w Europie, w odniesieniu do cyklu życia wyrobów medycznych wysokiego ryzyka i generowania dowodów klinicznych zalecanych przez organizacje międzynarodowe lub zatwierdzonych przez agencje regulacyjne i HTA w różnych jurysdykcjach/ porządkach prawnych (Tarricone 2020).

Eksperci wskazują na 4 etapy istotne dla tworzenia dowodów klinicznych:

- przedkliniczny, przed wprowadzeniem na rynek;
- kliniczny, przed wprowadzeniem na rynek;
- użytkowania, po wprowadzeniu na rynek;
- faza wymiany, po wprowadzeniu na rynek.

Randomizowane badania kontrolowane (RCT) są uważane za najwyższy poziom dowodów, ale mogą być trudne do przeprowadzenia dla MD z powodu specyficznych cech technologii. Opcją alternatywną dla RCT mogą być dowody z rzeczywistego świata (np. rejestry) i metody bayesowskie. Metody te są szczególnie przydatne w sytuacjach, gdy liczba badanych jest mała, chociaż istnieje ryzyko włączenia błędnych informacji pochodzących z danych nierandomizowanych.

Zespół ekspercki powołany na potrzeby niniejszej analizy pracował m.in. nad zagadnieniem odpowiedniego poziomu (rodzaj, ilość, jakość) i czasu wygenerowania dowodów klinicznych, który jest wystarczający, aby zaspokoić potrzeby organów oceniających i płatników w całym cyklu życia implantowanych wyrobów medycznych wysokiego ryzyka (Tarricone 2020).

Rodzaj i poziom dowodów w zależności od etapu cyklu życia urządzenia przedstawia tabela poniżej.

Tabela 24. Charakterystyka dowodów naukowych w zależności od etapu cyklu życia wyrobu medycznego wysokiego ryzyka

Etap cyklu życia wyrobu medycznego	Dowody naukowe
przed wprowadzeniem na rynek	
Faza przedkliniczna	• testy toksykologiczne, • testy biokompatybilności, • testy *in silico* (z wykorzystaniem modelowania komputerowego do informowania o projekcie produktu i przewidywania jego działania), • wczesne HTA (wczesne modelowanie potencjalnej skuteczności klinicznej i kosztowej).
Faza kliniczna	• Badania eksploracyjne: ○ badania typu *first in-human* (wyrób pierwszy raz podawany ludziom) . • Wczesne badania wykonalności:

Etap cyklu życia wyrobu medycznego	Dowody naukowe
	○ do oceny bezpieczeństwa i skuteczności albo wydajności klinicznej, ○ mała liczba kolejno leczonych pacjentów, ○ jedno lub wieloośrodkowe badanie jednoramienne (krzywa uczenia się, bezpieczeństwo, wydajność). • Porównawcze badanie skuteczności: ○ badania RCT – jeśli możliwe (pragmatyczne podejście, adaptacyjny projekt badania; dobrze zdefiniowane i zwalidowane punkty końcowe dla skuteczności i krótkoterminowego bezpieczeństwa), ○ jeśli RCT nie jest możliwe, to analiza porównawcza z grupą kontrolną na bazie danych historycznych, dobrze zaprojektowanych rejestrów pacjentów, elektronicznej dokumentacji medycznej).
po wprowadzeniu na rynek	
Faza użytkowania	Dane pochodzące z rejestrów lub innych badań obserwacyjnych muszą zawierać: • dane organizacyjne, dane dotyczące pacjentów, urządzeń, operatorów, • kluczowe zmienne towarzyszące, wyniki kliniczne i wyniki zgłaszane przez pacjentów na początku i po zakończeniu leczenia, • dane wszystkich innych urządzeń tego samego typu stosowanych w rutynowej praktyce, aby pomóc decydentom w ocenie, • współdziałające rozwiązania, które łączą uzupełniające się rejestry i źródła danych (np. elektroniczne rejestry zdrowia) mogące zmniejszyć ich złożoność i koszty.
Faza starzenia się/ dezaktualizacji i wymiany urządzenia	• Długoterminowe rejestry pacjentów i elektroniczna dokumentacja medyczna • Badania obserwacyjne oparte o elektroniczną dokumentację medyczną

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT na podstawie publikacji Tarricone 2020.

Według autorów pacjenci, płatnicy, producenci i agencje HTA powinni być zaangażowani we wszystkie fazy rozwoju wyrobu medycznego, aby zapewnić obiecującym urządzeniom medycznym płynne przejście pomiędzy kolejnymi etapami. Nowe regulacje UE oferują możliwość wprowadzenia bardziej zintegrowanego podejścia do podejmowania decyzji i generowania dowodów dla urządzeń medycznych (Tarricone 2020).

10.3.4. Wyniki wyszukiwania uzupełniającego

Guerlich 2023

Od pewnego czasu w Europie zauważalny jest niedobór niektórych pediatrycznych wyrobów medycznych wysokiego ryzyka (sieroce wyroby medyczne, kardiologia dziecięca), za którego przyczynę producenci wskazują wdrożenie MDR. Związane jest to ze zwiększonymi wymaganiami regulacyjnymi, którym nie są w stanie sprostać producenci wyrobów medycznych (ang. medical device, MD). Opracowanie przez Guerlich i in. rekomendacji w tym zakresie miało na celu zapewnić balans pomiędzy skutecznością kliniczną, bezpieczeństwem, innowacją oraz dostępnością, by wyjść naprzeciw potrzebom młodych pacjentów (Guerlich 2023).

Bariery w ocenie MD

Za bariery we wdrażaniu na rynek wyrobów medycznych wysokiego ryzyka w Europie zwłaszcza w zakresie chorób sierocych i dzieci, wskazywane są, poza regulacjami prawnymi, nieduża populacja docelowa, a co za tym idzie mniejsza korzyść finansowa dla producentów, trudność z dostarczaniem wyników z badań klinicznych (z uwagi na niewielka liczbę pacjentów), brak zaangażowania pediatrycznych ekspertów w proces oceny przez większość jednostek notyfikowanych, długi czas oczekiwania na uzyskanie certyfikatu (od 18 do 24 miesięcy; z powodu ograniczonej liczby i zdolności jednostek notyfikowanych) oraz bardzo wysokie koszty oceny wyrobu medycznego z uwagi na przekazanie oceny zgodności w UE prywatnym przedsiębiorstwom. W efekcie koszty przeprowadzenia oceny wyrobu medycznego na rynku europejskim przewyższają kilkukrotnie koszty uzyskania oceny tego samego wyrobu przez amerykańskie FDA (Guerlich 2023).

Rekomendacje autorów publikacji Guerlich 2023 dot. badań klinicznych pediatrycznych wyrobów medycznych wysokiego ryzyka są następujące:

- Brak możliwości zastosowania ogólnego, wspólnego podejścia do badań klinicznych wszystkich wyrobów medycznych przeznaczonych do stosowania u dzieci.

- Wymagany poziom/ jakość dowodów naukowych zależy od: konkretnego pytania badawczego, rodzaju wyrobu, identyfikacji potencjalnych zagrożeń i oczekiwanego ryzyka związanego z jego stosowaniem, charakteru schorzeń, które leczone mają być za pomocą wyrobu, częstości występowania danego schorzenia oraz przewidywanej docelowej grupy wiekowej.
- Podejście do badań klinicznych wyrobów medycznych u dzieci powinno uwzględniać:
  - Badania RCT, jako złoty standard oceny korzyści terapeutycznych interwencji medycznych, powinny być przeprowadzane zawsze, gdy jest to możliwe;
  - Z uwagi na ograniczenia etyczne lub praktyczne badania RCT nie są możliwe do przeprowadzenia w większości przypadków pediatrycznych wyrobów medycznych, dlatego należy rozważyć inne rodzaje badań do oceny skuteczności i bezpieczeństwa tych wyrobów. Należy dążyć do osiągnięcia najwyższego możliwego poziomu dowodów klinicznych, sklasyfikowanych jako:
    1. Badania RCT (najwyższy poziom dowodów naukowych);
    2. Prospektywne porównawcze badanie z jednoczesną kontrolą (eksperymentalne lub obserwacyjne);
    3. Badanie porównawcze bez jednoczesnej kontroli (np. z kontrolą historyczną);
    4. Prospektywne serie przypadków z dokumentacją wyników *post-test* albo *pre- test/ post- test* (Guerlich 2023).
- Mieszane badanie populacyjne (z udziałem dorosłych i dzieci) daje możliwość optymalizacji wielkości próby i najlepszego wykorzystania zasobów w przypadku wspólnego wskazania do stosowania wyrobu oraz powinno zawierać analizy w podgrupach wiekowych.
- Ekstrapolacja danych uzyskanych z badań u dorosłych może być rozważana w przypadku wyrobów o takim samym zastosowaniu u dzieci, jeśli leczone schorzenie jest takie samo i jeśli nie ma wskazań o innej skuteczności i bezpieczeństwa danego wyrobu medycznego u dzieci.
- Na potrzeby nadzoru po wprowadzeniu do obrotu europejskie rejestry pacjentów powinny być tworzone i nadzorowane przez kompetentne stowarzyszenia pediatryczne, które systematycznie gromadzą istotne dane na temat pacjentów pediatrycznych leczonych wyrobami medycznymi będącymi przedmiotem zainteresowania (Guerlich 2023).

Buccheri 2025

Celem pracy Buccheri i in. był przegląd metodologii badań klinicznych i wypracowanie optymalnego projektu badań dla wyrobów medycznych wysokiego ryzyka. Przeglądu dokonała grupa projektowa CORE-MED prowadzona przez *European Society of Cardiology* i *European Federation of National Associations of Orthopaedics and Traumatology* na podstawie dwóch badań klinicznych RECOVERY (ocena leków przeciwko COVID-19) oraz TASTE (ocena wyrobu medycznego dla pacjentów z ostrym zawałem mięśnia sercowego). Członkowie tego konsorcjum są pionierami w zakresie projektowania i prowadzenia „dużych prostych badań RCT" (ang. *large simple RCT*). Założeniem koncepcyjnym takiego badania jest jego maksymalne uproszczenie – powinno być ono również w stanie zapewnić wyniki, które można szeroko uogólnić na rzeczywistą praktykę kliniczną. Uproszczenia RCT można dokonać, ustanawiając łatwiejsze procesy zbierania informacji poprzez krótkie karty obserwacji pacjenta, łączenie danych klinicznych z danymi pozyskiwanymi rutynowo w ramach świadczenia opieki zdrowotnej (np. krajowe bazy danych), uproszczenie procesu uzyskiwania świadomej zgody pacjenta na udział w badaniu tuż przed planowaną procedurą związaną z badanym wyrobem (ustna zgoda przed wykonaniem interwencji z wykorzystaniem badanego wyrobu, uproszczony formularz informacji dla pacjenta), proste kryteria włączenia i wyłączenia łatwe do oceny przez klinicystę (na podstawie danych zbieranych rutynowo w rejestrach), minimalną ilość danych dotyczącą oceny podstawowej (tzw. *baseline*) jak również danych wynikowych do zebrania przez personel lub brak żadnych dodatkowych aktywności (wszystkie niezbędne informacje zawarte w systemach, rejestrach opieki zdrowotnej), brak monitorowania i weryfikacji danych lub centralizacja tego procesu (niezależna ocena

wyników skorelowana z danymi z systemu opieki zdrowotnej), obserwację długoterminową przeprowadzoną na podstawie danych z rejestrów świadczeń opieki zdrowotnej (Buccheri 2025).

Głównymi barierami w obszarze wykorzystania i powiązania danych z systemów opieki zdrowotnej w badaniach RCT są wg autorów Buccheri 2025:

- brak zgody na powiązanie danych klinicznych z danymi z systemu opieki zdrowotnej,
- brak specjalistycznej wiedzy w zespołach klinicznych w zakresie inżynierii danych,
- wyzwania związane z zarządzaniem informacjami (m.in. niechęć do udostępniania identyfikatorów pacjentów ośrodkowi koordynującemu lub sponsorowi badania w celu powiązania z krajowymi rejestrami danych),
- obawy ze strony płatnika i organów regulujących opiekę zdrowotną w zakresie kompletności i dokładności wyników,
- brak krajowych rejestrów danych dotyczących opieki zdrowotnej zestawionych przez organizacje z mechanizmami umożliwiającymi powiązanie danych (Buccheri 2025).

Dodatkowo w planowaniu tego typu badań należy mieć na uwadze inne ograniczenia i sposoby ich rozwiązania, wspominane już we wcześniejszej publikacji (Neugebauer 2017) (np. kwestia zaślepienia, krzywej uczenia się, akceptacji randomizacji, kosztów prowadzenia badań).

Melvin 2024

Sieroce wyroby medyczne w przeciwieństwie do sierocych produktów leczniczych w UE nie mają swojej formalnej/ prawnej definicji, jednak wytyczne grupy *Medical Device Coordination Group* opisują je jako: wyroby medyczne mające na celu w szczególności przyniesienie korzyści pacjentom w leczeniu, diagnozowaniu lub zapobieganiu chorobie lub stanowi, który występuje u nie więcej niż u 12 000 osób w UE rocznie. Melvin i in. wskazują, że w praktyce klinicznej zwłaszcza w kardiologii dziecięcej często stosowane są wyroby medyczne we wskazaniu pozarejestracyjnym, tzw. *off-label.* W świetle aktualnego rozporządzenia MDR i krótkiej w nim wzmianki o stosowaniu wyrobów poza wskazaniem zarejestrowanym już po wprowadzeniu do obrotu, producenci są zobowiązani do „identyfikacji potencjalnego systematycznego nieprawidłowego używania wyrobu lub używania go poza przewidzianym zastosowaniem z myślą o weryfikacji, czy przewidziane zastosowanie jest poprawne" (MDR, zał. XIV, cz. B, 6.1 e). Zaostrzone regulacje prawne i wymogi dotyczące rejestracji wyrobów medycznych w UE spowodowały, że rynek pediatrycznych wyrobów medycznych, zwłaszcza tych sierocych, zmniejsza się zarówno w trybie stosowania *on-label*, jak i *off-label.*

W zakresie pediatrycznych wyrobów sierocych (ang. *orphan pediatric devices,* OPD) europejska grupa robocza ds. sierocych wyrobów medycznych kładzie większy nacisk na rejestry urządzeń medycznych i gromadzenie danych klinicznych. Z uwagi na brak scentralizowanych procesów regulacyjnych i nadzoru sierocych pediatrycznych wyrobów medycznych Melvin i in. wskazują na istotną rolę ekspertów pediatrycznych, którzy mogliby doradzać Komisji Europejskiej lub Europejskiej Agencji Leków (ang. *The European Medicines Agency*, EMA) w sprawach dotyczących statusu sierocego dla wyrobów wysokiego ryzyka, wymagań dotyczących dowodów klinicznych dla konkretnych OPD, czy też oceniać raporty z oceny klinicznej. Zaleca się, aby taki panel ekspertów opracował wymagania dotyczące dowodów klinicznych, aby były one jasno określone przed oceną regulacyjną. Dodatkowo cały proces regulacyjny usprawniłoby utworzenie specjalnych ścieżek oceny dla tego typu wyrobów. Autorzy zwracają również uwagę na wysokie koszty oceny zgodności ponoszone przez producentów, które często są zaporowe i zniechęcają do wprowadzenia danego wyrobu na rynek (wyroby sieroce skierowane są do niewielkiej grupy docelowej) (Melvin 2024).

Hulstaert 2023

Ograniczenia, luki i najważniejsze wnioski płynące z analizy rynku innowacyjnych wyrobów medycznych wysokiego ryzyka, a właściwie ich oceny przed i po wejściu na rynek przedstawił zespół Hulstaert'a. Tak jak w branży farmaceutycznej standardem w rozwoju nowych produktów jest prowadzenie badań RCT, celem wykazania klinicznych korzyści i bezpieczeństwa, jak również dobór odpowiedniego komparatora i punktów końcowych danego badania, tak w branży wyrobów medycznych, badania RCT nie są standardowym podejściem w aspekcie ich klinicznej oceny. Rozporządzenie MDR wymaga badań klinicznych dla implantowanych wyrobów (za wyjątkiem: szwów, zszywek, wypełnień dentystycznych, aparatów ortodontycznych, koron zębów, śrub, klinów, płytek, drutów, klamr lub łączników), jednak nie zawsze muszą to być badania RCT, ani nie muszą oceniać korzyści klinicznej w porównaniu

do innego rozwiązania. Brakuje szczegółowych wymogów dotyczących projektu, rodzaju czy czasu trwania takich badań. Przed wejściem na rynek UE producenci muszą uzyskać na swoje wyroby medyczne oznakowanie CE (zgodność z odpowiednimi wymogami prawnymi) oraz pozytywną ocenę zgodności (oceniana i certyfikowana przez jednostki notyfikowane, wyznaczane przez rząd danego państwa członkowskiego). W odróżnieniu do regulacji amerykańskich, wykazanie skuteczności wyrobu medycznego wysokiego ryzyka nie jest wymagane w Europie, a jedynie spełnienie ogólnych wymagań w odniesieniu do bezpieczeństwa i korzyści z normalnego użytkowania oraz wykazania akceptowalnego stosunku korzyści do ryzyka. W Stanach Zjednoczonych Ameryki efektywność innowacyjnych wyrobów medycznych wysokiego ryzyka musi być potwierdzona np. badaniem RCT z grupą porównawczą (odpowiedni komparator lub procedura pozorna) (Hulstaert 2023).

W rozporządzeniu MDR jest zapis zezwalający na wykorzystanie danych klinicznych pochodzących z przeglądu literatury na temat bezpieczeństwa i działania innego wyrobu do zatwierdzenia nowego wyrobu, jeśli uznany zostanie on za równoważny. Równoważność uwzględnia w tym przypadku cechy techniczne, biologiczne i kliniczne (MDR, zał. XIV, cz. A pkt.3). Dodatkowo MDR wprowadziło wymóg wykazania korzyści klinicznych obok skuteczności klinicznej, gdzie korzyść oznacza tu pozytywny wpływ na zdrowie osoby, wyrażony poprzez istotne, wymierne, znaczące dla pacjenta wyniki kliniczne, w tym wyniki odnoszące się do diagnozy lub korzystnego wpływu na opiekę nad pacjentem lub na zdrowie publiczne (MDR, art. 2 (53)). Ocena kliniczna musi uwzględniać jeszcze inne dostępne alternatywne metody leczenia, jednak prawnie nie są wymagane dowody porównawcze (MDR, art.61.3c). Ocena kliniczna w aspekcie dyrektywy MDR rozumiana jest jako ocena wszystkich danych klinicznych z dowolnego odpowiedniego źródła, w tym literatury na temat podobnych wyrobów (MDR, art. 2.44), dlatego też może nie zawierać żadnych wyników z badań klinicznych porównawczych lub innych, dotyczących rzeczywistego ocenianego wyrobu (Hulstaert 2023).

Na podstawie analizy belgijskiego rynku innowacyjnych wyrobów medycznych, przeglądu literatury i analizy istotnych prawnie i etycznie ram oceny na tle europejskim Hulstaert i in. ocenili, że istnieje ogromny brak przejrzystości w zakresie klinicznych dowodów naukowych dla wyrobów medycznych w Europie. Dane wskazują, że badania są niskiej jakości (brak jasno sprecyzowanych punktów końcowych, zbyt krótki czas trwania obserwacji w badaniu, brak danych dot. jakości życia pacjentów) i w dużej mierze opierają się na dowodach istniejących już rozwiązań/ innych wyrobów medycznych. Badania RCT są niezbędne do oceny porównawczej i dodanej wartości terapeutycznej danego wyrobu, w celu opracowania rekomendacji refundacyjnych na szczeblu krajowym, dlatego też autorzy rekomendują, by badania RCT były przeprowadzone tak wcześnie, jak to tylko możliwe (najlepiej jeszcze przed wejściem na rynek) i by zwiększono ich jakość. Dodatkowo należy opracować i wdrożyć proaktywne i wieloaspektowe działania w zakresie nadzoru po wprowadzeniu do obrotu, a rejestry pacjentów wykorzystać do prowadzenia bardziej wydajnych badań celem oceny porównawczej skuteczności (Hulstaert 2023).

Boers 2025

W publikacji Boers 2025 opisano m.in. wyniki ankiety rozesłanej do 32 organizacji HTA z 18 państw członkowskich UE, z czego uzyskano odpowiedzi od 9 z nich (Niemcy – 2 organizacje, Francja, Austria, Dania, Portugalia, Finlandia, Szwecja, Norwegia i Belgia). W okresie lipiec 2023–kwiecień 2025, spośród ankietowanych tylko Belgia, Niemcy i Francja refundowały cyfrowe wyroby medyczne (DMD) w swoich krajach, a Włochy, Finlandia i Austria były w trakcie opracowywania swoich regulacji HTA w tym zakresie. Osobne ramy oceny DMD posiadają jedynie Niemcy, Belgia i Francja, choć nie dotyczą wszystkich cyfrowych rozwiązań (jedynie dwa rodzaje: rozwiązania telemonitoringu i aplikacje terapeutyczne). Trzy z 9 analizowanych państw określiły badania RCT jako wymagane (Niemcy, Portugalia, Szwecja), hipotezę wyższości (*superiority*) jako obowiązkową wskazały tylko Niemcy, hipotezę *non inferiority* jako akceptowalną wskazały Niemcy, Francja, Portugalia oraz Finlandia, badania jednoramienne oraz alternatywne innowacyjne projekty badań akceptowalne są przez Niemcy, Francję, Portugalię i Finlandię (Boers 2025).

Martelli 2017

Martelli i in. opisali stan obecny oraz możliwe ulepszenie planu szpitalnej oceny technologii medycznych (ang. *hospital-based health technology assessment*, hb-HTA) wyrobów medycznych we Francji. Celem wykonania szpitalnej oceny HTA jest wsparcie w podejmowaniu decyzji dotyczących tego, czy nowe produkty opieki zdrowotnej powinny być dostępne w strukturach szpitalnych. Szpital może zdecydować się na zakup nowej technologii albo wycofanie inwestycji w technologie uznane za przestarzałe (Martelli 2017).

Analiza aktualnej sytuacji szpitalnego HTA w różnych placówkach we Francji, przegląd literatury i doświadczenia własne ekspertów pozwoliły wypracować rekomendacje, których implementacja pomogłaby promować rozwój szpitalnej oceny technologii medycznych w tym kraju. Autorzy publikacji Martelli 2017 proponują, aby:

- rozpowszechniać kulturę szpitalnej oceny technologii medycznych (szpitalne HTA) poprzez komunikowanie tego podejścia wśród decydentów szpitalnych,
- dostosować szpitalne HTA do potrzeb decydentów, uwzględniając plan budżetowy i strategiczne cele szpitala,
- ujednolicić dokumentację wymaganą od producentów leków pomiędzy placówkami ochrony zdrowia, opartą o kluczowe wspólne wymagane minimum,
- wspierać udostępnianie danych szpitalnej oceny HTA pod warunkiem oddzielenia danych od raportu HTA o zatwierdzenia metodologii przeglądu literatury i gromadzenia danych,
- stworzyć złożony wskaźnik brany pod uwagę przy określaniu dystrybucji funduszy TRRIM (ang. *teaching, research, reference and innovation*) (odzwierciedlający zaangażowanie w HTA i udostępnianie danych HTA),
- wykorzystać ośrodki wiodące do bezpośredniego przekazywania informacji z poziomu lokalnego na poziom krajowy (Martelli 2017).

W założeniu autorów publikacji proces w szpitalu uruchamiany jest przez medyka zwykle po zapoznaniu się z nowym produktem (prezentacja przedsiębiorcy), po czym następuje identyfikacja i syntetyczna analiza istniejących danych dot. danego produktu (informacje od producenta) i ich ocena, czego wynikiem jest raport szpitalnej oceny HTA. Na tym etapie powinno następować już dzielenie się danymi HTA oraz późniejsza wymiana danych dotycząca obserwacji wpływu danego wyrobu medycznego w placówce opieki zdrowotnej. Autorzy podkreślają, że dalszy rozwój tego podejścia będzie wymagał jeszcze optymalizacji transferu informacji wewnątrz i pomiędzy poziomami (lokalny-lokalny, lokalny- krajowy), a także ujednolicenia praktyk, sposobu wdrożenia, czy metodologii oceny (Martelli 2017).

10.3.5. Regulacje zagranicznych instytucji rządowych i agencji HTA w zakresie oceny klinicznej wyrobów medycznych

W ramach przeglądu systematycznego zidentyfikowano informacje dotyczące metod oceny wyrobów medycznych w wybranych krajach. Aby uzupełnić i pogłębić te dane przeprowadzono wyszukiwanie na stronach agencji HTA oraz instytucji rządowych. Celem było zebranie bardziej szczegółowych i aktualnych informacji na temat praktyk oceny wyrobów medycznych w poszczególnych systemach ochrony zdrowia – w tym kryteriów oceny, stosowanych metodologii oraz specyficznych rozwiązań – które mogą nie być w pełni odzwierciedlone w literaturze naukowej. Odnaleziono i poddano analizie dokumenty pochodzące z Francji, Niemiec, Wielkiej Brytanii, Kanady i Australii.

Francja

Decyzje refundacyjne dotyczące wyrobów medycznych we Francji opierają się na rekomendacji Komitetu ds. Oceny Wyrobów Medycznych i Technologii Medycznych (ang. *National Committee for the Evaluation of Medical Devices and Health Technologies*, CNEDiMTS), który pełni rolę doradczą w zakresie zasadności refundacji wyrobu, zmiany warunków włączenia, określenia warunków stosowania, czy jego roli w strategii terapeutycznej, diagnostycznej lub kompensowania niepełnosprawności. CNEDiMTS przeprowadza ocenę kliniczną po uzyskaniu przez wyrób medyczny oznakowania CE. Ocena ta stanowi więc uzupełnienie oceny niezbędnej do pozyskania oznakowania CE. CNEDiMTS ocenia skuteczność i bezpieczeństwo zastosowania wyrobu medycznego, a także rzeczywistą korzyść kliniczną, tj. korzyść dla pacjenta i zdrowia publicznego ze stosowania wyrobu oraz kliniczną wartość dodaną, wyrażoną poprzez rolę i znaczenie ocenianego wyrobu medycznego wśród dostępnych opcji leczenia we francuskim systemie ochrony zdrowia (HAS 2019, HAS 2021b).

Ocena kliniczna przeprowadzana jest na podstawie rozstrzygających badań klinicznych (ang. *conclusive clinical studies*). Opinie wydawane przez CNEDiMTS uwzględniają aspekty dowodowe i kliniczne na podstawie dostępnych danych, pochodzących głównie z badań klinicznych. Pomimo traktowania badań klinicznych z randomizacją jako złotego standardu dowodów naukowych, potwierdzających skuteczność technologii medycznych, przeprowadzenie badań RCT może być

utrudnione w przypadku wyrobów medycznych, ze względu na m.in. szybkie tempo rozwoju czy niewielką populację docelową. W związku z tym, według HAS, ocena powinna być oparta o dowody o solidnej metodologii, uwzględniającej również kontekst dostosowany do ocenianej technologii (HAS 2019, HAS 2021b).

Francuska Agencja HTA, tj. *Haute Autorité de Santé*, w 2021 roku opublikowała dokument stanowiący przewodnik skierowany do producentów, struktur badawczych, firm CRO (ang. *Contract Research Organizations*), kierowników projektów i pracowników ochrony zdrowia zaangażowanych w rozwój kliniczny wyrobu medycznego, planujących złożenie wniosku o rejestrację i refundację wyrobu medycznego do CNEDiMTS. Ma on na celu zapewnienie praktycznych punktów odnoszących się do aspektów metodologicznych w celu optymalizacji poziomu dowodów badań i zwiększenia wiarygodności ich wyników (HAS 2019, HAS 2021b).

Studium wykonalności

Ocena kliniczna skuteczności nowego wyrobu medycznego, jest przeprowadzana po fazie przedklinicznej i studiach wykonalności (ang. *feasibility studies*). Studia wykonalności są proponowane bezpośrednio po fazie przedklinicznej. Pomagają one dopracować technikę i określić odpowiednie punkty końcowe odnoszące się do skuteczności. W większości przypadków najbardziej odpowiednim jest prospektywne badanie nieporównawcze. Przed zaplanowaniem badań obejmujących dużą liczbę pacjentów, kierownik projektu lub producent musi zweryfikować, czy nowy wyrób medyczny jest obiecujący pod względem skuteczności. Pierwszy krok obejmuje zatem wybór punktu końcowego w oparciu o dane z literatury lub poparte opinią ekspertów oraz określenie prawdopodobieństwa skuteczności i nieskuteczności. Te prawdopodobieństwa umożliwią zdefiniowanie zasad zatrzymania lub kontynuowania badania, przy jednoczesnym uwzględnieniu jak najmniejszej liczby pacjentów.

Studia wykonalności są przydatne do:

- Określenia populacji pacjentów, którzy odniosą korzyści z zastosowania nowego wyrobu medycznego – wyjaśnienie klinicznych postaci choroby lub stanu oraz charakterystyka pacjentów, którzy mogą odnieść korzyści z zastosowania wyrobu medycznego.
- Dopracowania techniki – w przypadku wszczepialnych wyrobów medycznych należy dopracować technikę implantacji, opisując poszczególne etapy procedur chirurgicznych, a także wymagane zaplecze techniczne i personel. Można to zrobić tylko w kontekście badania klinicznego. Chociaż technika implantacji może być nadal ulepszana po tym etapie, nie powinno to powodować opóźnień w przeprowadzeniu badania w celu wykazania korzyści klinicznych.
- Określenia skuteczności – studium wykonalności jest warunkiem wstępnym do skonstruowania hipotezy do przetestowania i oszacowania wielkości próby w badaniu porównawczym. Na tym etapie rozwoju, określenie pierwszorzędowego punktu końcowego jest niezbędne, ponieważ to właśnie ten punkt końcowy umożliwi pomiar skuteczności wyrobu medycznego. Punkt końcowy musi być klinicznie istotny z punktu widzenia choroby/stanu i zamierzonego działania, np. zmniejszenie śmiertelności lub klinicznie mierzalnych powikłań. Jeśli stosowany jest pośredni lub zastępczy punkt końcowy, musi on zostać zwalidowany.
- Zidentyfikowania powikłań i zagrożeń – w przypadku wyrobów medycznych mogą być zgłaszane dwa rodzaje zdarzeń niepożądanych: bezpośrednio związanych z wyrobem oraz związanych z implantacją lub techniką chirurgiczną niezbędną do zastosowania wyrobu. Innym celem studiów wykonalności jest ocena głównych powikłań, które będą dokumentowane na każdym etapie, w celu określenia stosunku korzyści do ryzyka (HAS 2019, HAS 2021b).

Wybór rodzaju badania klinicznego

Wybór planu oceny klinicznej zależy od kontekstu swoistego dla wyrobu medycznego: działania zamierzonego przez zastosowanie wyrobu medycznego, dostępności opcji alternatywnych, wielkości populacji docelowej itp. Czynniki te należy wziąć pod uwagę przy wyborze rodzaju badania, które ma zostać wdrożone. Uzasadnienie decyzji powinno być poparte wyraźnym uzasadnieniem naukowym.

W przypadku każdego badania jakość zebranych lub wykorzystanych danych jest jednym z podstawowych warunków wstępnych, aby jego wyniki mogły zostać uwzględnione przez CNEDiMTS w ocenach wyrobów medycznych.

Niezależnie od rodzaju wybranego badania, zasada przejrzystości polegająca na systematycznym upublicznianiu wszystkich informacji na temat badań klinicznych, przy jednoczesnym zapewnieniu ochrony danych osobowych, musi być zawsze przestrzegana.

Jest to szczególnie ważne w przypadku oceny wyrobów innowacyjnych, które mogą przynieść rzeczywiste korzyści pacjentom, ponieważ w ich ocenie często konieczne jest zachowanie ciągłości między danymi eksperymentalnymi a danymi ze świata rzeczywistego.

Wybór metodologii innej niż RCT musi być zawsze wyjaśniony i uzasadniony przez producenta (sytuacje takie jak współistniejące zmiany, specjalne populacje, dla których można dokonać ekstrapolacji skuteczności na podstawie danych obserwacyjnych itp.) (HAS 2019, HAS 2021b).

Jeśli nie można przeprowadzić badania RCT, możliwe do wdrożenia badania kliniczne (w zależności od czynników charakteryzujących wyrób medyczny) to:

1. Charakterystyka wyrobu medycznego:
   - znacznie i szybko rozwijająca się technologia:
     - badanie z randomizacją adaptacyjną,
     - metody bayesowskie,
     - projekt badania z funkcją śledzenia (ang. *tracker trial design*),
   - mała populacja docelowa:
     - metody bayesowskie,
     - badania typu *cross-over*, w przypadku chorób stabilnych i powtarzalności punktu końcowego,
     - badania eksperymentalne z pojedynczym przypadkiem (ang. *single case experimental design*, SCED),
     - badania sekwencyjne,
   - potencjalnie ciężkie zdarzenia niepożądane:
     - badania sekwencyjne,
2. Akceptowalność medyczna:
   - biegłość w technice zastosowania wyrobu wpływa na wynik/ techniki zastosowania wyrobu różnią się:
     - randomizowane badania kontrolowane oparte na wiedzy specjalistycznej (ang. *expertise-based randomised controlled trials*, EbRCTs),
     - randomizowane badania z zastosowaniem klasteryzacji (w niektórych okolicznościach),
3. Akceptowalność dla pacjenta:
   - komparator jest techniką inwazyjną lub technika ta jest powszechnie stosowana:
     - projekt Zelena (randomizowane badanie z uzyskaniem zgody po randomizacji),
     - badania oparte na preferencjach pacjenta lub porównawcze badania obserwacyjne (jeśli randomizacja jest niemożliwa).

Ponadto HAS, w dokumencie dotyczącym zasad oceny określonych przez CNEDiMTS, wskazuje, że badanie musi być odpowiednio dostosowane do wyjaśnień wnioskodawcy. W przypadku badania, w którym ustalono hipotezę *non-inferiority* nowego wyrobu medycznego w porównaniu do referencyjnego wyrobu medycznego, który został już oceniony przez CNEDiMTS, Komitet ocenia również metodologię dostarczonych badań, w szczególności uwzględniając wybór progu dla hipotezy *non-inferiority* oraz jego uzasadnienie (HAS 2019, HAS 2021b).

Oczekiwania CNEDiMTS w zakresie dowodów naukowych, mogą się różnić w zależności od:

- kategorii wyrobu medycznego: preferowana jest ocena kliniczna produktów, skoncentrowana na potrzebach osoby z niepełnosprawnością, jej stylu życia, czy środowisku. W przypadku pewnej kategorii wyrobów, tj. środki przeciwodleżynowe, protezy stóp ESAR (ang. *energy storing and return*), wystarczająca może być jednak ocena techniczna, z zastrzeżeniem zgodności z normami,

- cyklu życia wyrobu medycznego, który może być krótszy niż cykl badań klinicznych. W przypadku każdego wyrobu konieczne jest, w miarę możliwości, przewidywanie przyrostowej ewolucji w planie rozwoju klinicznego. Jest to kluczowy element uwzględniania danych klinicznych dla nowych zakresów (nowych modeli),
- ograniczonej rekrutacji do badania klinicznego: Komitet nalega, aby w takich przypadkach przeprowadzać międzynarodowe badania wieloośrodkowe. We wszystkich przypadkach pozytywna opinia może być wydana jedynie na podstawie oczekiwanych korzyści dla pacjenta, gdy ryzyko związane z zastosowaniem wyrobów medycznych jest wystarczająco scharakteryzowane i ograniczone w odniesieniu do typu wyrobów (HAS 2019, HAS 2021b).

Niemcy

W Niemczech, zgodnie z dokumentem dotyczącym ogólnych zasad ocen przeprowadzanych przez IQWiG (niem. *Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen*), nielekowe interwencje terapeutyczne oceniane są w ramach raportów, raportów skróconych (ang. *rapid reports*) lub w formie raportów *ThemenCheck*, tj. raportów przygotowywanych przez zewnętrznych ekspertów przy wykorzystaniu metod IQWiG, a następnie uzupełnianych przez IQWiG i komentarz wydawcy (IQWiG 2023).

Ponadto nowe metody badań i leczenia, które opierają się na zastosowaniu wyrobu medycznego wysokiego ryzyka, mogą być również oceniane w ramach oceny zgodnie z § 137h SGB V. Ponieważ oceny §137h opierają się głównie na przedłożonych dokumentach (a nie na wyszukiwaniu informacji przeprowadzonym przez sam IQWiG) i muszą być sporządzone w znacznie krótszym czasie, metodologiczny zakres prac nad oceną i pewność potencjalnego wniosku dotyczącego korzyści lub ryzyka jest z reguły niższa niż w przypadku raportów i szybkich raportów. Oceny §137h nie rozróżniają rodzajów wniosków, tj. dowód, wskazanie, sugestia. Jednakże wymogi dotyczące korzyści są tożsame w przypadku raportów, szybkich raportów oraz ocen zgodnie z §137h SGB V i zasadniczo wymagają dostępności wyników badań RCT, w szczególności istotnych dla pacjenta. Pomimo różnic we wstępnym dostępie do rynku leków i nielekowych interwencji terapeutycznych, nie powinno się stosować różnych standardów dotyczących pewności wyników w ocenie korzyści i ryzyka, wynikających z zastosowania interwencji. Kodeks postępowania G-BA (niem. *Gemeinsamer Bundesausschuss*) przewiduje, w miarę możliwości, preferencyjne uwzględnianie badań RCT, niezależnie od rodzaju (lekowej czy nielekowej) ocenianej interwencji medycznej (IQWiG 2023).

Zasady medycyny opartej na dowodach i oceny korzyści są zatem również ważne dla określonych dziedzin medycyny, tj. chirurgia, stomatologia, psychoterapia, medycyna alternatywna/uzupełniająca lub cyfrowe aplikacje zdrowotne (e-zdrowie).

W przypadku wyrobów medycznych, w ramach oceny zgodności, RCT nie jest przedstawiane jako projekt badania z wyboru zgodnie z obowiązującym rozporządzeniem UE w sprawie wyrobów medycznych (MDR). Jednakże badania kliniczne muszą być „przeprowadzane na podstawie odpowiedniego planu badania", tak aby randomizowane kontrolowane projekty były coraz częściej stosowane w tym obszarze. W przeciwieństwie do europejskiej procedury oceny zgodności nowych wyrobów medycznych, oceny IQWiG zawsze odnoszą się do metod badania i leczenia, a nie do poszczególnych wyrobów medycznych.

Badania nad interwencjami nielekowymi często wiążą się ze szczególnymi wyzwaniami i trudnościami. Zaślepienie personelu medycznego jest często niemożliwe, a także zaślepienie pacjentów również jest utrudnione/ niemożliwe. Zmniejszenie wartości informacyjnej badania można jednak złagodzić poprzez zaślepione rejestrowanie lub wykorzystanie obiektywnych wyników. Umiejętności i zdolności użytkowników interwencji są często niezbędne do zidentyfikowania korzyści z interwencji nielekowej w badaniu. Niemniej jednak standardy jakości mają zastosowanie również w tych badaniach, w szczególności w odniesieniu do środków podjętych w celu zapewnienia równości strukturalnej. Jednak takie badania charakteryzują się niższą pewnością wyników, a co za tym idzie stanowią jedynie wskazówkę na temat (dodatkowych) korzyści lub szkód wynikających z zastosowania interwencji (IQWiG 2023).

W dokumencie wskazano również na obowiązek uzasadnienia dotyczącego przedstawienia dowodów naukowych o niższej wiarygodności, w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa wyrobu medycznego: „Jednakże, w celu ochrony pacjentów, uznanie korzyści medycznej metody na podstawie dokumentów o niższych poziomach dowodów wymaga tym większego uzasadnienia, im większe jest odstępstwo od poziomu dowodów 1 (w każdym przypadku należy również rozważyć medyczną konieczność

zastosowania ocenianej metody/wyrobu). W tym celu należy w szczególności rozważyć potencjalne korzyści dla pacjentów wynikające z zastosowania danej metody/wyrobu w stosunku do ryzyka związanego z wykazaniem jej skuteczności, w oparciu o badania o niższej wiarygodności". Oznacza to, że sam brak dostępności badań o najwyższym poziomie dowodów, nie może być postrzegany jako wystarczające uzasadnienie dla oceny korzyści opartej na badaniach o niższych poziomach dowodów (IQWiG 2023).

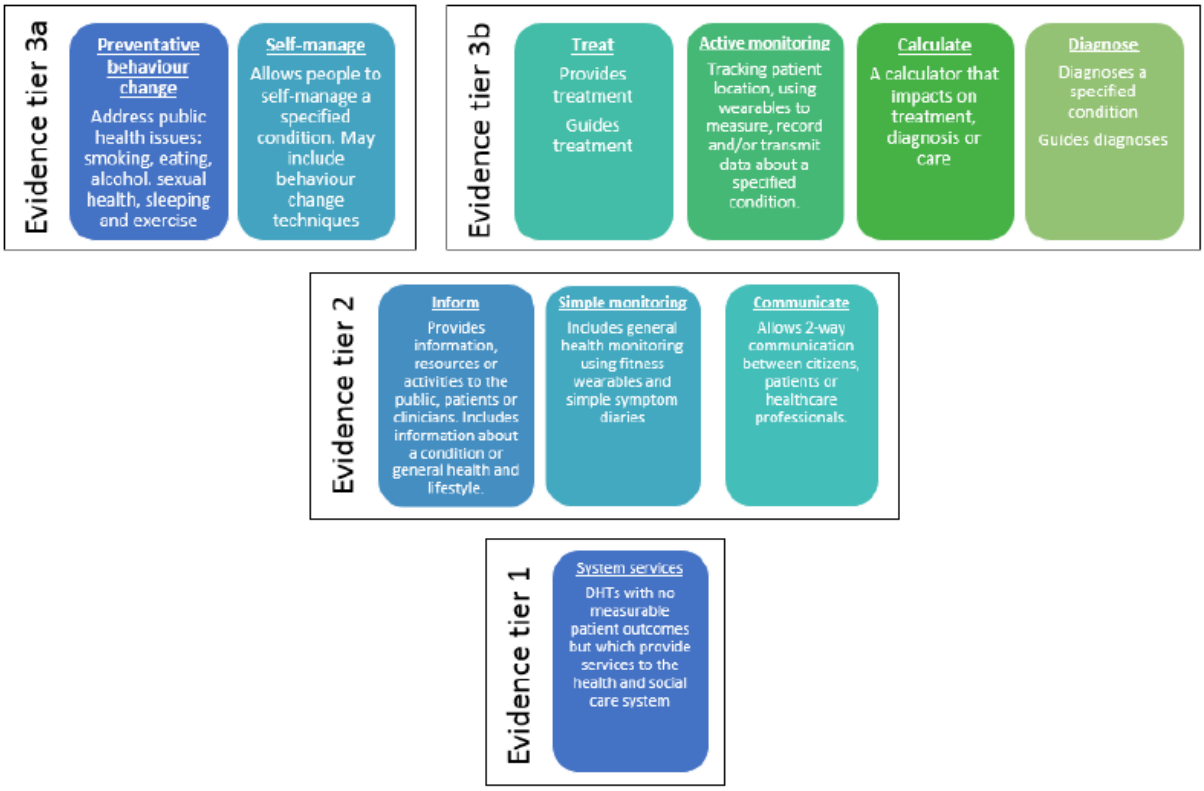
Wielka Brytania – cyfrowe technologie medyczne

Brytyjska Agencja HTA, tj. NICE (ang. *National Institute for Health and Care Excellence*) opublikowała standardy w zakresie dowodów dla cyfrowych technologii medycznych (ang. *digital health technologies*, DHT). Dokument opisuje standardy dowodów, które powinny wykazać ich wartość dla zastosowania w brytyjskim systemie opieki zdrowotnej, zarówno w zakresie skuteczności, jak i wpływu ekonomicznego (NICE 2018).

Rodzaje oczekiwanych dowodów są zależne od przypisanych poziomów cyfrowych technologii medycznych. Jednocześnie wskazano, iż cyfrowa technologia medyczna musi spełnić wszystkie standardy określone na niższych poziomach wraz ze standardami określonymi dla poziomu, do którego przypisana jest oceniana technologia. Klasyfikacja cyfrowych technologii medycznych jest uzależniona od ich funkcji, co umożliwia ich stratyfikację na poziomy dowodów w oparciu o potencjalne ryzyko dla użytkowników. Jakość dowodów wymagana dla każdego poziomu jest proporcjonalna do potencjalnego ryzyka dla użytkowników w wyniku stosowania cyfrowej technologii medycznej (NICE 2018).

Klasyfikacja cyfrowych technologii medycznych

Rysunek 13. Klasyfikacja cyfrowych technologii medycznych w zależności od funkcji oraz poziomu dowodów



Źródło: NICE 2018.

Klasyfikacja cyfrowych technologii medycznych (DHTs) wg funkcjonalności:

- Poziom 1. DHTs, które mają wpływ na korzyści systemowe:

  - obsługa systemu – technologie, które mają wpływ na poprawę funkcjonowania systemu, jednak nie mają bezpośredniego wpływu na korzyści dla poszczególnych pacjentów, np. elektroniczne systemy wystawiania recept, platformy elektronicznej dokumentacji medycznej, systemy zarządzania oddziałami.
- Poziom 2. DHTs edukujące o zdrowym stylu życia i chorobach:
  - informacje – technologie, które dostarczają informacji i zasobów pacjentom lub społeczeństwu. Mogą zawierać informacje na temat konkretnych schorzeń lub zdrowego trybu życia, jednak mało prawdopodobnym jest, aby wpływały na stan zdrowia pacjenta w sposób możliwy do zmierzenia, np. cyfrowe technologie medyczne zawierające opisy chorób i sposoby leczenia, aplikacje z poradami dotyczącymi zdrowego stylu życia,
  - proste monitorowanie – technologie, które umożliwiają użytkownikom rejestrowanie parametrów zdrowotnych, które nie są udostępniane/ przesyłane innym podmiotom/ jednostkom itd., np. aplikacje śledzące stan zdrowia z urządzeń fitness, dzienniki objawów/ nastroju,
  - komunikacja/ przekazywanie informacji – technologie, które umożliwiają komunikację pomiędzy użytkownikami, a specjalistami/ opiekunami/ organizacjami, np. aplikacje obsługujące wiadomości (platformy komunikacji) dla ochrony zdrowia czy opieki społecznej.
- Poziom 3a. DHTs wykorzystywane do zapobiegania i zarządzania chorobami:
  - profilaktyczna zmiana zachowań – technologie zaprojektowane w celu zmiany zachowań zdrowotnych pacjentów, przepisywane przez specjalistę, np. technologie cyfrowe związane z zaprzestaniem palenia tytoniu, programy odchudzania, wspomaganie dobrych nawyków związanych ze snem,
  - samokontrola – technologie pomocne w zarządzaniu chorobą przez pacjentów m.in. zawierające funkcje śledzenia objawów, które opcjonalnie informują pracownika ochrony zdrowia, w celu poprawy zarządzania chorobą.
- Poziom 3b. DHTs o wymiernych korzyściach dla pacjenta, w tym narzędzia stosowane w leczeniu i diagnostyce, wpływające na zarządzanie postępowaniem terapeutycznym (m.in. aktywne monitorowanie). DHT na tym poziomie mogą kwalifikować się jako wyroby medyczne:
  - leczenie – technologie umożliwiające leczenie lub kierujące decyzjami dotyczącymi leczenia, np. aplikacje skierowane do pracowników ochrony zdrowia, które stanowią poradnictwo w zakresie leczenia,
  - aktywne monitorowanie – technologie, które automatycznie rejestrują informacje, a następnie przekazują je do pracowników ochrony zdrowia/ opiekuna/ organizacji, w celu informowania o decyzjach dotyczących zarządzania chorobami,
  - obliczenia – narzędzia wykonujące obliczenia, które mogą mieć wpływ na decyzje dotyczące opieki, np. technologie wykorzystywane do obliczania parametrów związanych z opieką nad pacjentem, tj. systemy wczesnego ostrzegania,
  - diagnostyka – technologie wykorzystujące dane w celu zdiagnozowania stanu pacjenta/ podjęcia decyzji diagnostycznej przez pracownika ochrony zdrowia.(NICE 2018)

Standardy jakości dowodów dla cyfrowych technologii medycznych

Tabela 25. Dowody skuteczności w zależności od poziomu cyfrowej technologii medycznej

Kategoria dowodu	Cel	Minimalny standard dowodów	Oczekiwany standard dowodów
Poziom 1. DHTs			
Wiarygodność wśród brytyjskich pracowników ochrony zdrowia i opieki społecznej	Standard ma na celu wykazanie, że DHT ma wiarygodny sposób działania i odzwierciedla obecne standardowe/ najlepsze praktyki w brytyjskim systemie opieki zdrowotnej i społecznej lub stanowi alternatywę dla standardowych/ najlepszych praktyk, która jest korzystna dla użytkowników oraz systemu opieki zdrowotnej i społecznej.	Dowody wykazujące, że prawdopodobnie sposób działania cyfrowej technologii medycznej jest użyteczny i istotny, potwierdzone przez profesjonalnych ekspertów/ grupy ekspertów w danej dziedzinie, albo: odpowiedni specjaliści kliniczni/ opieki społecznej pracujący w ramach brytyjskiego systemu opieki zdrowotnej i społecznej byli zaangażowani w projektowanie, rozwój lub testowanie DHT lub odpowiedni specjaliści kliniczni/ opieki społecznej pracujący w brytyjskim systemie opieki zdrowotnej i społecznej byli zaangażowani w zatwierdzenie DHT.	Opublikowane lub publicznie dostępne dowody dokumentujące rolę odpowiednich brytyjskich ekspertów w dziedzinie opieki zdrowotnej lub społecznej w projektowaniu, opracowywaniu, testowaniu lub zatwierdzaniu DHT.
Znaczenie dla obecnych ścieżek opieki w brytyjskim systemie opieki zdrowotnej i społecznej	Standard ma na celu wykazanie, że DHT ma znaczenie dla brytyjskiego systemu opieki zdrowotnej i społecznej.	Dowody wykazujące, że DHT został pomyślnie wdrożony pilotażowo w brytyjskim systemie opieki zdrowotnej i społecznej i jest odpowiednia dla obecnych ścieżek opieki i świadczeń w Wielkiej Brytanii. Jak również dowody na to, że DHT jest w stanie wykonywać swoją zamierzoną funkcję w wymaganej skali (np. posiadanie serwerów, które mogą skalować się do zarządzania oczekiwaną liczbą pacjentów), tj. opublikowane/ niepublikowane raporty opisujące udaną próbę wdrożenia DHT w odpowiednim środowisku w Wielkiej Brytanii, wykazujące korzyści dla użytkowników, zawierające opis wpływu DHT na ścieżkę opieki, a także wszelkie odnotowane korzyści dla użytkowników i zasobów.	Dowody potwierdzające skuteczne wdrożenie DHT w brytyjskim systemie opieki zdrowotnej i społecznej, tj. opublikowane/ niepublikowane raporty opisujące udane wdrożenie DHT wykazujące korzyści dla użytkowników w brytyjskim systemie opieki zdrowotnej i społecznej.
Akceptowalność wśród użytkowników	Standard mający na celu wskazanie, że potencjalni użytkownicy DHT przetestowali go i uznali za użyteczny i przydatny, a wdrożenie cyfrowej technologii medycznej może zakończyć się sukcesem.	Dowody wykazujące, że przedstawiciele docelowych grup użytkowników byli zaangażowani w projektowanie, rozwój lub testowanie DHT. Dostarczenie danych potwierdzających satysfakcję użytkowników z wykorzystywania cyfrowej technologii medycznej	Opublikowane/ publicznie dostępne dowody wykazujące, że przedstawiciele docelowych grup użytkowników byli zaangażowani w projektowanie, rozwój lub testowanie DHT oraz wykazujące, że użytkownicy są usatysfakcjonowani z wykorzystywania technologii.

Kategoria dowodu	Cel	Minimalny standard dowodów	Oczekiwany standard dowodów
Zagadnienia związane z równością	Standard ma na celu rozważenie czy DHT pomaga zmniejszyć wszelkie istniejące nierówności w systemie opieki zdrowotnej i społecznej. Może to obejmować takie czynniki, jak wykluczenie cyfrowe lub wykorzystanie przez trudno dostępne populacje. Wskazanie wszelkich kwestii dotyczących równości potrzebnych przy zlecaniu, przyjmowaniu lub wdrażaniu DHT.	Dowody wykazujące (w stosownych przypadkach) że DHT: • przyczynia się do zwalczania nierówności zdrowotnych w brytyjskim systemie opieki zdrowotnej i społecznej lub poprawy dostępu do opieki wśród trudno dostępnych populacji, • przyczynia się do promowania równości, eliminowania dyskryminacji i wspierania dobrych relacji między osobami o cechach chronionych (zgodnie z opisem w ustawie o równości z 2010 r.) i innymi.	Dowody wykazujące, że DHT są stosowane w trudno dostępnych populacjach.
Dokładne i wiarygodne pomiary (jeśli dotyczy)	–	Dane/ analizy wykazujące, że dane generowane/ rejestrowane przez DHT są: • dokładne, • powtarzalne, • odpowiednie dla zakresu wartości oczekiwanych w populacji docelowej. Również dane wskazujące, że DHT jest w stanie wykryć klinicznie istotne zmiany lub reakcje.	
Dokładna i niezawodna transmisja danych (jeśli dotyczy).	–	Dane techniczne wykazujące, że informacje numeryczne, tekstowe, dźwiękowe, graficzne lub wideo są: • niezmienione podczas procesu transmisji, • nie są zniekształcone przez „wartość" danych oczekiwaną od docelowej populacji pacjentów.	Jak w przypadku minimalnego standardu dowodów + dane ilościowe.
Poziom 2. DHTs			
Wiarygodna zawartość informacyjna	Wykazanie, że wszelkie informacje lub porady dla użytkowników dotyczące zdrowia, zdrowego trybu życia, stylu życia, chorób, schorzeń lub dolegliwości są prawidłowe i adekwatne.	Dowody wykazujące, że wszelkie informacje zdrowotne dostarczone przez DHT są: • uzasadnione (dostosowane do najlepszych dostępnych źródeł, tj. wytyczne NICE, odpowiednich organizacji zawodowych lub uznanych brytyjskich organizacji pacjentów oraz odpowiednie dla populacji docelowej), • dokładne, • aktualne, • weryfikowane i aktualizowane przez odpowiednich ekspertów w określonych odstępach czasu, np. co roku, • wystarczająco kompleksowe.	Dowód zatwierdzenia, akredytacji lub rekomendacji przez NICE, NHS England, odpowiedni organ zawodowy lub uznaną brytyjską organizację pacjentów. Alternatywnie, dowód, że treść informacji została zatwierdzona poprzez niezależną akredytację, taką jak *The Information Standard* lub certyfikacja *HONcode*.

Kategoria dowodu	Cel	Minimalny standard dowodów	Oczekiwany standard dowodów
Bieżące gromadzenie danych w celu wykazania wartości cyfrowej technologii medycznej	Zapewnienie opłacalności dla systemu opieki zdrowotnej i społecznej, poprzez zobowiązanie się przez producenta DHT do dostarczenia danych wykazujących, że osoby korzystające z DHT potwierdzają oczekiwane korzyści z jego stosowania. Może to obejmować poprawę objawów lub ogólnych wskaźników zdrowotnych.	Zobowiązanie do ciągłego gromadzenia danych, w celu wykazania wykorzystania DHT w populacji docelowej oraz zobowiązanie do dzielenia się nimi, gdy są dostępne, z odpowiednimi decydentami, w jasnym i użytecznym formacie.	Dowody na to, że dane dotyczące użytkowania są gromadzone zgodnie z minimalnymi standardami i mogą być udostępniane odpowiednim decydentom.
Bieżące gromadzenie danych w celu wykazania wartości DHT	Zapewnienie opłacalności dla systemu opieki zdrowotnej i społecznej, poprzez zobowiązanie się przez producenta DHT do dostarczenia danych wykazujących, że osoby korzystające z DHT osiągają oczekiwane korzyści z jego stosowania. Może to obejmować poprawę objawów lub ogólnych wskaźników zdrowotnych.	Zobowiązanie do ciągłego gromadzenia danych w celu wykazania wyników użytkowników (w stosownych przypadkach) lub zadowolenia użytkowników (przy użyciu informacji niepozwalających na identyfikację pacjentów) w celu wykazania ciągłej wartości oraz zobowiązanie do udostępniania, gdy są dostępne, odpowiednim decydentom, w jasnym i użytecznym formacie.	Dowody na to, że dane dotyczące wyników lub zadowolenia użytkowników są gromadzone zgodnie z minimalnym standardem i mogą być udostępniane odpowiednim decydentom.
Jakość i środki bezpieczeństwa	Jasne określenie, z kim użytkownik może wchodzić w interakcje i opisanie, dlaczego te interakcje są odpowiednie, a wszelkie zagrożenia związane z tymi interakcjami oraz jakie środki ochronne zostały wdrożone.	Dowody wykazujące, że w odniesieniu do wsparcia rówieśniczego i innych funkcji komunikacyjnych na platformie stosowane są odpowiednie środki ochronne. Należy opisać, kto ma dostęp do platformy i jakie pełni funkcje. Opis, dlaczego te osoby lub grupy są odpowiednie i wykwalifikowane, aby mieć dostęp do cyfrowej technologii medycznej. Opisanie wszelkich środków mających na celu zapewnienie bezpieczeństwa w komunikacji *peer-to-peer*, np. poprzez umowy z użytkownikami lub moderację.	
Poziom 3a. DHTs			
Wykazanie skuteczności	–	Wysokiej jakości badania obserwacyjne lub *quasi*-eksperymentalne wykazujące istotne wyniki. Badania te powinny przedstawiać dane porównawcze. Porównania mogą obejmować: • odpowiednie wyniki w grupie kontrolnej, • wykorzystanie historycznych grup kontrolnych, • rutynowo gromadzone dane. Istotne wyniki mogą obejmować: • wyniki zachowań lub związane ze stanem zdrowia użytkownika, tj. ograniczenie palenia lub poprawa zarządzania stanem zdrowia, • dowody pozytywnej zmiany zachowania, • satysfakcję użytkownika.	Wysokiej jakości badanie interwencyjne (projekt *quasi*-eksperymentalny lub eksperymentalny), które obejmuje grupę porównawczą, wykazujące poprawę istotnych wyników, tj: • wyników zgłaszanych przez pacjentów (najlepiej przy użyciu zatwierdzonych narzędzi), w tym nasilenie objawów lub jakość życia, • innych klinicznych miar nasilenia choroby lub niepełnosprawności, • zachowań prozdrowotnych, • pomiarów fizjologicznych, • zadowolenia i zaangażowania użytkowników, • wykorzystanie zasobów opieki zdrowotnej i społecznej, tj. hospitalizacje lub wizyty.

Kategoria dowodu	Cel	Minimalny standard dowodów	Oczekiwany standard dowodów
			Komparatorem powinna być opcja, która odzwierciedla standardową opiekę w obecnej ścieżce, tj. powszechnie stosowana opcja.
Stosowanie odpowiednich technik zmiany zachowania	Opisanie jakie techniki zmiany zachowania są stosowane i podanie ich źródeł.	Wykazanie, że techniki stosowane w cyfrowej technologii medycznej są: • zgodne z uznaną teorią zmiany zachowania i zalecaną praktyką (dostosowaną do wytycznych NICE lub odpowiednich organizacji), • odpowiednie dla populacji docelowej.	Opublikowane dowody jakościowe lub ilościowe wskazujące, że techniki stosowane w cyfrowej technologii medycznej są: • oparte na opublikowanych i uznanych skutecznych technikach zmiany zachowania, • zgodne z zalecaną praktyką, • odpowiednie dla populacji docelowej.
Poziom 3b. DHTs			
Wykazanie skuteczności	–	Wysokiej jakości badanie interwencyjne (eksperymentalne lub *quasi*-eksperymentalne) wykazujące poprawę istotnych wyników, tj.: • dokładność diagnostyczna, • wyników zgłaszanych przez pacjentów (najlepiej przy użyciu zweryfikowanych narzędzi), w tym nasilenie objawów lub jakość życia, • innych klinicznych miar nasilenia choroby lub niepełnosprawności, • zachowań prozdrowotnych, • pomiarów fizjologicznych, • zadowolenia i zaangażowania użytkownika. Ogólne miary wyników mogą być również przydatne, gdy są zgłaszane wraz z wynikami specyficznymi dla danego schorzenia. Komparator powinien być opcją opieki, która odzwierciedla obecną ścieżkę, tj. powszechnie stosowana opcja.	Wysokiej jakości randomizowane badanie kontrolowane lub badania przeprowadzone w warunkach istotnych dla brytyjskiego systemu opieki zdrowotnej i społecznej, porównujące cyfrową technologię medyczną z odpowiednim komparatorem i wykazujące spójne korzyści, w tym w wynikach klinicznych w populacji docelowej, przy użyciu zatwierdzonych miar wyników specyficznych dla stanu zdrowia. Alternatywnie, dobrze przeprowadzona metaanaliza badań RCT (jeśli istnieje wystarczająca liczba dostępnych badań dotyczących ocenianej technologii).

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT na podstawie NICE 2018.

Kanada

Health Canada, w opublikowanym dokumencie wytycznych, wskazuje wymogi w zakresie dowodów klinicznych dla wyrobów medycznych klasy II, III i IV. Wyroby klasy I to wyroby o potencjalnie najmniejszym ryzyku (np. depresor języka), a klasy IV o najwyższym potencjalnie ryzyku (np. rozrusznik serca). Wytyczne te określają:

- w jakich przypadkach dodatkowe dane/ dowody mogą być wymagane wraz z wnioskiem o wydanie licencji przed dopuszczeniem do obrotu,
- rodzaje i jakość dowodów klinicznych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa wyrobu medycznego,
- wykorzystanie danych klinicznych dla wyrobów medycznych stanowiących komparator dla wnioskowanej technologii,
- sposoby generowania danych klinicznych,
- sposoby określania populacji docelowej, tj. płeć, rasa, czy pochodzenie etniczne.

Wszystkie wyroby medyczne muszą być bezpieczne i skuteczne, gdy są stosowane zgodnie z ich przeznaczeniem. Przed wydaniem licencji na wyrób medyczny, *Health Canada* dokonuje przeglądu wniosków licencyjnych, aby określić, czy spełnia wymogi bezpieczeństwa i skuteczności określone w Regulacjach dotyczących wyrobów medycznych (HC 2022, HC 2025, Lopatina 2023).

Oprócz badań dotyczących bezpieczeństwa i skuteczności, producent może być zobowiązany do przedstawienia dowodów klinicznych na poparcie zamierzonego zastosowania (zastosowań) swojego wyrobu medycznego. Dowody kliniczne powinny wykazać, że wyrób jest bezpieczny i skuteczny, gdy jest używany zgodnie z oświadczeniem o wskazaniach do stosowania oraz w jaki sposób wyrób wpływa na różne subpopulacje. Producenci muszą również dostarczyć informacje (wraz z niepewnościami) na temat ryzyka i korzyści związanych ze stosowania wyrobu medycznego.

Health Canada wydaje licencję na wyrób medyczny, jeśli wniosek (i dowody kliniczne) wykaże, że wyrób spełnia wymagania, korzyści płynące z zastosowania wyrobu przewyższają zidentyfikowane ryzyko oraz niepewność związana z korzyściami/ działaniami niepożądanymi nie jest znacząca. W momencie udzielania licencji oraz po wprowadzeniu do obrotu *Health Canada* może określić warunki, aby zapewnić, że wyrób nadal spełnia wymogi bezpieczeństwa i skuteczności (HC 2022, HC 2025, Lopatina 2023).

Wymagania dotyczące dowodów klinicznych dla wyrobów medycznych

Wszystkie wyroby medyczne muszą posiadać obiektywne dowody o ich bezpieczeństwie i skuteczności. Jednakże, niektóre czynniki decydują o tym, czy badania kliniczne specyficzne dla danego wyrobu mogą być wymagane w każdym przypadku. *Health Canada* ocenia każdy wniosek o nową licencję lub zmianę na podstawie dostarczonych informacji, w kontekście wskazań do stosowania, w celu potwierdzenia bezpieczeństwa i skuteczności wyrobu.

Dowody kliniczne dotyczące konkretnego wyrobu mogą być wymagane w następujących przypadkach:

- nowe technologie/ mniej ugruntowane technologie,
- nowe kwestie związane z bezpieczeństwem lub skutecznością dostępnych już technologii,
- modyfikacje konstrukcyjne dostępnych technologii (np. wszelkie zmiany związane z charakterystyką, zasadami działania i specyfikacjami materiałów, źródła energii, oprogramowania lub akcesoriów),
- nowe wskazania do stosowania (np. we wniosku o zmianę obecnie licencjonowanego wyrobu medycznego), które nie mogą być w pełni poparte badaniami przedklinicznymi,
- nowa populacja docelowa,
- nowy docelowy użytkownik (np. pacjent/ profesjonalista),
- wpływ wyrobu/ zmiany wyrobu medycznego na pacjenta jest:
    - nie w pełni scharakteryzowany na podstawie dostępnych danych nieklinicznych,
    - nieodwracalny (np. wyrobu nie można usunąć po jego wszczepieniu),
    - zmienny (np. wpływ na pacjenta, konfiguracja wyrobu lub zależność użytkownika mogą się zmieniać),
    - inwazyjny,
    - nieznany (HC 2022, HC 2025, Lopatina 2023).

Producenci wyrobów medycznych klasy II muszą przedłożyć zaświadczenie, że posiadają obiektywne dowody na to, że wyrób jest bezpieczny i skuteczny.

Producenci wyrobów medycznych klasy III muszą przedłożyć podsumowanie oraz wnioski ze wszystkich badań, na których opierają się w celu zapewnienia, że wyrób jest bezpieczny i skuteczny.

Producenci wyrobów medycznych klasy IV muszą przedłożyć dane kliniczne, na których opierają się w celu zapewnienia, że wyrób jest bezpieczny i skuteczny.

Zgodnie z wytycznymi z 2012 r., dotyczącymi wymaganych dowodów potwierdzających, które należy przedstawić wraz z nowym/ zmienionym wnioskiem licencyjnym dla wyrobów medycznych klasy III i IV, wnioski powinny zawierać m.in. następujące informacje:

- certyfikat CAN/CSA ISO 13485:2003,
- opis wyrobu (nazwa, zastosowanie, użytkownicy, specyfikacja, materiały),
- wskazania do stosowania oraz przeciwwskazania,
- etykiety wyrobu, opakowań i dokumentacja,
- historia wprowadzenia do obrotu – w Kanadzie i innych krajach oraz listą krajów, w których wyrób medyczny jest sprzedawany, wraz z wielkością sprzedaży (w podziale na kraje/ regiony),
- raporty o incydentach i wycofaniach z obrotu, wraz z aktualnym statusem i podjętymi działaniami naprawczymi,
- **skuteczność i bezpieczeństwo wyrobu,**
- standardy ISO, ASTM czy ANSI,
- badania przedkliniczne:
  - fizyczne i mechaniczne testy stanowiskowe, w celu sprawdzenia m.in. czy wyrób działa zgodnie z przeznaczeniem,
  - weryfikacja i walidacja oprogramowania,
  - testy biokompatybilności,
  - pirogenność,
  - badania na zwierzętach,
- **dowody kliniczne:** ocena kliniczna uwzględnia dostępne, istotne dane kliniczne z opublikowanych źródeł lub badania związane z wyrobem. Jeśli historia dla wnioskowanej technologii jest dobrze określona, dowody mogą być dostarczone w formie przeglądu literatury odpowiednich publikacji w recenzowanej literaturze naukowej. W celu potwierdzenia skuteczności i bezpieczeństwa wnioskowanego wyrobu medycznego w odniesieniu do innych wyrobów, należy przeprowadzić obszerne porównanie w zakresie m.in. konstrukcji, cech czy działania. Należy przedstawić dowody w postaci wyników badań klinicznych, przeprowadzonych w Kanadzie lub innych krajach. Wnioski dotyczące wyników z badań klinicznych powinny być poprzedzone dyskusją w kontekście opublikowanej literatury. Ponadto należy krytycznie przeanalizować zarówno znaczenie statystyczne, jak i kliniczne przedłożonych wyników,
- system rejestracji implantów – w przypadku wyrobów medycznych klasy IV, tj. zastawek serca, pierścieni do annuloplastyki, wszczepialnych rozruszników serca, defibrylatorów i elektrod, sztucznego serca czy wszczepialnego systemu infuzji leków,
- analiza i ocena ryzyka związanego ze stosowaniem wyrobu medycznego – w przypadku wyrobów klasy IV (HC 2022, HC 2025, Lopatina 2023).

Dane kliniczne i ich ocena

Źródła danych klinicznych o skuteczności i bezpieczeństwie stanowią badania kliniczne wnioskowanego wyrobu medycznego, opublikowana literatura oraz dane pochodzące z nadzoru po wprowadzeniu do obrotu (ang. *post-market surveillance data*).

Czynniki, które mogą wpływać na potrzebę uzyskania danych klinicznych, obejmują:

- działanie komparatywnego wyrobu medycznego po wprowadzeniu do obrotu,
- ciężkość leczonego schorzenia,
- wyroby medyczne oceniane jako obarczone wysokim ryzykiem bezpieczeństwa,
- wysoki poziom niepewności związany z identyfikacją zagrożeń i korzyści związanych z technologią,

- wyroby z niejednoznacznymi dowodami potwierdzającymi bezpieczeństwo i skuteczność lub z budzącymi wątpliwość informacjami na temat bezpieczeństwa/ skuteczności, opisanymi w literaturze,
- wprowadzenie nowej technologii wyrobu,
- wyroby, które mają unikalne lub innowacyjne procesy produkcyjne, źródła surowców lub specyfikacje,
- czas użytkowania,
- przewidywana zmienność reakcji pacjenta na leczenie, w tym zróżnicowane działanie ze względu na płeć lub inne cechy (tj. wiek, rasa, pochodzenie etniczne),
- wyroby o ograniczonych korzyściach dla przewidzianej populacji pacjentów,
- wyroby, które mogą powodować rzadkie zdarzenia niepożądane (niezamierzone zdarzenia, choroby, urazy lub objawy kliniczne, które występują tak rzadko, że nie można ich ocenić w badaniach przed wprowadzeniem na rynek).

W przypadku, gdy bezpieczeństwo i skuteczność zostały odpowiednio wykazane, ale gromadzenie danych klinicznych jest w toku, wyniki trwających badań mogą wymagać przedłożenia po uzyskaniu licencji. Wymóg ten jest określony w warunkach w momencie udzielania licencji. Gromadzenie danych klinicznych może trwać ze względu na nowy charakter technologii (np. w celu zebrania informacji na temat długotrwałego stosowania lub stosowania w rzadkich populacjach pacjentów w warunkach rzeczywistych lub w celu zbadania określonej populacji). Wyniki ciągłego gromadzenia danych klinicznych muszą potwierdzić, że bezpieczeństwo i skuteczność zastosowania wyrobu medycznego są utrzymywane po wprowadzeniu na rynek (HC 2022, HC 2025, Lopatina 2023).

Podczas analizy danych klinicznych ważne jest, aby wziąć pod uwagę jakość danych pod względem źródeł niepewności, brakujących danych lub stopnia pogrupowania danych populacyjnych. Producenci powinni przedstawić informacje niedostatecznie zgłaszanych danych wynikających m.in. z różnic w zgłaszanych wskaźnikach w randomizowanych, kontrolowanych badaniach klinicznych w porównaniu z historią rynkową, liczby incydentów zgłoszonych producentowi, które nie były zgłoszone do *Health Canada* czy liczby pacjentów, których utracono z obserwacji (ang. *lost to follow-up*).

Jakość danych klinicznych ulega zmniejszeniu i może skutkować potrzebą uzyskania wyższej jakości danych klinicznych specyficznych dla wyrobu w przypadku, gdy liczba pacjentów utraconych z obserwacji jest większa niż 10% lub stwierdzono wysoce niedostateczne zgłaszanie zdarzeń niepożądanych.

Wszelkie raporty lub gromadzone dane powinny stanowić wiarygodne dowody, tj. wystarczające informacje, aby dokonać obiektywnej oceny bezpieczeństwa i skuteczności wyrobu medycznego. Randomizowane, kontrolowane badania kliniczne zapewniają wyższą jakość dowodów. Natomiast raporty z doświadczeń klinicznych (opisy indywidualnych przypadków lub opinie ekspertów) stanowią dowody o niższej jakości. Ten rodzaj dowodów jest zazwyczaj ograniczony do sytuacji, w których nie jest możliwe zebranie wysokiej jakości danych klinicznych (np. w rzadkich stanach chorobowych, niedostatecznie reprezentowanych populacjach pacjentów i nagłych interwencjach) (HC 2022, HC 2025, Lopatina 2023).

Health Canada oczekuje, że dane kliniczne przekazywane przez producentów odpowiednio reprezentują populację kanadyjską i praktykę kliniczną. Wszelkie dane kliniczne wykorzystywane przez producenta w celu wykazania bezpieczeństwa i skuteczności wyrobu powinny odzwierciedlać populację, dla której wyrób jest przeznaczony.

Badania w warunkach rzeczywistych (ang. real-world studies)

Po wprowadzeniu wyrobu medycznego na rynek dane rzeczywiste (RWD), mogą dostarczyć dodatkowych informacji na temat bieżącego bezpieczeństwa i skuteczności wyrobu, w wyniku dłuższego okresu obserwacji pacjentów stosujących określony wyrób medyczny lub szerszej populacji pacjentów, w stosunku do populacji badania klinicznego. Różne rodzaje danych po wprowadzeniu do obrotu mogą zostać uwzględnione w celu wsparcia bezpieczeństwa i skuteczności we wniosku o nową licencję/ zmianę licencji. Dane mogą być oparte na przedmiotowym wyrobie lub porównywalnym wyrobie.

Przykładowe dane rzeczywiste w ocenie wyrobów medycznych obejmują:

- dane z elektronicznych rejestrów zdrowia (ang. *electronic health records*, EHRs),
- dane z oświadczeń (ang. *claims*) i rozliczeń,

- dane generowane przez pacjentów (w tym w warunkach domowych),
- dane zebrane z innych źródeł, które mogą informować o stanie zdrowia (np. urządzenia mobilne).

Rozszerzenie źródeł dowodów o RWD i RWE pozwalają na:

- pozyskanie wiedzy o zdrowiu publicznym,
- identyfikację późno występujących lub rzadkich działań niepożądanych,
- identyfikację dodatkowych cech populacji lub czynników wpływających na zastosowanie wyrobu,
- zwiększenie zakresu i poziomu dostępu do wyrobów medycznych,
- uzyskanie danych na temat bezpieczeństwa i skuteczności w podgrupach, które nie były dobrze reprezentowane w badaniach klinicznych,
- określenie rzeczywistego działania wyrobu w warunkach rzeczywistego stosowania (HC 2022, HC 2025, Lopatina 2023).

Rzetelne RWD i RWE mogą być wykorzystywane do wspierania procesu podejmowania decyzji regulacyjnych przez *Health Canada* przed i po wprowadzeniu wyrobu medycznego do obrotu na rynku kanadyjskim.

Podmioty składające wniosek o licencję na wyrób medyczny lub wniosek o zmianę na podstawie RWD/RWE powinny:

- zidentyfikować wyrób/ model/ wersję, która jest przedmiotem RWD oraz wszelkie różnice między wyrobem komparatywnym a badanym (wpływ tych różnic na interpretację RWE należy omówić we wniosku);
- uzasadnić, dlaczego RWE jest odpowiednie jako źródło dowodów bezpieczeństwa i/lub skuteczności (np. rzadka populacja, aspekty etyczne),
- wyjaśnić, w jaki sposób RWD zostały zebrane i przeanalizowane w celu wsparcia jakości i istotności dowodów, w odniesieniu do wniosku,
- zidentyfikować wszelkie ograniczenia danych lub dowodów wygenerowanych w wyniku analizy danych i określić, w jaki sposób zostały one zminimalizowane w możliwym zakresie (np. zidentyfikowane lub potencjalne błędy (ang. *biases*), znane czynniki zakłócające i sposób ich uwzględnienia w analizach),
- zweryfikować odpowiednie zastosowanie wyrobu w systemie opieki zdrowotnej.

Przeglądy literatury

Przegląd literatury jest uważany za systematyczną identyfikację, syntezę i analizę dostępnej literatury naukowej na temat przedmiotowego wyrobu, gdy jest on stosowany zgodnie ze wskazaniem. Przedstawiając przegląd literatury jako dowód bezpieczeństwa lub skuteczności, podmioty odpowiedzialne powinny upewnić się, że nie opiera się on na wyrobach, które nie stanowią opcji alternatywnej do ocenianej technologii. Gdy to możliwe, przegląd literatury powinien dotyczyć przedmiotowego wyrobu.

Jeśli historia kliniczna wyrobu komparatywnego została dobrze określona, podmiot może oprzeć wykazanie skuteczności i bezpieczeństwa wyłącznie na przeglądzie literatury. Jeśli producent nie jest w stanie wykazać, że wyrób stanowiący opcję alternatywną jest właściwy, wymagane mogą być dane kliniczne dotyczące konkretnego wyrobu.

Przegląd literatury powinien obejmować krytyczną analizę wszystkich dostępnych dowodów, w tym zarówno korzystnych, jak i niekorzystnych raportów, a także poprawności lub ograniczeń projektów badań. Od podmiotów oczekuje się dostarczenia podsumowania każdej publikacji i analizy zawartych w niej danych. Wszystkie cytowane publikacje powinny zostać uwzględnione we wniosku (HC 2022, HC 2025, Lopatina 2023).

Badania użyteczności i symulacje

Badania użyteczności lub czynników ludzkich (ang. *human factors studies*) często obejmują typowych użytkowników, którzy testują wyroby medyczne w symulowanym środowisku klinicznym. Wyniki tych badań często koncentrują się na wskaźnikach, tj. błędy użytkownika i adekwatność przestrzegania instrukcji.

Badania symulacyjne zazwyczaj odnoszą się do symulacji numerycznych rzeczywistego stosowania wyrobu medycznego. *Health Canada* definiuje symulację jako odwzorowanie cech systemu, podmiotu, zjawiska lub procesu przy użyciu modelu obliczeniowego lub "uruchomienie" modelu z 1 zestawem parametrów, które skutkuje wielkością będącą przedmiotem zainteresowania lub wieloma wielkościami będącymi przedmiotem zainteresowania.

Symulacje również mogą dostarczać przydatnych informacji na temat bezpieczeństwa i skuteczności, zwłaszcza gdy opierają się na zweryfikowanych klinicznych bazach danych. Informacje na temat baz danych, oprogramowania do symulacji numerycznych lub innych wykorzystywanych narzędzi powinny być jasno opisane. Walidacja wykorzystanych narzędzi i danych powinna być wyraźnie wykazana, aby wyniki mogły być zastosowane do rzeczywistego klinicznego zastosowania proponowanego wyrobu. W niektórych przypadkach dowody dotyczące czynnika ludzkiego mogą być uznane za niezbędne do wykazania, że wszystkie znane zagrożenia zostały ograniczone w możliwym zakresie (HC 2022, HC 2025, Lopatina 2023).

Ocena kliniczna

Ocena kliniczna powinna uwzględniać wszystkie istotne informacje ze wszystkich źródeł danych klinicznych. Oczekuje się, że poprzez właściwą ocenę kliniczną wnioskodawca wykaże, że:

- wyrób jest skuteczny w normalnych i oczekiwanych warunkach stosowania,
- znane i przewidywalne ryzyko oraz wszelkie zdarzenia niepożądane są zminimalizowane i akceptowalne w zestawieniu z korzyściami wynikającymi z zamierzonej skuteczności,
- wszelkie oświadczenia dotyczące bezpieczeństwa i skuteczności wyrobu są poparte odpowiednimi dowodami klinicznymi.

W przypadku porównania z wyrobem licencjonowanym lub wprowadzonym do obrotu producenci mogą również przedstawić dowody na to, że wyniki zaobserwowane podczas korzystania z proponowanego wyrobu nie są gorsze od istniejących standardowych metod opieki. Porównanie to powinno obejmować równoważną populację pacjentów (w stosownych przypadkach) i aktualne wyniki istniejącej równoważnej interwencji lub przyjętego standardowego leczenia. Należy również omówić poziomy ufności i niepewności w zbiorach danych.

Ocena powinna również dotyczyć wszelkich oświadczeń klinicznych dotyczących wyrobu, adekwatności oznakowania wyrobu i informacji o produkcie (w szczególności przeciwwskazań, środków ostrożności i ostrzeżeń) oraz przydatności instrukcji użytkowania.

Podejmując decyzję o zakresie oceny klinicznej, podmiot powinien wziąć pod uwagę:

- wszelkie cechy konstrukcyjne wyrobu lub populacji docelowej, które wymagają szczególnej uwagi,
- dowody zebrane w ramach badań klinicznych specyficznych dla wnioskowanego wyrobu medycznego,
- dowody dla opcji alternatywnych, które mogą być wykorzystane do potwierdzenia bezpieczeństwa i/lub skuteczności przedmiotowego wyrobu,
- możliwe różnice w bezpieczeństwie i skuteczności ze względu na charakterystykę populacji.

Producenci mogą dostarczyć raport oceny klinicznej (ang. *Clinical Evaluation Report*, CER) wraz z wnioskami dot. wyrobów klasy III lub IV. CER powinien zawierać wnioski z oceny klinicznej, przeanalizowane dane kliniczne i wykazanie, że przedmiotowy wyrób osiąga zamierzony cel przy zachowaniu korzystnego stosunku korzyści do ryzyka. CER nie jest obowiązkowy w Kanadzie (HC 2022, HC 2025, Lopatina 2023).

Dane kliniczne po wprowadzeniu do obrotu

Po wydaniu licencji na wyrób medyczny, *Health Canada* może wymagać przedstawienia przez podmiot odpowiedzialny dodatkowych dowodów klinicznych na poparcie bezpieczeństwa i skuteczności. Minister może określić zasady i warunki dotyczące testów, które należy przeprowadzić na wyrobie, w celu zapewnienia, że nadal spełnia on obowiązujące wymagania oraz przedkładania wyników i protokołów z wszelkich przeprowadzonych testów.

Czynniki, które wpływają na określenie warunków monitorowania po dopuszczeniu do obrotu to:

- trwająca długoterminowa obserwacja kliniczna dla wyrobów medycznych o oczekiwanym okresie użytkowania, który jest dłuższy niż dostarczone dane kliniczne lub nie był dostępny w momencie składania wniosku o licencję (zazwyczaj powyżej 1–2 lat),
- niepewność związana z klinicznym działaniem przedmiotowego wyrobu lub technologii w mniej doświadczonych placówkach lub ośrodkach klinicznych (np. mniej pracowników ochrony zdrowia doświadczonych w korzystaniu z wyrobu lub technologii) niż te, którzy byli zaangażowane w badania kliniczne,
- niepewność związana z działaniem klinicznym w populacjach pacjentów, które mogły nie być odpowiednio reprezentowane w badaniach klinicznych,
- określenie częstotliwości możliwych rzadkich zdarzeń niepożądanych, które mogły nie zostać zaraportowane, ze względu ograniczone ramy czasowe badania klinicznego.

Podmiot odpowiedzialny jest zobowiązany również do przedłożenia nowo zgromadzonych danych klinicznych lub dowodów, jeśli warunki stanowią kontynuację istniejących badań klinicznych lub specjalnie zaprojektowanych badań po wprowadzeniu do obrotu lub mają na celu zebranie długoterminowych danych dotyczących bezpieczeństwa i/lub skuteczności (HC 2022, HC 2025, Lopatina 2023).

Cyfrowe technologie medyczne

W dokumencie dotyczącym cyfrowych technologii medycznych w Kanadzie, skupiono się głównie na oprogramowaniu, które stanowi wyrób medyczny (ang. *software as a medical device*, SaMD). W Kanadzie nadzór nad dostępem do wyrobów medycznych przed wprowadzeniem ich do obrotu stanowi *Health Canada*. Zakres nadzoru uzależniony jest od klasy lub kategorii, do której SaMD zostanie przypisany. Czynniki, które są uwzględniane podczas przypisywania do klasy/ kategorii to:

- istotność informacji, których technologia dostarcza w podejmowaniu decyzji dotyczących opieki zdrowotnej, tj. czy technologia ma na celu podejmowanie decyzji klinicznych,
- sytuacja lub stan w zakresie opieki zdrowotnej, tj. krytyczne, ciężkie lub nieciężkie stany zdrowia,
- funkcjonalność technologii.

SaMD o najniższej klasie (np. promujące zdrowy styl życia) są związane z mniejszym wpływem na zdrowie i wykazują niższe ryzyko związane z ich stosowaniem, toteż nie podlegają przeglądowi przed dopuszczeniem do obrotu i nie wymagają wykazania skuteczności i bezpieczeństwa w badaniach klinicznych.

Oprogramowanie, które zostanie przypisane do najwyższej klasy/ kategorii są związane z największym wpływem na pacjentów oraz zdrowie publiczne, a także największym potencjalnym ryzykiem. W związku z tym muszą przejść najbardziej rozległy przegląd przed wprowadzeniem do obrotu i wykazać skuteczność i bezpieczeństwo poprzez przeprowadzenie badania klinicznego.

Ponadto podmioty odpowiedzialne za oprogramowanie, które są zakwalifikowane jako wyrób medyczny najwyższej klasy, zobowiązane są do dostarczania informacji *Health Canada* dotyczących zdarzeń niepożądanych, zmian (w tym oznakowania), wycofania lub ponownej oceny wyrobu przez inne organy.

W Kanadzie nie obowiązują krajowe ramy dotyczące oceny cyfrowych technologii medycznych. Regulacja, ocena, refundacja i wdrożenie cyfrowych technologii medycznych może obywać się na kilku płaszczyznach. Podejmowanie decyzji dotyczących wdrożenia i inwestycji w cyfrowe technologie medyczne odbywa się na lokalnym szczeblu systemów i organizacji, związanych z opieką zdrowotną, które mają ograniczone możliwości formalnej oceny i weryfikacji. W związku z tym muszą opierać się o informacje dostarczane przez inne organy.

Ocena kliniczna i ekonomiczna cyfrowych technologii medycznych może być również przeprowadzana przez kanadyjskie Agencje HTA. Mechanizm doradczy dla – CDA-AMC (ang. *Call for Device Advice – Advice on Medical Devices*) – przeprowadził kilka syntez dowodów dotyczących cyfrowych technologii medycznych. Syntezy dowodów dostarczają użytecznych informacji na temat skuteczności i opłacalności kilku technologii, ale mogą nie uwzględniać wszystkich aspektów cyfrowych technologii, które mogą być istotne dla decydentów, tj. użyteczność poszczególnych technologii oraz rzeczywista skuteczność w lokalnym kontekście różnych systemów i organizacji opieki zdrowotnej oraz rekomendacji refundacyjnych.

W związku z ograniczeniami zdecentralizowanego podejścia, w przedmiotowym dokumencie przedstawiono kluczowe aspekty istotne dla ogólnej oceny HTA w Kanadzie, dotyczącej cyfrowych technologii medycznych:

1. Kontekst – rozważenie wszelkich barier kontekstowych i czynników sprzyjających wdrożeniu technologii, tj. infrastruktura, akceptacja w środowisku klinicznym, dodatkowe koszty, itp.
2. Wiarygodne informacje – czy informacje zdrowotne dostarczane przez cyfrową technologię medyczną są dokładne, poprawne, aktualne, wyczerpujące, jasne i dostosowane do różnorodnych użytkowników?
3. Stosowanie odpowiednich technik zmiany zachowań:
   a. Czy technologie stosują odpowiednie i najlepsze techniki zmiany zachowań?
   b. Czy mechanizm jest wiarygodny?
   c. Czy docelowa zmiana zachowania jest widoczna dla użytkownika i czy istnieje odpowiednie wsparcie?
   d. Czy są one adekwatne do populacji docelowej?
4. Wykorzystanie – czy technologie są ograniczone pod względem platform, języków, łączności sieciowej lub umiejętności cyfrowych użytkowników?
5. Aspekt grup społecznych – w jakim stopniu cyfrowa technologia medyczna poprawia komunikację między zespołem opieki zdrowotnej a pacjentem? Czy dostęp dla odległych pacjentów jest lepszy? (HC 2022, HC 2025, Lopatina 2023).

Australia

Zgodnie z opublikowanym dokumentem wytycznych, dotyczącym dowodów klinicznych dla wyrobów medycznych, wszystkie wyroby medyczne dostępne w Australii muszą posiadać dowody kliniczne wystarczające do wykazania odpowiedniego poziomu bezpieczeństwa i skuteczności, gdy są stosowane zgodnie z ich przeznaczeniem. Ma to na celu utrzymanie jakości systemu opieki zdrowotnej i pomoc w utrzymaniu zdrowia w australijskiej populacji (AG 2023).

Obowiązek gromadzenia dowodów klinicznych (zazwyczaj w formie CER) spoczywa na producencie, który dostarcza je sponsorowi. Sponsor musi dostarczyć informacje w celu wykazania zgodności z niezbędnymi zasadami (ang. *Essential Principles*, EPs). Dotyczy to wszystkich wyrobów medycznych, niezależnie od ich klasyfikacji.

Dowody kliniczne muszą być dostępne przez cały cykl życia wyrobu, ale z reguły są przedkładane w momencie składania wniosku o certyfikat oceny zgodności lub wniosku o włączenie do Australijskiego Rejestru Produktów Terapeutycznych (ang. *Australian Register of Therapeutic Goods*, ARTG) oraz w ramach nadzoru lub przeglądów po wprowadzeniu do obrotu. Powinny one być oceniane i okresowo aktualizowane w miarę uzyskiwania nowych informacji na temat bezpieczeństwa i skuteczności z badań klinicznych, literatury lub doświadczenia klinicznego w odniesieniu do przedmiotowego wyrobu i/lub wyrobów referencyjnych.

Następujące rodzaje dowodów klinicznych są uznawane, jako uzasadnienie zgodności z EPs:

1. Bezpośrednie dowody kliniczne – pochodzące z oceny danych klinicznych odnoszących się do przedmiotowego wyrobu.
2. Pośrednie dowody kliniczne – pochodzące z oceny danych klinicznych dotyczących porównywalnego wyrobu, z którym wykazano znaczącą równoważność.

Dowody pochodzące z porównywalnych wyrobów, w przypadku których nie wykazano równoważności z wnioskowanym wyrobem medycznym, mogą wspierać lub uzupełniać bezpośrednie lub pośrednie dowody kliniczne, jednakże nie stanowią wystarczających dowodów klinicznych do wykazania zgodności z EPs – z wyjątkiem niektórych kategorii wyrobów o niższym ryzyku , których skutki kliniczne są dobrze poznane i scharakteryzowane. W takich okolicznościach producent musi przedstawić akceptowalne uzasadnienie (AG 2023).

Dane kliniczne (informacje o bezpieczeństwie i skuteczności na podstawie klinicznego zastosowania wyrobu medycznego) mogą być generowane dla przedmiotowego wyrobu lub porównywalnego wyrobu (w tym zasadniczo równoważnych wyrobów). Obejmują one:

- dane z badań klinicznych,
- przeglądy literatury,

- dane po wprowadzeniu do obrotu,
- inne dane z doświadczenia klinicznego (dane rzeczywiste).

Producent jest odpowiedzialny za identyfikację i określenie zakresu istotnych danych i określenie potrzebnych do pełnej oceny klinicznej.

Badania kliniczne obejmują studia wykonalności, badania przeprowadzone w celu dopuszczenia do obrotu oraz badania przeprowadzone po dopuszczeniu do obrotu. Dane z badań klinicznych, które obejmują przedmiotowy wyrób medyczny zapewniają wyższy poziom pewności co do ich użyteczności, bezpieczeństwie i charakterystyce działania, stanowią więc preferowane źródło dowodów klinicznych (AG 2023).

Przegląd literatury

Przeprowadzenie przeglądu literatury jest przydatne do identyfikacji danych klinicznych, które nie są w posiadaniu producenta. Przegląd literatury może być przedstawiony jako uzupełnienie danych z badań klinicznych lub jako źródło danych klinicznych. Badania zidentyfikowane w przeglądzie literatury, które nie odnoszą się bezpośrednio do przedmiotowego wyrobu lub równoważnego wyrobu porównawczego, mogą być wykorzystane do przedstawienia aktualnego stanu wiedzy i informacji o zarządzaniu ryzykiem. Jeśli takie badania mają pomóc w spełnieniu wymogów dotyczących dowodów klinicznych, konieczne jest uzasadnienie, dlaczego dane uzyskane dla innego wyrobu mogą być wykorzystane do poparcia bezpieczeństwa i skuteczności przedmiotowego wyrobu medycznego.

Przegląd literatury w odniesieniu do wyrobu medycznego obejmuje zestawienie, przygotowane przy użyciu udokumentowanej metodologii, opublikowanej i niepublikowanej literatury naukowej (o treści przemawiającej na korzyść oraz niekorzyść ocenianego wyrobu). Obejmuje także opinię eksperta, informacje o zagrożeniach i powiązanym ryzyku, wynikającym z zastosowania wyrobu zgodnie z jego wskazaniem oraz przewidywalnego niewłaściwego stosowania wyrobu, informacje o działaniu wyrobu, w tym opis technik zastosowanych do zbadania, czy działanie wyrobu jest zgodne z zamierzonym zastosowaniem. Pisemny raport przygotowany przez eksperta w odpowiedniej dziedzinie, powinien zawierać krytyczną ocenę przeglądu literatury. Producent wyrobu medycznego musi zapewnić, że dane kliniczne są oceniane przez kompetentnego eksperta klinicznego oraz że dowody kliniczne wykazujące, że wyrób jest zgodny z obowiązującymi przepisami EPs, są udokumentowane na piśmie.

Najwyższym standardem przeglądu literatury jest przegląd systematyczny z metaanalizą. We wszystkich przypadkach kluczowe znaczenie ma to, aby metody wykorzystane do przeprowadzenia przeglądu literatury były przejrzyste i powtarzalne, aby umożliwić ocenę jakości, w tym brak stronniczości przeglądu.

Dane kliniczne po wprowadzeniu do obrotu

Dane po wprowadzeniu do obrotu mogą być gromadzone przez producentów, sponsorów, agencje lub inne podmioty. Należy zgłaszać wszystkie dane pozarynkowe dostępne dla sponsora, tj.:

- Liczba sprzedanych jednostek na całym świecie od momentu wprowadzenia na rynek stratyfikowany według roku i kraju/ regionu geograficznego.
- Liczba i rodzaje skarg do producenta dotyczących wyrobu.
- Całkowita liczba zdarzeń niepożądanych (w tym ciężkich zdarzeń niepożądanych) i dane dotyczące bezpieczeństwa, według typu (np. nieprawidłowe działanie wyrobu, błąd użytkowania, nieodpowiedni projekt lub produkcja) i następstw klinicznych (np. zgon, amputacja, wymagany zabieg chirurgiczny, brak szkody dla pacjenta). Powinny one być stratyfikowane według roku dostawy i/lub roku wystąpienia zdarzenia.
- Wszelkie działania regulacyjne, tj. dobrowolne lub obowiązkowe wycofanie z rynku (w tym w celu skorygowania wyrobu), usunięcie, zawieszenie, wycofanie z rynku lub inne działania naprawcze.
- Wszelkie dane z badań klinicznych po wprowadzeniu do obrotu, w tym raporty okresowe i końcowe.

Dane uzyskane po wprowadzeniu wyrobu do obrotu mogą pomóc w uzasadnieniu oświadczeń dotyczących bezpieczeństwa i skuteczności wyrobu oraz identyfikacji, ocenie i ograniczaniu ryzyka. Są one przydatne do identyfikacji mniej powszechnych, ale ciężkich zdarzeń niepożądanych związanych z wyrobem i dostarczają długoterminowych informacji na temat bezpieczeństwa i skuteczności wyrobu medycznego. Dane uzyskane po wprowadzeniu wyrobu do obrotu są szczególnie ważne w przypadku danych klinicznych z innych źródeł lub gdy dane z innych źródeł nie są wystarczająco wiarygodne, aby ustalić korzystny stosunek korzyści do ryzyka stosowania wyrobu medycznego (AG 2023).

Badania w warunkach rzeczywistych (ang. real-world studies)

W niektórych sytuacjach dane z rzeczywistej praktyki klinicznej mogą mieć wystarczającą jakość, a co za tym idzie, wspomóc w określeniu profilu korzyści i ryzyka wyrobów w różnych punktach ich cyklu życia. W takich okolicznościach producent musi przedstawić uzasadnienie dla wykorzystania RWD w ocenie klinicznej wyrobu medycznego. Jednakże nieodpowiednio zaprojektowane/ przeprowadzone badania, niezagregowane dane lub dane, których nie można uogólnić na populację australijską, rzadko stanowią wiarygodne RWE, przydatne w podejmowaniu decyzji przed wprowadzeniem do obrotu. Mogą one jednak służyć jako źródło informacji o komunikatach bezpieczeństwa po wprowadzeniu do obrotu.

W odniesieniu do rzeczywistych dowodów, prospektywne gromadzenie danych z wcześniej określonym projektem i metodyką analiz, w szczególności projekt, w którym istnieje tylko jedna zmienna między ramionami kontrolnym i interwencyjnym, ma większą wagę niż analiza *post hoc* retrospektywnych zbiorów danych (AG 2023).

Rejestry wyrobów medycznych

Rejestry wyrobów medycznych to systematyczne zbiory danych dotyczących wyników uzyskanych po zastosowaniu określonych wyrobów medycznych. Odgrywają one istotną rolę w nadzorze nad wyrobami medycznymi. Mogą one dostarczyć dodatkowych informacji o pacjentach, procedurach i wyrobach, które nie są rutynowo gromadzone za pomocą innych środków. Rejestry mogą dostarczać cennych informacji na temat działania wyrobów w zakresie wyników funkcjonalnych i jakości życia pacjentów. Rejestry wykorzystujące wiele typów urządzeń mogą zapewniać informacje o odpowiednim komparatorze. W przypadku rejestrów dla pojedynczych wyrobów wymagane są komparatory pochodzące z literatury. Korzystanie z rejestrów powinno odpowiednio uwzględniać ograniczenia danych, różnice między rejestrami w odniesieniu do struktury danych i ich analizy oraz populacji (AG 2023).

10.3.6. Ograniczenia w ocenie klinicznej wyrobów medycznych

Na podstawie wyników przeglądu systematycznego zidentyfikowano główne trudności związane z oceną HTA wyrobów medycznych. Aby uzupełnić te obserwacje i zaprezentować pełniejszy obraz problemu, przygotowano szerszy opis tych ograniczeń i specyficznych wyzwań. Rozdział ten przedstawia kluczowe bariery w ocenie HTA wyrobów medycznych.

1. Ograniczenia związane z oceną kliniczną wyrobów medycznych

Ocena technologii medycznych (ang. *Health Technology Assessment,* HTA) w odniesieniu do wyrobów medycznych stanowi obecnie jedno z najbardziej złożonych i dynamicznie rozwijających się obszarów HTA. Wynika to z różnorodności wyrobów medycznych, od prostych narzędzi chirurgicznych po złożone urządzenia elektroniczne i oprogramowanie jako wyrób medyczny (ang. *Software as a Medical Device,* SaMD). Do głównych ograniczeń związanych z oceną HTA wyrobów medycznych należą:

- Brak wytycznych co do rodzaju badań klinicznych wymaganych dla poszczególnych klas wyrobów medycznych.
- Brak jednoznacznych wytycznych dla projektowania badań klinicznych wyrobów medycznych.
- Oparcie dowodów na tzw. "równoważności" z innym wyrobem medycznym (RPEiRM UE 2017, Olberg 2017, Fuchs 2016, Unger 2015).

a) Brak wytycznych co do rodzaju badań klinicznych wymaganych dla poszczególnych klas wyrobów medycznych

Jednym z kluczowych problemów w ocenie klinicznej wyrobów medycznych jest brak jednoznacznych i zróżnicowanych zaleceń dotyczących rodzaju i poziomu danych klinicznych wymaganych dla poszczególnych klas wyrobów. Rozporządzenie (UE) 2017/745 (MDR), mimo że wprowadza zasadę proporcjonalności danych klinicznych do ryzyka związanego z wyrobem, nie określa precyzyjnie, jakie typy badań – takie jak randomizowane badania kontrolowane (ang. *randomized controlled trials*, RCT), badania obserwacyjne, dowody z rzeczywistej praktyki klinicznej (ang. *real-world evidence,* RWE) czy przeglądy literaturowe – są wymagane dla każdej klasy wyrobu. MDR nakłada na producentów wyrobów medycznych obowiązek wykazania bezpieczeństwa i skuteczności wyrobu, ale pozostawia dużą dowolność w sposobie realizacji tego celu, co może prowadzić do znacznej heterogeniczności w dokumentacji klinicznej przedstawianej do oceny.

Wyroby medyczne klasy IIa mogą być dopuszczane do obrotu na podstawie danych literaturowych lub deklaracji równoważności z innym wyrobem medycznym, co może być wystarczające dla urządzeń niskiego ryzyka, jednak nie gwarantuje wysokiej jakości dowodów klinicznych. W przypadku wyrobów medycznych klasy IIb i III, które wiążą się z większym ryzykiem klinicznym, odpowiedniejsze byłyby dane z dobrze zaprojektowanych badań klinicznych, najlepiej randomizowanych. MDR jednak nie precyzuje przedłożenia wyników z badań RCT jako wymogu obligatoryjnego w ocenie klinicznej wyrobów medycznych. W rezultacie, nawet dla wyrobów medycznych wysokiego ryzyka, przedstawiane mogą być dane z rejestrów, badania retrospektywne lub niekontrolowane serie przypadków, co może ograniczać możliwość obiektywnej oceny efektywności klinicznej i porównania z alternatywnymi technologiami.

Dodatkowym problemem jest fakt, że MDR nie dostarcza jednoznacznych wytycznych co do tego, jakie konkretne rodzaje badań są wystarczające w zależności od klasy wyrobu, a interpretacja tych wymagań pozostaje w gestii jednostek notyfikowanych. Prowadzi to do sytuacji, w której różne jednostki mogą różnie oceniać ten sam typ wyrobu medycznego i akceptować odmienne poziomy jakości dowodów. Brak spójnych i jednoznacznych wymagań może skutkować trudnościami w porównywaniu technologii oraz ograniczać możliwość rzetelnej oceny ich wartości klinicznej w ramach HTA (RPEiRM UE 2017, Olberg 2017, Fuchs 2016, Unger 2015).

b) Brak jednoznacznych wytycznych dla projektowania badań klinicznych

Projektowanie badań klinicznych dla wyrobów medycznych jest znacznie mniej uregulowane niż w przypadku leków. Rozporządzenie MDR (2017/745) wymaga przedstawienia danych klinicznych dla wyrobów klasy IIa, IIb i III, jednakże nie precyzuje, w jakiej formie te dane powinny być zbierane ani jakie parametry muszą spełniać prowadzone badania.

Brak zharmonizowanych norm projektowania badań klinicznych oznacza, że producenci mogą dobierać dowolne, nieoptymalne modele badawcze, które nie umożliwiają porównań między produktami. Wyroby medyczne tej samej klasy mogą być oceniane przy użyciu zupełnie odmiennych metodologii, co wpływa negatywnie na ich porównywalność i ocenę przez instytucje HTA.

Dodatkową trudnością jest heterogeniczność kliniczna wyrobów medycznych, których działanie może zależeć od umiejętności operatora, warunków klinicznych lub integracji z innymi technologiami. W takich przypadkach tradycyjne metody randomizacji czy zaślepienia nie są łatwe, a w wielu przypadkach nawet niemożliwe do zastosowania (RPEiRM UE 2017, Olberg 2017, Fuchs 2016, Unger 2015).

c) Oparcie dowodów na tzw. "równoważności" z innym wyrobem

Wielu producentów wyrobów medycznych, zwłaszcza przed wejściem w życie MDR, korzystało z możliwości przedstawienia dowodów klinicznych na podstawie tzw. „równoważności” z innym, już dopuszczonym do obrotu wyrobem medycznym (ang. *equivalence*). Procedura ta polegała na założeniu, że jeśli nowy wyrób medyczny jest technicznie i biologicznie podobny do istniejącego już produktu o znanym profilu klinicznym, to można przyjąć, że będzie on wykazywał podobną skuteczność i bezpieczeństwo. Jednak podejście to nie odzwierciedla realnej skuteczności klinicznej ocenianego wyrobu medycznego.

Wiele przypadków „równoważności” opierało się na deklaracjach producenta, bez niezależnej weryfikacji danych dotyczących ocenianego wyrobu oraz bez poparcia wynikami badań porównawczych, co rodziło ryzyko dopuszczenia do obrotu wyrobów medycznych o nieznanym profilu działania.

W związku z powyższym istnieją wątpliwości etyczne i naukowe, czy „równoważność” jest wystarczającą podstawą do wprowadzenia do obrotu nowego wyrobu medycznego, zwłaszcza w przypadku wyższych klas wyrobów medycznych (IIb, III), które mają bezpośredni wpływ na zdrowie i życie pacjentów.

Choć MDR znacznie ograniczyło możliwość korzystania z tej ścieżki proceduralnej (obecnie możliwa jest tylko pod restrykcyjnymi warunkami i z dostępem do pełnej dokumentacji porównywanego wyrobu), to w praktyce wiele wyrobów obecnych na rynku nadal opiera się na wcześniejszych zgłoszeniach opartych o "*equivalence*", co osłabia bazę dowodową ich skuteczności (RPEiRM UE 2017, Olberg 2017, Fuchs 2016, Unger 2015).

2. Ograniczenia związane z prowadzeniem i projektowaniem badań RCT dla wyrobów medycznych

Randomizowane badania kontrolowane (RCT) stanowią uznany standard w ocenie skuteczności interwencji medycznych, szczególnie w farmakoterapii, gdzie pozwalają na minimalizację błędów systematycznych i umożliwiają jednoznaczną interpretację zależności przyczynowo-skutkowych. Jednak w przypadku wyrobów medycznych, a zwłaszcza tych o charakterze implantacyjnym, interwencyjnym czy technologicznym, projektowanie i realizacja RCT wiąże się z wieloma ograniczeniami praktycznymi,

metodologicznymi i etycznymi, które podważają możliwość szerokiego stosowania tego modelu badań w tej dziedzinie (Unger 2015, Paez 2015, Fleetcroff 2021, Cook 2009, Bernard 2014).

Jedną z głównych barier w prowadzeniu i projektowaniu badań RCT dla wyrobów medycznych są problemy natury etycznej. W przypadkach, gdy wyrób medyczny jest stosowany w sytuacjach zagrożenia życia lub jego celem jest trwała interwencja, np. implantacja stymulatora serca, zastawki czy endoprotezy, trudne lub wręcz niemożliwe staje się wprowadzenie do badania klinicznego klasycznej grupy placebo lub grupy kontrolnej pozbawionej interwencji. O ile w farmakologii możliwe jest stosowanie w grupie placebo środków wizualnie identycznych do tych stanowiących interwencję, o tyle w chirurgii czy intensywnej terapii zastosowanie „pozornej operacji" rodzi poważne wątpliwości etyczne i może nie być dopuszczone przez komisje bioetyczne. W efekcie wiele badań klinicznych dla wyrobów medycznych prowadzonych jest w układzie nierandomizowanym, otwartym lub z zastosowaniem historycznej grupy porównawczej, co znacząco obniża jakość dowodów w hierarchii EBM (ang. *evidence-based medicine*).

Kolejną trudnością jest brak możliwości skutecznego zaślepienia (ang. *blinding*), zarówno pacjentów, jak i operatorów. W przypadku wielu wyrobów medycznych – zwłaszcza tych stosowanych w procedurach zabiegowych – zarówno pacjent, jak i lekarz z góry wiedzą, jaki wyrób medyczny został zastosowany. Dotyczy to m.in. narzędzi chirurgicznych, systemów robotycznych, stentów, implantów czy technologii obrazowania. Brak zaślepienia naraża badanie kliniczne na subiektywne oceny skuteczności i ryzyko wystąpienia tzw. efektu oczekiwań (ang. *expectancy bias*), co podważa wiarygodność wyników.

Złożoność interwencji z wykorzystaniem wyrobu medycznego stanowi kolejne znaczące wyzwanie. W odróżnieniu od leków, których działanie jest w dużej mierze niezależne od użytkownika, skuteczność wyrobów medycznych zależy często od doświadczenia operatora. Wprowadza to tzw. efekt krzywej uczenia się (ang. *learning curve*), który wpływa na wyniki badań klinicznych, zwłaszcza na ich wczesnym etapie. Różnice w poziomie wyszkolenia, rutynie operacyjnej i technice mogą skutkować wysoką zmiennością rezultatów, co utrudnia uzyskanie jednorodnych danych i wiarygodnej analizy porównawczej.

Wyzwanie stanowi również szybki cykl innowacyjny wyrobów medycznych. W trakcie trwania badania klinicznego – które często może trwać nawet kilka lat – technologia może ulec znaczącym modyfikacjom, włącznie z aktualizacją oprogramowania, zmianą materiałów, ulepszeniem konstrukcji czy pojawieniem się nowej generacji wyrobu. Powoduje to, że uzyskane wyniki mogą dotyczyć wersji, która już nie jest dostępna na rynku, co ogranicza ich przydatność decyzyjną i kliniczną. Ten problem jest szczególnie istotny w przypadku wyrobów elektronicznych oraz systemów cyfrowych, w których rozwój technologiczny postępuje wyjątkowo dynamicznie.

Ostatnią barierą jest ograniczony dostęp do odpowiednio licznej i jednorodnej populacji pacjentów. W przypadku wyrobów medycznych stosowanych w terapii rzadkich schorzeń, chorób o niskiej prewalencji lub u wąskich grup wiekowych (np. dzieci), rekrutacja do randomizowanego badania klinicznego staje się nie tylko kosztowna, ale często niemożliwa do zrealizowania. Dotyczy to również sierocych wyrobów medycznych, dla których przeprowadzenie klasycznego RCT może być nieosiągalne z uwagi na małą liczebność grupy docelowej. W takich przypadkach możliwe jest jedynie gromadzenie danych z rejestrów, badań jednoośrodkowych lub obserwacyjnych, co jednak znacznie ogranicza wiarygodność dowodów.

W kontekście ograniczeń przeprowadzania badań RCT, rośnie znaczenie dowodów RWE, które – przy odpowiednim projektowaniu i analizie – mogą dostarczyć wiarygodnych informacji o skuteczności klinicznej w rzeczywistych warunkach(Unger 2015, Paez 2015, Fleetcroff 2021, Cook 2009, Bernard 2014).

3. Specyfika oceny klinicznej elektronicznych urządzeń medycznych

Postępująca cyfryzacja systemu ochrony zdrowia, w tym rozwój elektronicznych urządzeń medycznych, takich jak aplikacje mobilne, systemy telemonitoringu, algorytmy sztucznej inteligencji oraz urządzenia typu „*wearable"*, wnosi do oceny klinicznej szereg nowych wyzwań, które nie znajdują jeszcze odzwierciedlenia w ugruntowanych ramach regulacyjnych i metodologicznych (Vis 2020, Izmailova 2018, Izmailova 2019, Hellmeier 2024).

Kluczową trudnością jest sama klasyfikacja tego typu technologii – wiele cyfrowych narzędzi znajduje się na pograniczu wyrobów medycznych i produktów *wellness*, co rodzi wątpliwości co do ich kwalifikacji do odpowiedniej klasy ryzyka zgodnie z rozporządzeniem MDR. Przykładowo, aplikacje monitorujące rytm serca czy poziom glukozy we krwi mogą pełnić funkcje diagnostyczne lub terapeutyczne, ale sposób ich działania oraz deklarowany cel może wpływać na klasyfikację, która z kolei warunkuje wymagania dotyczące danych klinicznych.

Kolejnym problemem jest brak standaryzacji danych zbieranych przez urządzenia cyfrowe. Dane generowane przez czujniki, aplikacje lub urządzenia noszone często pochodzą z niejednorodnych źródeł, są

pozyskiwane w różnych warunkach środowiskowych i od użytkowników o odmiennych cechach demograficznych i klinicznych, co utrudnia ich walidację oraz agregację w sposób umożliwiający przeprowadzenie rzetelnej analizy skuteczności klinicznej. Ponadto, interwencja w przypadku cyfrowych wyrobów medycznych nie jest jednorodna – wiele z nich zmienia swoje działanie w czasie, w wyniku dynamicznych aktualizacji oprogramowania, co wprowadza dodatkową zmienność w analizowanych efektach klinicznych. W odróżnieniu od klasycznych wyrobów mechanicznych czy implantów, których właściwości są ustalone na etapie produkcji, elektroniczne urządzenia medyczne mogą znacząco modyfikować swoje funkcje lub sposób działania już po dopuszczeniu do obrotu, co stwarza nowe wyzwania dla oceny długoterminowej skuteczności i bezpieczeństwa.

Znaczącą barierą w ocenie klinicznej takich technologii jest również walidacja zastosowanych algorytmów, zwłaszcza w przypadku rozwiązań opartych na uczeniu maszynowym. Modele predykcyjne lub diagnostyczne, choć często skuteczne w warunkach laboratoryjnych lub na wybranych zestawach danych, mogą działać inaczej w populacjach rzeczywistych. Algorytmy „uczące się" w czasie rzeczywistym mogą zmieniać swoje działanie w sposób trudny do jednoznacznego skontrolowania, co ogranicza możliwość przewidywania ich wpływu na wynik zdrowotny i utrudnia przypisanie efektu klinicznego do konkretnej wersji wyrobu. W praktyce oznacza to, że urządzenia bazujące na AI (ang. *Artificial Intelligence*) wymagają ciągłego nadzoru klinicznego i mogą nie spełniać tradycyjnych kryteriów dowodowych przyjętych w HTA.

Ostatecznie, znaczna część dostępnych danych klinicznych dla elektronicznych wyrobów medycznych pochodzi z badań obserwacyjnych, studiów użyteczności lub analiz typu RWE, które choć wartościowe w kontekście zrozumienia sposobu użycia technologii, nie są wystarczające do oceny skuteczności w sensie przyczynowo-skutkowym. Brak randomizowanych badań kontrolowanych jest zrozumiały z uwagi na specyfikę tych technologii, jednak ogranicza możliwość pełnego porównania ich efektywności z alternatywnymi rozwiązaniami i budzi uzasadnione wątpliwości w kontekście decyzji refundacyjnych. Z powodu powyższych trudności, ocena kliniczna urządzeń cyfrowych wymaga nowych, elastycznych ram metodologicznych, uwzględniających unikalny charakter tych wyrobów oraz dynamiczny rozwój technologiczny (Vis 2020, Izmailova 2018, Izmailova 2019, Hellmeier 2024).

4. Wyzwania w ocenie sierocych wyrobów medycznych

Sieroce wyroby medyczne, przeznaczone do leczenia lub wspomagania terapii chorób rzadkich, stanowią szczególną kategorię technologii zdrowotnych, których ocena kliniczna napotyka poważne ograniczenia natury metodologicznej, regulacyjnej i etycznej.

Największym wyzwaniem jest mała liczebność populacji pacjentów, do której skierowana jest dana technologia medyczna. Rzadkość występowania schorzeń objętych wskazaniem powoduje, że prowadzenie klasycznych randomizowanych badań kontrolowanych staje się często niemożliwe zarówno ze względów logistycznych, jak i etycznych. Trudności w rekrutacji odpowiedniej liczby uczestników sprawiają, że badania kliniczne mają najczęściej charakter otwartych, nierandomizowanych analiz kohortowych lub serii przypadków, co przekłada się na niższą jakość dowodów.

Dodatkowym problemem jest często całkowity brak technologii alternatywnych, co oznacza, że nie istnieją realne komparatory do przeprowadzenia analiz porównawczych. W takich przypadkach niemożliwe staje się zastosowanie standardowych podejść do oceny relatywnej skuteczności, takich jak pośrednie porównania czy metaanalizy, co ogranicza możliwość oceny przewagi klinicznej wyrobu w stosunku do dostępnych terapii (lub ich braku). Brak komparatora utrudnia również oszacowanie kosztu jednostkowego przyrostu efektu zdrowotnego, co wpływa na trudności w przeprowadzeniu pełnych analiz kosztów-efektywności w ramach oceny HTA.

Z powodu niewielkiej liczby użytkowników sierocych wyrobów medycznych, dane dotyczące ich stosowania są często rozproszone i fragmentaryczne, co skutkuje brakiem informacji o efektach długoterminowych. Dane te mogą pochodzić z rejestrów pacjentów, obserwacji retrospektywnych lub dokumentacji medycznej, ale rzadko umożliwiają ocenę trwałości efektu terapeutycznego lub profilu bezpieczeństwa w okresie dłuższym niż kilka miesięcy. Brak wiedzy o możliwych późnych działaniach niepożądanych jest szczególnie problematyczny w przypadku wyrobów implantowalnych, gdzie oczekiwany czas działania obejmuje wiele lat.

Nie bez znaczenia jest również trudność w uogólnianiu wyników badań klinicznych prowadzonych w populacjach z chorobami rzadkimi. Ze względu na heterogeniczność kliniczną i genotypową pacjentów z chorobami rzadkimi oraz zróżnicowanie fenotypów nawet w obrębie jednej jednostki chorobowej, uzyskane wyniki często nie mogą być bezpośrednio przenoszone na inne grupy pacjentów. Niejednorodność przypadków, połączona z niewielką liczebnością próby, znacznie ogranicza moc statystyczną analiz i wpływa

na niepewność co do rzeczywistej skuteczności i bezpieczeństwa wyrobu medycznego w praktyce klinicznej. Ponadto, wyroby te często są stosowane w warunkach wysoce specjalistycznych, w niewielkiej liczbie ośrodków, co sprawia, że dostęp do danych rzeczywistych (RWE) jest bardzo ograniczony (Szegedi 2018, Mokhtarzadeh 2016, Melvin 2023, Melvin 2024).

Z uwagi na powyższe problemy, ocena sierocych wyrobów medycznych wymaga zastosowania elastycznych podejść metodologicznych, w tym akceptacji danych nieeksperymentalnych, wykorzystania metod bayesowskich, modelowania ekonometrycznego oraz szerszego uwzględniania opinii ekspertów klinicznych. Zasadne może być również wdrażanie mechanizmów typu *„coverage with evidence development”*, które umożliwiają warunkowe finansowanie wyrobu przy równoczesnym zobowiązaniu do dalszego gromadzenia danych. Pomimo ograniczeń, Europejska Agencja Leków (ang. *European Medicines Agency*, EMA) oraz EUnetHTA (Europejska Sieć ds. Oceny Technologii Medycznych, ang. *European Network for Health Technology Assessment*) rozwijają narzędzia HTA dla chorób rzadkich. Tylko poprzez dopasowanie ram oceny HTA do specyfiki technologii sierocych możliwe jest zapewnienie uczciwego i adekwatnego procesu decyzyjnego (Szegedi 2018, Mokhtarzadeh 2016, Melvin 2023, Melvin 2024).

Podsumowanie

Choć RCT pozostają metodą najbardziej oczekiwaną z punktu widzenia metodologii, ich zastosowanie w praktyce badań nad wyrobami medycznymi jest mocno ograniczone. Ograniczenia te powinny być uwzględniane zarówno przez instytucje regulacyjne, jak i agencje HTA, które stoją przed wyzwaniem oceny skuteczności i bezpieczeństwa technologii w warunkach ograniczonej lub niepełnej bazy dowodowej. Konieczne jest więc rozwijanie alternatywnych podejść metodologicznych, uwzględniających specyfikę wyrobów, takich jak adaptacyjne modele badań, analiza danych rzeczywistych (RWE) oraz zaawansowane metody statystyczne kompensujące brak randomizacji.

10.4. Charakterystyka ścieżek dostępu do wyrobów medycznych w Polsce

10.4.1. Ścieżka 1: Proces objęcia wyrobu medycznego refundacją w ramach refundacji aptecznej

W celu umieszczenia wyrobu medycznego na *Obwieszczeniu Ministra Zdrowia w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych* (tj. wykazie wyrobów medycznych dostępnych w aptece na receptę w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń lub we wskazaniu określonym stanem klinicznym) konieczne jest złożenie przez podmiot odpowiedzialny wniosku inicjującego do Ministra Zdrowia. Podmiot gospodarczy rozumiany jest jako producent, upoważniony przedstawiciel, importer, dystrybutor wyrobu medycznego. Wniosek, składany jest zgodnie z zasadami określonymi w *Ustawie o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych*. Procedura ta wszczyna postępowanie administracyjne, które kończy się wydaniem przez Ministra Zdrowia decyzji o objęciu refundacją i ustaleniu ceny zbytu netto wyrobu medycznego w terminie **180 dni**.

Minister Zdrowia, mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, wydaje decyzję administracyjną o objęciu refundacją, przy uwzględnieniu kilkunastu kryteriów: (1) stanowiska Komisji Ekonomicznej, (2) rekomendacji Prezesa AOTMiT, (3) istotności stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek o objęcie refundacją, (4) skuteczności klinicznej i praktycznej, (5) bezpieczeństwa stosowania, (6) relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania, (7) stosunku kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotychczas refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, w porównaniu z wnioskowanym, (8) konkurencyjności cenowej, (9) wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców, (10) istnienia alternatywnej technologii medycznej, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania, (11) wiarygodności i precyzji oszacowań kryteriów, wskazanych pkt (3)-(10), (12) mapy potrzeb zdrowotnych, (13) wysokości progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, ustalonego w wysokości trzykrotności PKB na jednego mieszkańca, a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu - koszt uzyskania dodatkowego roku życia, (14) zobowiązania do zapewnienia ciągłości dostaw; biorąc pod uwagę inne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym procedury medyczne, które mogą być zastąpione przez wnioskowany wyrób medyczny.

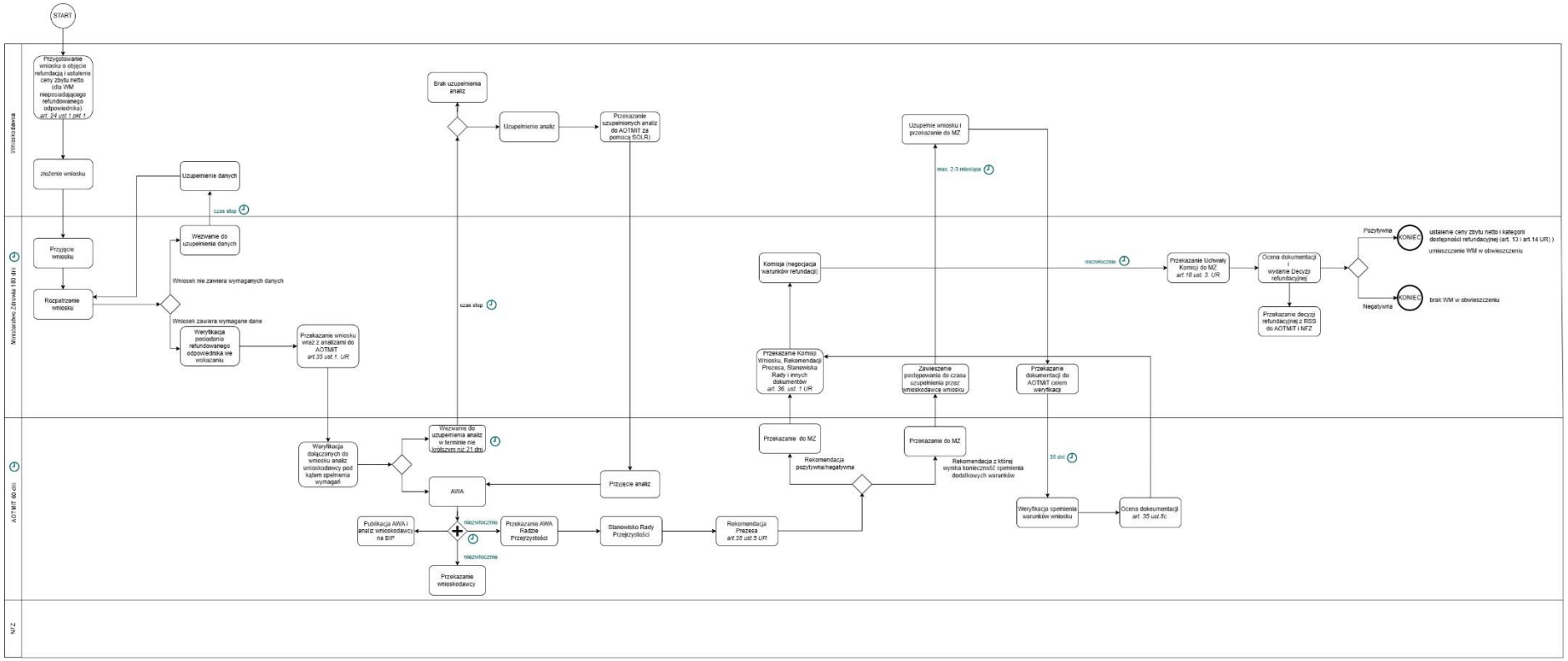
Minister Zdrowia przekazuje wniosek o refundację dla leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, który nie ma odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu, inicjujący wraz z analizami wnioskodawcy Prezesowi AOTMiT w celu przygotowania analizy weryfikacyjnej Agencji, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa Agencji. Sposób i procedury przygotowania Analizy Weryfikacyjnej AOTMiT oraz wysokość opłaty za tę analizę określa *Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 18 grudnia 2013 r. w sprawie sposobu i procedur przygotowania analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji oraz wysokości opłaty za tę analizę* (Dz.U.2023 r., poz.545). Rekomendacja jest przekazywana przez Prezesa Agencji Ministrowi Zdrowia w terminie nie dłuższym niż **60 dni** od dnia otrzymania wniosku, chyba, że załączone do wniosku analizy nie spełniają wymagań minimalnych, Prezes Agencji wzywa wnioskodawcę za pomocą Systemu Obsługi List Refundacyjnych (dalej SOLR) do uzupełnienia analiz, wyznaczając mu termin nie krótszy niż **21 dni** na uzupełnienie dokumentacji, a bieg terminów ulega zawieszeniu.

Rekomendacja Prezesa AOTMiT, wraz z Analizą Weryfikacyjną Agencji, wnioskiem, stanowiskiem Rady Przejrzystości oraz innymi dokumentami stanowiącymi podstawę jej opracowania, jest przekazywana przez Ministra Zdrowia Komisji Ekonomicznej w celu przeprowadzenia negocjacji warunków objęcia refundacją.

Wykaz wyrobów medycznych objętych finansowaniem publikowany jest co 3 miesiące. Wykaz ten określa między innymi: dokładne określenie wyrobu medycznego, zastosowania w których jest refundowany, jego cenę zbytu netto, wysokość dopłaty pacjenta (poziom odpłatności), okres przez jaki dany wyrób medyczny podlega refundacji. Jednocześnie dla produktów znajdujących się na tym wykazie przewidziano sztywne ceny i marże na każdym etapie obrotu tymi produktami. Sztywne ceny wskazane są na wykazie, natomiast wysokość marż została określona w *Ustawie o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.* Oznacza to, że nie jest możliwe dokonywanie sprzedaży tych produktów po cenach innych niż wynikające z wykazu z uwzględnieniem sztywnej marży.

Decyzja dotycząca objęcia refundacją i ustalenia ceny zbytu netto wydawana jest na okres 2 lub 3 lat. Po tym okresie, jeżeli dany wyrób medyczny ma być w dalszym ciągu finansowany ze środków publicznych, konieczne jest złożenie kolejnego wniosku i na jego podstawie uzyskanie kolejnej pozytywnej decyzji Ministra Zdrowia.

Rysunek 14. Proces objęcia wyrobu medycznego refundacją w ramach refundacji aptecznej



10.4.2. Ścieżka 2: Proces objęcia wyrobu medycznego refundacją w ramach zlecenia

Wyroby medyczne wydawane na zlecenie finansowane są w całości lub częściowo (z dopłatą ze strony pacjenta) na podstawie *Rozporządzenia MZ w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie.* Zgodnie z *Ustawą o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych* (UR), Minister Zdrowia określa, w drodze rozporządzenia, wykaz wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie: (1) osoby uprawnionej, (2) pielęgniarki i położnej – z określeniem limitów ich finansowania ze środków publicznych i wysokości udziału własnego świadczeniobiorcy w tym limicie i kryteria ich przyznawania, a także (3) okresy użytkowania oraz limity cen ich napraw – uwzględniając skuteczność i bezpieczeństwo ich stosowania, sposób ich wytwarzania, oraz możliwości płatnicze podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń opieki zdrowotnej ze środków publicznych.

Ustawa nie precyzuje poszczególnych etapów procesu ani nie wskazuje ram czasowych nowelizacji wykazu.

Komentarz AOTMiT: Komentarz AOTMiT: W praktyce, Minister Zdrowia ma możliwość zlecenia Prezesowi AOTMiT przygotowanie raportu na podstawie art. 31n pkt. 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych dotyczącego zakwalifikowania świadczenia gwarantowanego z zakresu zaopatrzenia w wyroby medyczne, na zlecenie osoby uprawnionej, oraz ich naprawy, o których mowa w UR. Raport może zostać przedstawiany Radzie Przejrzystości, która wydaje opinię w przedmiotowej sprawie; na podstawie zlecenia wydawana jest opinia Prezesa Agencji.

Z informacji odnalezionych na stronie Rządowego Centrum Legislacji, nowelizacja UR przewiduje wprowadzenie cyklicznego przeglądu rozporządzenia, nie rzadziej niż raz na dwa lata.

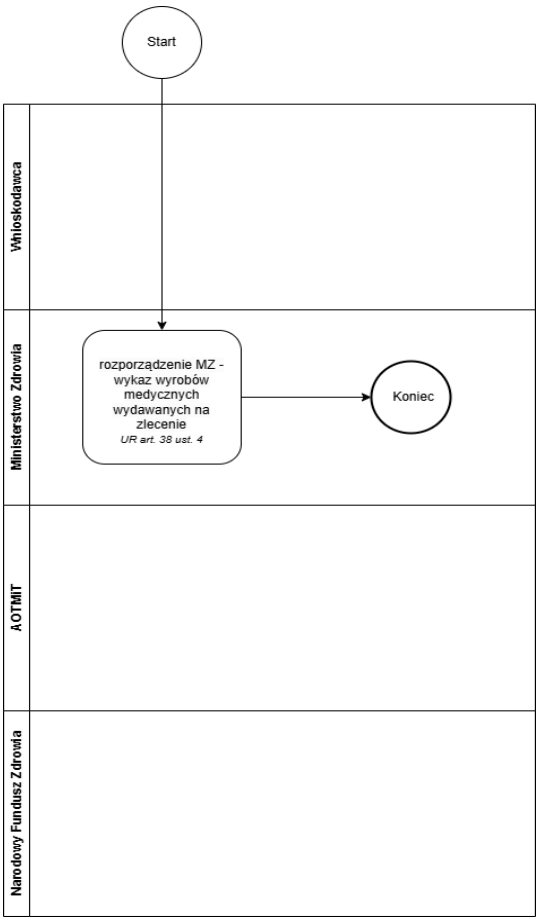
Komentarz TECHNOMED: Zakres przeglądu nie jest doprecyzowany, co niesie za sobą ryzyko braku wdrażania nowych technologii. Każdy projekt rozporządzenia podlega konsultacjom publicznym w ramach których podmioty mogą zgłaszać swoje propozycje i uwagi. Jednakże szansa na wdrożenie w tej opcji innych technologii niż wskazane jest mała. Przepisy nie wymagają, co do zasady, przygotowania raportu przez AOTMiT.

Ścieżka dostępu do wyrobów na zlecenie dla pacjenta składa się z trzech etapów:

1. Wystawienie zlecenia przez osobę do tego uprawnioną. Podstawą zrealizowania prawa do tego świadczenia gwarantowanego jest prawidłowo wystawione elektroniczne zlecenie. Minister zdrowia określa, w drodze rozporządzenia, szczegółowy zakres informacji zawartych w zleceniu oraz jego wzór.
2. Weryfikacja zlecenia i potwierdzenie prawa do świadczeń przez NFZ. Odbywa się ona w *Systemie Obsługi Procesu Elektronicznego Weryfikowania i Potwierdzania Zlecenia na Zaopatrzenie w Wyroby Medyczne* (eZWM).
3. Realizacja zlecenia u świadczeniodawcy i zakup wyrobu medycznego.

W przypadku uzyskania pozytywnej weryfikacji zlecenia przez NFZ możliwa jest realizacja i zakup wyrobu przez pacjenta z uwzględnieniem określonego w rozporządzeniu poziomu dopłaty.

Rysunek 15. Proces objęcia wyrobu medycznego refundacją w ramach zlecenia



10.4.3. Ścieżka 3: Proces kwalifikacji świadczenia jako świadczenia gwarantowanego (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego)

W świetle aktualnych regulacji prawnych inicjatywa w zakresie zakwalifikowania nowej technologii medycznej – w tym świadczenia z zastosowaniem wyrobu medycznego – jako świadczenia gwarantowanego należy wyłącznie do Ministra Zdrowia.

Komentarz AOTMiT: W praktyce wnioski o wprowadzenie nowego świadczenia zgłaszane są przez Konsultantów krajowych, towarzystwa naukowe oraz organizacje pacjenckie.

Zgodnie z art. 31c ust. 1 *Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej*, Minister Zdrowia zleca Prezesowi AOTMiT przygotowanie rekomendacji dla danego świadczenia, wraz z określeniem poziomu finansowania w sposób kwotowy albo procentowy lub poprzez wskazanie sposobu jego finansowania. Zlecenie kierowane do AOTMiT zawiera opis świadczenia opieki zdrowotnej oraz opis choroby i stanu zdrowia, w których jest udzielane, i jego wpływie na poprawę zdrowia obywateli. Ustawodawca nie przewidział wymagalnego czasu realizacji oceny zgodnie z art. 31c, natomiast w praktyce termin realizacji danego zlecenia wskazuje Minister Zdrowia. Ustawa wskazuje podmioty, od których Prezes Agencji zasięga opinii, tj. Konsultantów krajowych z dziedziny medycyny odpowiedniej dla danego świadczenia opieki zdrowotnej w zakresie oraz Prezesa Funduszu.

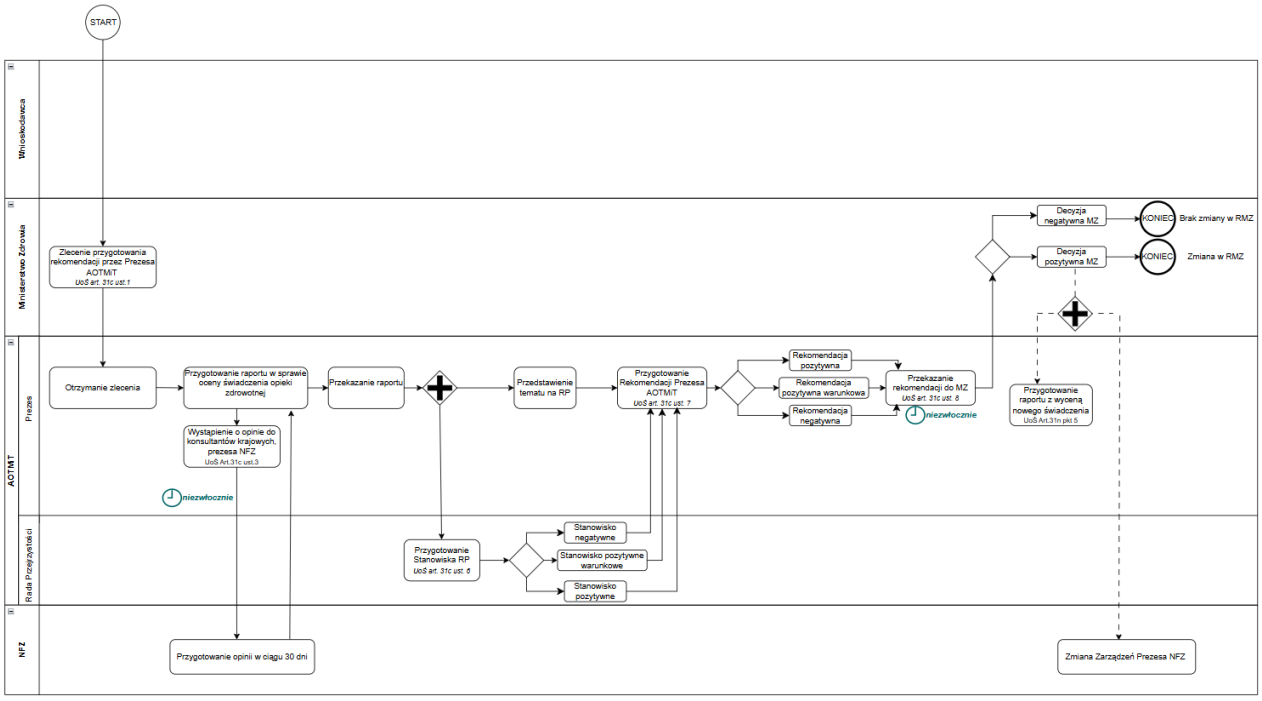
Ocena wnioskowanego świadczenia dokonywana jest przez AOTMiT w oparciu o kryteria określone w art. 31 a ust 1 *Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej*, obejmujące: (1) wpływ na poprawę zdrowia obywateli przy uwzględnieniu mapy potrzeb zdrowotnych oraz wskaźników zapadalności, chorobowości lub śmiertelności określonych na podstawie aktualnej wiedzy medycznej, (2) skutki następstw choroby lub stanu zdrowia, (3) znaczenie dla zdrowia obywateli, (4) skuteczność kliniczną i bezpieczeństwo, (5) stosunek uzyskiwanych korzyści zdrowotnych do ryzyka zdrowotnego, (6) stosunek kosztów

do uzyskiwanych efektów zdrowotnych, (7) skutki finansowe dla systemu ochrony zdrowia, w tym dla podmiotów zobowiązanych do finansowania świadczeń opieki zdrowotnej ze środków publicznych.

AOTMiT przygotowuje raport analityczny z prac w oparciu o metodykę zgodną z zasadami EBM (ang. Evidence-based Medicine) oraz HTA (ang. Health Technology Assessment), którego wyniki przedstawiane są Radzie Przejrzystości. Rada po zapoznaniu się z raportem analitycznym, opinią konsultantów krajowych i prezesa NFZ oraz odsłuchaniu prezentacji materiałów analitycznych przez analityków AOTMiT (podczas cotygodniowych posiedzeń Rady), przygotowuje i przedstawia swoje stanowisko. Prezes AOTMiT biorąc pod uwagę stanowisko Rady Przejrzystości oraz kryteria kwalifikacji wydaje rekomendację (która niezwłocznie przekazuje Ministrowi Zdrowia). Ostateczna decyzja o kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego jest dokonywana przez Ministra Zdrowia.

Komentarz AOTMiT: Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej nie określa dalszego sposobu postępowania w ocenianej sprawie, w tym nie precyzuje ramowego czasu decyzji Ministra Zdrowia, co do kwalifikacji świadczenia do wykazu świadczeń gwarantowanych. W przypadku pozytywnej decyzji, pracownicy odpowiedniego Departamentu Ministerstwa Zdrowia (wg. stanu na 31 marca 2025 r. – Departamentu Lecznictwa) przygotowują projekt zmiany Rozporządzenia, w zakresie adekwatnym dla przedmiotu sprawy (zakresy rozporządzeń Ministra Zdrowia określono na podstawie art. 15 ust. 2 pkt 1- 8 i 10-13 *Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej*). Po publikacji zmiany ww. rozporządzenia Ministra Zdrowia, Prezes Funduszu wydaje zarządzenie określające warunki realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej.

Rysunek 16. Proces kwalifikacji świadczenia jako świadczenie gwarantowane (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego)



10.4.4. Ścieżka 4: Proces zmiany technologii medycznej finansowanej ze środków publicznych (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego)

Podmiotem inicjującym proces zmiany technologii medycznej, tj. przypisania interwencji (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego) do określonego wskazania klinicznego jest wyłącznie Minister Zdrowia. Zmiana technologii medycznych dotyczy świadczeń objętych finansowaniem ze środków publicznych. Zgodnie z art. 31e ust. 1 pkt 2 *Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej*, Minister Zdrowia

zleca Prezesowi AOTMiT przygotowanie rekomendacji dotyczącej zmiany technologii. Ustawodawca nie przewidział wymagalnego czasu realizacji oceny zgodnie z art. 31e. *(Komentarz AOTMiT: w praktyce termin realizacji danego zlecenia wskazuje Minister Zdrowia).*

W *Ustawie o świadczeniach opieki zdrowotnej* nie określono podmiotu lub podmiotów uprawnionych do wnioskowania do Ministra Zdrowia o zmianę technologii medycznej.

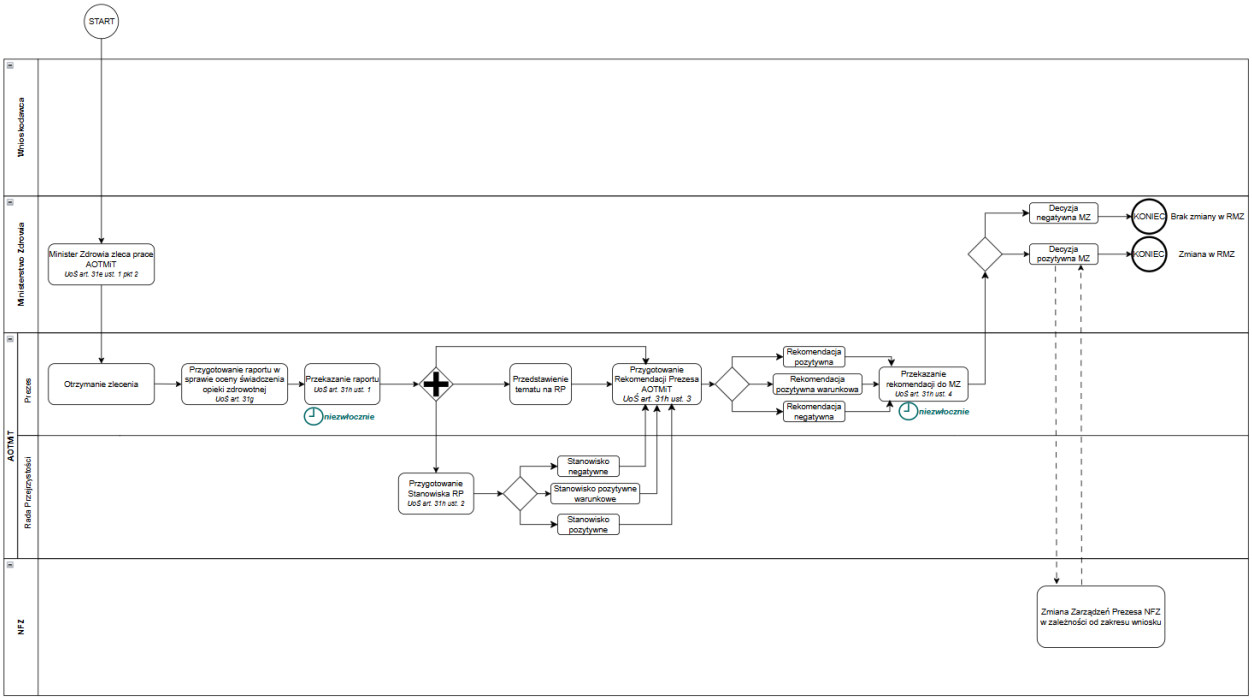
Komentarz AOTMiT: *W praktyce wnioski o wprowadzenie nowego świadczenia mogą być przedkładane do Ministra Zdrowia przez wszystkich uczestników systemu ochrony zdrowia – praktycznie są one zgłaszane przez konsultantów krajowych, towarzystwa naukowe oraz organizacje pacjenckie.*

Ocena wnioskowanego świadczenia dokonywana jest przez AOTMiT w oparciu o kryteria określone w art. 31 a ust 1 *Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej*, wskazane powyżej.

AOTMiT przygotowuje raport analityczny z prac w oparciu o metodykę zgodną z zasadami EBM (ang. *Evidence-based Medicine*) oraz HTA (ang. *Health Technology Assessment*), którego wyniki przedstawiane są Radzie Przejrzystości. Rada po zapoznaniu się z raportem analitycznym oraz odsłuchaniu prezentacji materiałów analitycznych przez analityków AOTMiT (podczas cotygodniowych posiedzeń Rady), przygotowuje i przedstawia swoje stanowisko. Prezes AOTMiT biorąc pod uwagę stanowisko Rady Przejrzystości wydaje rekomendację w sprawie zasadności zmiany technologii medycznej. Prezes Agencji niezwłocznie przekazuje rekomendację Ministrowi Zdrowia. Ostateczna decyzja dokonywana jest przez Ministra Zdrowia. Zlecenie, raport w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej oraz stanowiska i rekomendacje są zamieszczanie na stronie internetowej Agencji oraz w Biuletynie Informacji Publicznej Agencji na zasadach określonych w przepisach o dostępie do informacji publicznej.

Komentarz AOTMiT: Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej nie określa dalszego sposobu postępowania w ocenianej sprawie, w tym nie precyzuje ramowego czasu decyzji Ministra Zdrowia dotyczącej zmiany technologii medycznej. W przypadku jednak pozytywnej decyzji, pracownicy odpowiedniego Departamentu Ministerstwa Zdrowia (wg. stanu na 31 marca 2025 r. – Departamentu Lecznictwa) przygotowują projekt zmiany Rozporządzenia, w zakresie adekwatnym dla przedmiotu sprawy (zakresy rozporządzeń określanym przez Ministra Zdrowia określono na podstawie art. 15 ust. 2 pkt 1- 8 i 10- 13 Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej).

Rysunek 17. Proces zmiany technologii medycznej finansowanej ze środków publicznych (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego)



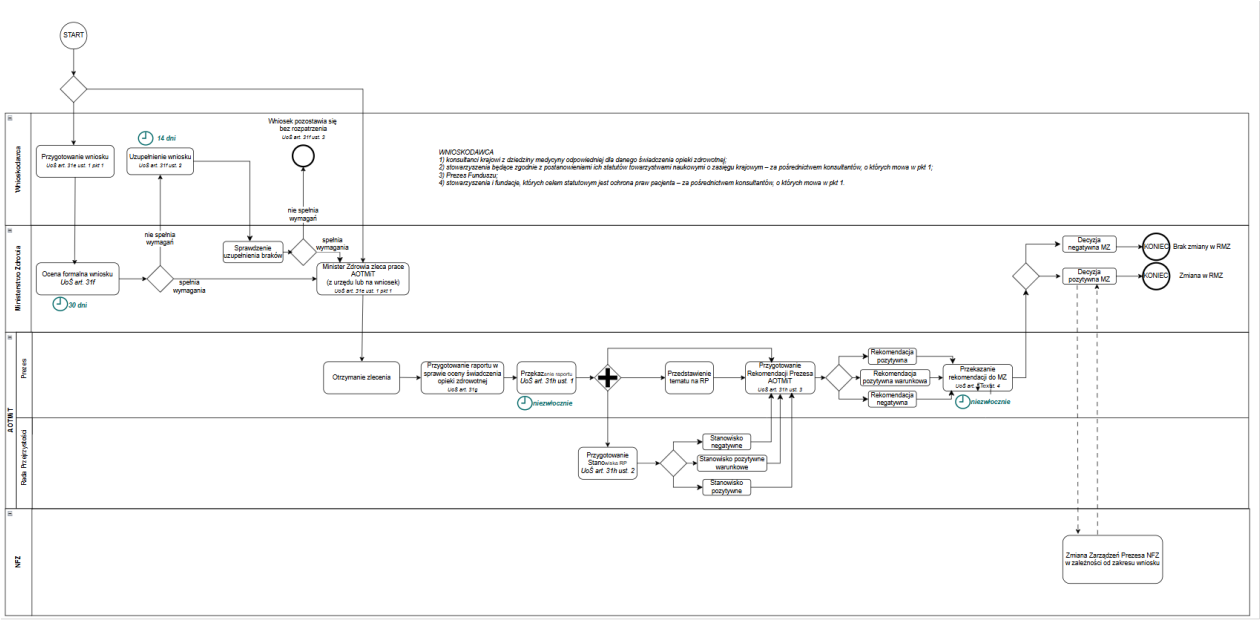
10.4.5. Ścieżka 5: Proces usunięcia świadczenia (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego) z wykazu świadczeń gwarantowanych

Na podstawie art. 31e ust. 1 pkt 1 *Ustawy o świadczeniach* Minister właściwy do spraw zdrowia może usunąć dane świadczenie opieki zdrowotnej z wykazu świadczeń gwarantowanych albo dokonać zmiany poziomu lub sposobu finansowania lub warunków realizacji świadczenia gwarantowanego, działając z urzędu lub na wniosek.

Proces usunięcia świadczenia (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego) z wykazu świadczeń gwarantowanych nie jest bezpośrednio związany z mechanizmem dostępu do nowych wyrobów medycznych, jednak jest jedynym procesem opisanym w *Ustawie o świadczeniach*, dotyczącym zmian w wykazie świadczeń gwarantowanych, którego ścieżka postępowania precyzuje wnioskodawcę inicjującego proces, wymagania formalne wniosku oraz termin na opiniowanie wniosku przez MZ. Dalsza ścieżka podstępowania jest analogiczna jak w przypadku zmiany technologii.

Wśród wnioskodawców ustawodawca przewidział: (1) Konsultantów krajowych z dziedziny medycyny odpowiedniej dla danego świadczenia opieki zdrowotnej, (2) stowarzyszenia będące zgodnie z postanowieniami ich statutów towarzystwami naukowymi o zasięgu krajowym - za pośrednictwem Konsultantów, (3) Prezesa Funduszu, (4) stowarzyszenia i fundacje, których celem statutowym jest ochrona praw pacjenta – za pośrednictwem Konsultantów.

Rysunek 18. Proces usunięcia świadczenia (w tym z zastosowaniem wyrobu medycznego) z wykazu świadczeń gwarantowanych



10.4.6. Ścieżka 6: Proces objęcia finansowaniem ze środków publicznych pilotażu (z zastosowaniem wyrobu medycznego)

Zgodnie z ustawa o świadczeniach program pilotażowy to *zespół zaplanowanych działań z zakresu opieki zdrowotnej o charakterze testowym, dotyczących nowych warunków organizacji, realizacji lub nowego sposobu finansowania świadczeń opieki zdrowotnej, poprzedzających wdrożenie rozwiązań systemowych*.

Program pilotażowy (pilotaż) opracowuje, ustala, nadzoruje i kontroluje Minister Zdrowia. Wdraża, finansuje, monitoruje i ewaluuje NFZ. Minister Zdrowia ustala program pilotażowy w drodze rozporządzenia, mając na uwadze poprawę efektywności systemu ochrony zdrowia oraz poprawę jakości i bezpieczeństwa udzielania świadczeń opieki zdrowotnej. NFZ z kolei zawiera umowę o realizację programu pilotażowego z realizatorem programu pilotażowego. W ścieżce dla pilotaży nie przewidziano formalnego trybu wnioskowego.

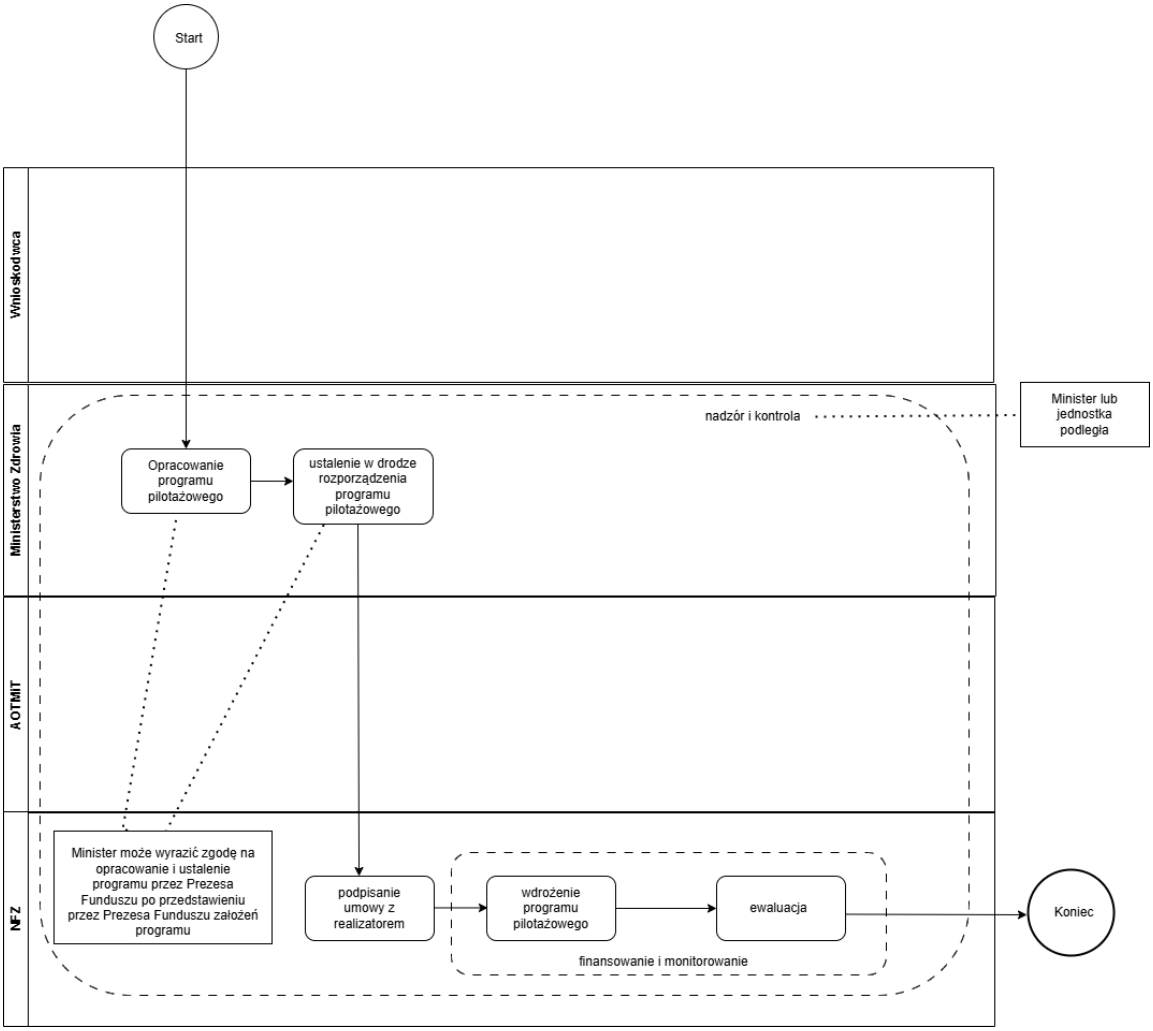
Zgodnie z ustawą program pilotażowy może być finansowany z budżetu państwa z części, której dysponentem jest Minister Zdrowia lub ze środków NFZ. Pilotaże mogą być również finansowane ze środków europejskich w rozumieniu Ustawy z dnia 27 sierpnia 2009 r. o finansach publicznych.

Z założenia pilotaż ma charakter testowym i realizowany jest przed wdrożeniem pełnoskalowego rozwiązania a więc przez wybranego/wybranych realizatorów. Umowę o realizację programu pilotażowego zawiera Fundusz z realizatorem programu pilotażowego.

W programie pilotażowym określa się: (1) cel programu pilotażowego; (2) okres realizacji programu pilotażowego; (3) zakres i rodzaj świadczeń opieki zdrowotnej, których dotyczy program pilotażowy; (4) w przypadkach wynikających z celu programu pilotażowego - populację zamieszkującą określony obszar terytorialny objętą programem pilotażowym; (5) warunki organizacji świadczeń opieki zdrowotnej oraz warunki ich realizacji, w tym dotyczące personelu medycznego i wyposażenia w sprzęt i aparaturę medyczną; (6) sposób rozliczania świadczeń opieki zdrowotnej, w tym wysokość kapitacyjnej stawki rocznej, ceny jednostkowej jednostki rozliczeniowej lub ryczałtu, w tym ryczałtu na populację objętą programem pilotażowym; (7) sposób wyboru świadczeniodawcy przez świadczeniobiorcę, z uwzględnieniem zasad realizacji świadczeń opieki zdrowotnej na podstawie skierowania i prowadzenia listy oczekujących na udzielenie świadczenia, lub sposób objęcia przez świadczeniodawcę danej populacji świadczeniami opieki zdrowotnej; (8) realizatora programu pilotażowego albo tryb jego wyboru; (9) wskaźniki realizacji programu pilotażowego; (10) sposób pomiaru wskaźników realizacji programu pilotażowego; (11) sposób oceny wyników programu pilotażowego; (12) podmiot zobowiązany do finansowania programu pilotażowego/sposób i tryb finansowania programu pilotażowego z budżetu państwa.

Komentarz W rozdziale 4 scharakteryzowano praktyczny udział AOTMiT w opracowywaniu i ocenie programów pilotażowych.

Rysunek 19. Proces objęcia finansowaniem ze środków publicznych pilotażu (z zastosowaniem wyrobu medycznego)



10.4.7. Ścieżka 7: Proces objęcia finansowaniem ze środków publicznych programów polityki zdrowotnej (z zastosowaniem wyrobu medycznego)

Programy zdrowotne może opracowywać, wdrażać, realizować i finansować Fundusz, a programy polityki zdrowotnej mogą opracowywać, wdrażać, realizować i finansować ministrowie oraz jednostki samorządu terytorialnego. NFZ realizuje programy polityki zdrowotnej zlecone przez Ministra Zdrowia.

Minister Zdrowia realizuje programy polityki zdrowotnej, w szczególności w zakresie: (1) profilaktyki, diagnostyki i leczenia antyretrowirusowego osób żyjących z HIV; (2) profilaktyki, diagnostyki i leczenia lekami o bezpośrednim, swoistym działaniu przeciwwirusowym osób osadzonych w zakładach penitencjarnych z przewlekłym, wirusowym zapaleniem wątroby typu C; (3) leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

Programy polityki zdrowotnej, wskazane powyżej w punktach 1-3, finansuje Fundusz w zakresie zakupu produktów leczniczych i wyrobów medycznych dokonanego przez ministra właściwego do spraw zdrowia.

Programy polityki zdrowotnej opracowywane, wdrażane, realizowane i finansowane przez jednostki samorządu terytorialnego, w przypadku gdy dotyczą świadczeń gwarantowanych objętych programami, realizowanymi przez ministrów oraz Fundusz, muszą być z nimi spójne merytorycznie i organizacyjnie. Mogą być one realizowane w okresie jednego roku albo wielu lat.

Projekt programu polityki zdrowotnej jest opracowywany według wzoru określonego w przepisach wydanych na podstawie wzoru programu polityki zdrowotnej oraz wzoru raportu końcowego z realizacji programu

polityki zdrowotnej (określonego w drodze Rozporządzenia MZ wraz z opisem sposobu sporządzenia projektu programu oraz raportu).

Projekt programu polityki zdrowotnej jest przekazywany do AOTMiT w celu wydania przez Prezesa Agencji opinii w sprawie projektu programu polityki zdrowotnej (nie dotyczy m.in. projektu będącego kontynuacją w niezmienionej formie programu polityki zdrowotnej realizowanego w poprzednim okresie, dla którego Prezes Agencji wydał pozytywną albo warunkowo pozytywną opinię; aktualizacji treści programu polityki zdrowotnej opracowanego przez ministra właściwego do spraw zdrowia, jeżeli nie powodują one zmiany celów głównych i celów szczegółowych programu polityki zdrowotnej).

Agencja sporządza raport w sprawie oceny projektu programu polityki zdrowotnej na podstawie kryteriów obejmujących: (1) wpływ na poprawę zdrowia obywateli przy uwzględnieniu mapy potrzeb zdrowotnych oraz wskaźników zapadalności, chorobowości lub śmiertelności określonych na podstawie aktualnej wiedzy medycznej, (2) skutki następstw choroby lub stanu zdrowia, (3) znaczenie dla zdrowia obywateli, (4) skuteczność kliniczną i bezpieczeństwo, (5) stosunek uzyskiwanych korzyści zdrowotnych do ryzyka zdrowotnego, (6) stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych, (7) skutki finansowe dla systemu ochrony zdrowia, w tym dla podmiotów zobowiązanych do finansowania świadczeń opieki zdrowotnej ze środków publicznych.

Prezes Agencji przekazuje raport Radzie Przejrzystości, która na jego podstawie przedstawia opinię w sprawie projektu programu polityki zdrowotnej, a następnie przekazuje ją Prezesowi Agencji. Jeżeli projekt programu polityki zdrowotnej nie został opracowany według wzoru określonego w przepisach, Prezes Agencji wzywa podmiot, który opracował projekt, do jego poprawienia. Prezes Agencji sporządza opinię w terminie 2 miesięcy od dnia otrzymania projektu programu polityki zdrowotnej albo poprawionego projektu programu.

Rozpoczęcie wdrożenia, realizacji i finansowania programu polityki zdrowotnej może nastąpić wyłącznie po uzyskaniu pozytywnej albo warunkowo pozytywnej opinii albo po przesłaniu do Agencji oświadczenia (oświadczenia zgodności projektu programu polityki zdrowotnej z rekomendacją - dotyczy raportu w sprawie weryfikacji zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów, dotyczących danej choroby lub danego problemu zdrowotnego).

Podmiot, który otrzymał warunkowo pozytywną opinię, jest zobowiązany do wprowadzenia w projekcie programu polityki zdrowotnej zmian zgodnych z tą opinią przed rozpoczęciem wdrożenia, realizacji i finansowania programu polityki zdrowotnej.

Na podstawie artykułu 48aa ustawy o świadczeniach, Agencja, z własnej inicjatywy lub z inicjatywy Ministra Zdrowia, dokonuje okresowej weryfikacji założeń zgromadzonych projektów programów polityki zdrowotnej i na podstawie tej weryfikacji przygotowuje raport. Raport jest przygotowywany na podstawie wcześniej wspomnianych kryteriów oraz po zasięgnięciu opinii konsultantów w ochronie zdrowia lub innych ekspertów z poszczególnych dziedzin medycyny, w szczególności odpowiednich dla danej choroby lub danego problemu zdrowotnego, a następnie niezwłocznie przekazywany Radzie Przejrzystości. Prezes Agencji, biorąc pod uwagę opinię Rady Przejrzystości, wydaje rekomendację w terminie 4 miesięcy od dnia otrzymania zlecenia.

Rekomendacje (z zakresu weryfikacji) zawierają: (1) opis choroby lub problemu zdrowotnego uwzględniający epidemiologię; (2) rekomendowane i nierekomendowane technologie medyczne, działania przeprowadzane w ramach programów polityki zdrowotnej skierowane do określonej populacji docelowej oraz warunki realizacji programów polityki zdrowotnej, dotyczące danej choroby lub danego problemu zdrowotnego; (3) wskazanie dowodów naukowych; (4) wskazanie opcjonalnych technologii medycznych i aktualnego stanu ich finansowania ze środków publicznych na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej; (5) określenie wskaźników służących do monitorowania i ewaluacji.

Rekomendacje podlegają aktualizacji nie rzadziej niż co 5 lat. Agencja tworzy repozytorium programów polityki zdrowotnej, które udostępnia w Biuletynie Informacji Publicznej Agencji oraz na swojej stronie internetowej. W repozytorium programów polityki zdrowotnej publikuje się raporty, opinie Rady Przejrzystości oraz rekomendacje Prezesa Agencji.

Po zakończeniu realizacji programu polityki zdrowotnej minister oraz jednostka samorządu terytorialnego sporządzają raport końcowy z realizacji programu w terminie 3 miesięcy od dnia zakończenia realizacji programu polityki zdrowotnej i niezwłocznie przekazuje do Agencji oraz udostępnia w Biuletynie Informacji Publicznej podmiotu, o którym mowa w ust. 1 (Minister, jednostki samorządu terytorialnego).

Od dnia udostępnienia w Biuletynie Informacji Publicznej Agencji rekomendacji minister oraz jednostka samorządu terytorialnego uwzględniają zawarte w niej zalecenia w planowanych programach polityki zdrowotnej.

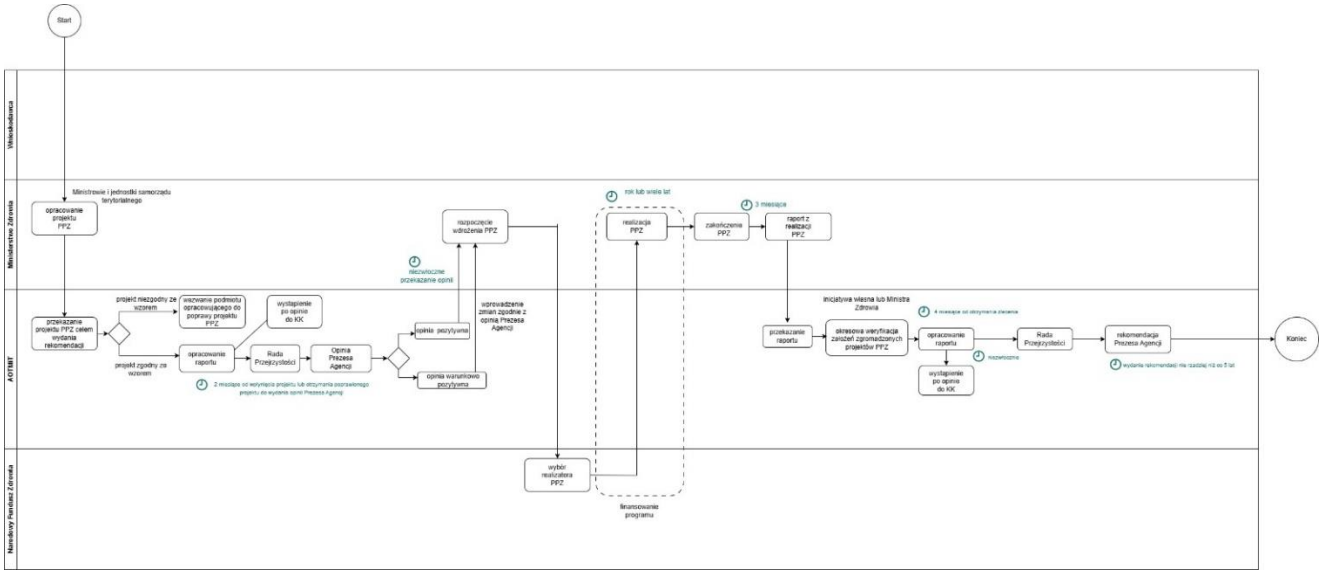
Artykuł 48b określa, że w przypadku programów polityki zdrowotnej wyboru realizatora tego programu dokonuje się w drodze konkursu ofert. W przypadku programów polityki zdrowotnej opracowanych przez ministra właściwego do spraw zdrowia wybór realizatora programu może nastąpić bez przeprowadzania konkursu ofert jeżeli zachodzą szczególne okoliczności co najmniej jedna z następujących okoliczności (określone w art. 48b ust. 1a).

Fundusz dokonuje wyboru realizatora programu zdrowotnego i zawiera z nim umowę na zasadach i w trybie określonych dla umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej.

Na podstawie art. 48c ust. 1, jednostka samorządu terytorialnego, w ramach realizacji zadań własnych, może dofinansowywać programy zdrowotne i programy polityki zdrowotnej, inne niż realizowane przez tę jednostkę, polegające na profilaktyce chorób.

Art. 48d pkt 1 określa, że Fundusz może przekazać środki na dofinansowanie programów polityki zdrowotnej realizowanych przez jednostkę samorządu terytorialnego w zakresie udzielania świadczeń zdrowotnych określonych w wykazach świadczeń gwarantowanych.

Rysunek 20. Proces objęcia finansowaniem ze środków publicznych programów polityki zdrowotnej (z zastosowaniem wyrobu medycznego)



10.5. Charakterystyka ścieżki dostępu do innowacyjnych technologii lekowych w Polsce

Technologia lekowa o wysokim poziomie innowacyjności jest *technologią lekową stosowaną w onkologii lub chorobach rzadkich, która uzyskała pozwolenie na dopuszczenie do obrotu wydane przez Radę Unii Europejskiej lub Komisję Europejską i która została umieszczona w wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, o którym mowa w art. 40a*.

Agencja ustala poziom innowacyjności oraz zasady tworzenia wykazu, 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.

Minister właściwy do spraw zdrowia, po zasięgnięciu opinii Rady Przejrzystości, konsultantów krajowych z danej dziedziny medycyny oraz Rzecznika Praw Pacjenta, publikuje na swojej stronie internetowej oraz w Biuletynie Informacji Publicznej listę technologii o wysokim poziomie innowacyjności na podstawie wykazu technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności przekazanego przez Agencję.

Objęte refundacją technologie lekowe o wysokim poziomie innowacyjności podlegają w warunkach rzeczywistych opieki zdrowotnej porównaniu przez Agencję z alternatywnymi sposobami postępowania medycznego pod względem skuteczności i działań niepożądanych w oparciu o analizy danych otrzymane od podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń opieki zdrowotnej ze środków publicznych.

Na 90 dni przed zakończeniem okresu refundacji technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności Agencja publikuje raport z oceny efektywności objętych refundacją technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności oraz jakości leczenia w oparciu o dane z rejestrów medycznych lub elektronicznego systemu monitorowania programów lekowych, o którym mowa w art. 188c ust. 1 *Ustawy* o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, pod warunkiem że dane kliniczne niezbędne do opracowania tego raportu są wystarczające. W przypadku gdy dane kliniczne niezbędne do opracowania raportu są niewystarczające, okres refundacji technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności ulega wydłużeniu o kolejne 2 lata, a Agencja publikuje raport nie później niż w terminie 180 dni przed wygaśnięciem przedłużonej decyzji, w oparciu o dostępne dane kliniczne. Przedłużenie okresu refundacji minister właściwy do spraw zdrowia potwierdza w decyzji wydanej z urzędu (UR).