



Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji



Fundusze Europejskie
Wiedza Edukacja Rozwój



**Rzeczpospolita
Polska**

Unia Europejska
Europejski Fundusz Społeczny



Analiza wpływu na budżet: założenia, przykłady, ograniczenia w praktyce AOTMiT w latach 2017-2018.

Katarzyna Błaszczuk¹, Eliza Lisowska¹, Aleksandra Siedlecka¹

¹Wydział Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji,
Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Warszawa, sierpień 2019

Spis treści

1. Abstrakt	3
2. Analiza wpływu na budżet – założenia	4
3. Analiza wpływu na budżet – przykłady	7
4. Analiza wpływu na budżet – ograniczenia	9
4.1. Analiza weryfikacyjna Agencji	9
4.2. Import docelowy	12
4.3. Ratunkowy dostęp do technologii lekowych	14
4.4. Grupy limitowe	16
4.5. Inne zadania.....	17
4.6. Oceny typu <i>off-label</i>	18
5. Podsumowanie	20
6. Bibliografia	21

1. Abstrakt

Zgodnie z Wytycznymi oceny technologii medycznych z 2016 r. analiza wpływu na budżet określa konsekwencje finansowe wprowadzenia, zaprzestania refundacji lub innej zmiany warunków finansowania ocenianej technologii medycznej w polskim systemie opieki zdrowotnej. W analizie wpływu na budżet dokonuje się oceny wpływu danej technologii na jednoroczny budżet opieki zdrowotnej w okresie kilku lat następujących po wprowadzeniu nowej lub zaprzestaniu finansowania dotychczas refundowanej technologii. Analizy weryfikacyjne Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, jako jedyne z dokumentów opracowywanych przez Wydział Oceny Technologii Medycznych Agencji zawierają ocenę analizy wpływu na budżet. Pozostałe opracowania Wydziału Oceny Technologii Medycznych zawierają jedynie wskazanie „wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców”, co nie jest tożsame z analizą wpływu na budżet lub nie zawierają takich oszacowań wcale, jeśli nie są wymagane ustawowo lub jeśli Minister Zdrowia nie oczekuje wykonania takich oszacowań.

słowa kluczowe: analiza wpływu na budżet, Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Wytyczne oceny technologii medycznych, uregulowania prawne

Abstract

In accordance with Health Technology Assessment Guidelines, The Agency for Health Technology Assessment and Tariff System (from 2016) budget impact analysis determines the financial consequences of the introduction, withdrawal from reimbursement, or other change in financing of the assessed health technology in the Polish health care system. The budget impact analysis involves an assessment of impact of a given health technology on the annual health care budget in the period of a few years after the introduction of a new technology or withdrawal from financing a previously reimbursed technology. The verification analyses of The Agency for Health Technology Assessment and Tariff System are the only documents created by the Department of Health Technology Assessment (DHTA) which contain budget impact analysis. The rest of the documents from the DHTA contains only „influence on expenses of authority obliged to finance medical services from public funds and beneficiaries”, which is not the same as budget impact analysis, unless it's required by legal act or commissioned by Ministry of Health.

key words: budget impact analysis, Agency for the Health Technology Assessment and Tariff System, Health Technology Assessment Guidelines, legal regulations

2. Analiza wpływu na budżet – założenia

Celem niniejszej publikacji jest opisanie czym jest analiza wpływu na budżet (dalej „AWB”), wskazanie w jakich opracowaniach Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (dalej: „Agencja”) występuje, a gdzie można znaleźć wybrane jej elementy, oraz jej ograniczenia.

Zgodnie z Wytycznymi oceny technologii medycznych z 2016 r. (dalej „Wytyczne HTA”) AWB określa konsekwencje finansowe wprowadzenia, zaprzestania refundacji lub innej zmiany warunków finansowania ocenianej technologii medycznej w polskim systemie opieki zdrowotnej. Według Wytycznych HTA, AWB należy przeprowadzić z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz – w przypadku współpłacenia – z perspektywy wspólnej płatników: płatnika publicznego i pacjentów. Dodatkowo w przypadku współpłacenia zalecane jest przedstawienie kosztów ponoszonych przez pacjenta. Jeżeli nie dochodzi do współpłacenia ze strony świadczeniobiorców lub jest ono z perspektywy pacjenta znikome, można uwzględnić jedynie perspektywę płatnika publicznego. W uzasadnionych przypadkach można wykonać AWB dodatkowo z perspektywy społecznej lub innej, np. świadczeniodawcy, finansów publicznych. W AWB dokonuje się oceny wpływu danej technologii na jednoroczny budżet opieki zdrowotnej w okresie kilku lat następujących po wprowadzeniu nowej lub zaprzestaniu finansowania dotychczas refundowanej technologii. Wytyczne HTA zalecają stosowanie przedziału czasu wystarczającego do ustalenia równowagi na rynku lub obejmującego co najmniej pierwsze 2 lata od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych. Zalecane jest wykonanie AWB uwzględniając: liczebność i charakterystykę badanej populacji, scenariusz przedstawiający aktualną praktykę („scenariusz istniejący”), scenariusz przewidywany po wprowadzeniu nowej/usunięciu obecnie refundowanej technologii („scenariusz nowy”), koszty ww. scenariuszy i wyniki inkrementalne. Ocena całkowitej inkrementalnej zmiany nakładów powinna uwzględniać: wydatki związane z ocenianą technologią, koszty dodatkowych nakładów w systemie ochrony zdrowia związanych z wdrożeniem ocenianej technologii, zmniejszenie nakładów związanych ze zmniejszonym stosowaniem dotychczasowych technologii w przypadku przejścia na ocenianą technologię, zmniejszenie kosztów związanych z oszczędnościami w zakresie innych świadczeń (np. redukcją hospitalizacji). Wytyczne HTA zalecają wykonanie analizy wrażliwości do AWB, która powinna dotyczyć przede wszystkim tych danych wejściowych, dla których miary rozrzutu i niepewność oszacowań są największe oraz danych wejściowych mających istotny wpływ na wynik. W AWB należy przedstawić zarówno całkowity, jak i inkrementalny wpływ na budżet, dla każdego roku w badanym horyzoncie czasowym. Pożądane jest przedstawienie ograniczeń analizy oraz omówienie aspektów etycznych, społecznych, prawnych oraz wpływu na organizację udzielania świadczeń (1).

Zgodnie z art. 35 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego¹ (dalej „ŻSPM”), oraz wyrobów medycznych (dalej „WM”) (dalej „ustawa o refundacji”), Agencja przygotowuje analizy weryfikacyjne (dalej „AWA”) do wniosków o:

- objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku, ŻSPM, WM (art. 24 ust. 1 pkt 1 ww. ustawy), który nie ma odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu oraz
- podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, ŻSPM, WM objętego refundacją (art. 24 ust. 1 pkt 2 ww. ustawy), który nie ma odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu, jeżeli w uzasadnieniu wniosku są podane argumenty związane z efektem zdrowotnym, dodatkowym efektem zdrowotnym lub kosztami ich uzyskania.

Jednym z obowiązkowych elementów składowych ww. wniosków jest AWB podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (2).

Według Rozporządzenia Ministra Zdrowia ws. sposobu i procedur przygotowania AWA Agencji oraz wysokości opłaty za tę analizę Agencja dokonuje sprawdzenia, czy analizy dołączone do wniosku, przekazanego przez Ministra Zdrowia spełniają wymagania określone w przepisach wydanych na podstawie art. 24 ust. 7 pkt 2 ustawy o refundacji (dalej „wymagania minimalne”) (3).

¹ Od dnia 20 lipca 2016 r. nie funkcjonuje określenie, definicja i kategoria „środek spożywczy (żywność) specjalnego przeznaczenia żywieniowego” oraz „żywność dietetyczna”, na potrzeby niniejszej publikacji posłużono się terminem „żywność specjalnego przeznaczenia medycznego” (ŻSPM).

Od dnia 20 lipca 2016 r. obowiązują przepisy rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) nr 609/2013 z dnia 12 czerwca 2013 r. w sprawie żywności przeznaczonej dla niemowląt i małych dzieci oraz żywności specjalnego przeznaczenia medycznego i środków spożywczych zastępujących całodzienną dietę, do kontroli masy ciała oraz uchylające dyrektywę Rady 92/52/WE, dyrektywy Komisji 96/8/WE, 1999/21/WE, 2006/125/WE i 2006/141/WE, dyrektywę Parlamentu Europejskiego i Rady 2009/39/WE oraz rozporządzenia Komisji (WE) nr 41/2009 i (WE) nr 953/2009.

Rozporządzenie (UE) nr 609/2013 z dniem 20 lipca 2016 r. uchyliło dyrektywę Parlamentu Europejskiego i Rady 2009/39/WE z dnia 6 maja 2009 r. w sprawie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego. Oznacza to, że od 20 lipca 2016 r. te przepisy, które zostały przeniesione z dyrektywy 2009/39/WE do ustawy o bezpieczeństwie żywności i żywienia oraz rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, nie obowiązują.

<https://gis.gov.pl/zywnosc-i-woda/sytuacja-prawna-zywnosci-dla-okreslonych-grup/> (dostęp dnia: 23.04.2019 r.)

Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie wymagań minimalnych, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danych wskazaniu (dalej „Rozporządzenie MZ w sprawie minimalnych wymagań”), określa m.in. że AWB wnioskodawcy musi zawierać m.in.:

- 1) oszacowanie rocznej liczebności populacji:
 - a) obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana,
 - b) docelowej, wskazanej we wniosku,
 - c) w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana;
- 2) oszacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją lub decyzję o podwyższeniu ceny,
- 3) oszacowanie aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje;
- 4) ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją lub decyzji o podwyższeniu ceny,
- 5) ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją lub decyzję o podwyższeniu ceny,
- 6) oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, stanowiących różnicę pomiędzy prognozami, o których mowa w pkt 4 i 5, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii;
- 7) minimalny i maksymalny wariant oszacowania, o którym mowa w pkt 6;
- 8) zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań oraz prognoz,
- 9) wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań oraz prognoz, w szczególności założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu;
- 10) dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji, w wyniku których uzyskano oszacowania oraz prognozy.

Dodatkowo, Rozporządzenie MZ w sprawie minimalnych wymagań określa, że AWB musi zawierać oszacowania i prognozy wykonane w horyzoncie czasowym dla niej właściwym. Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka (ang. *risk sharing scheme*, dalej „RSS”), oszacowania oraz prognozy powinny być przedstawione w wariantach z uwzględnieniem RSS oraz bez uwzględnienia RSS. Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej, AWB musi zawierać wskazanie dowodów spełnienia wymagań, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 ustawy o refundacji. Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej, AWB zawiera wskazanie dowodów spełnienia kryteriów, o których mowa w art. 15 ust. 2 ww. ustawy, i wymagania, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 2 ww. ustawy (4).

Zgodnie z art. 12 pkt 6 ustawy o refundacji Agencja, a w szczególności Wydział Oceny Technologii Medycznych (dalej „WOT”), jest zobowiązany w zdecydowanej większości realizowanych zleceń Ministra Zdrowia do wskazania „wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców” (2).

Zlecenia Ministra Zdrowia (dalej „MZ”) dotyczące oceny świadczeń lekowych i ŻSPM, które były oceniane w Agencji w latach 2017-2018 i które zawierają elementy oceny wpływu na budżet to:

- 1) AWA (zlecane przez MZ z art. 35 ust. 1 ustawy o refundacji), zawierające ocenę analiz wnioskodawcy (Rozporządzenia Ministra Zdrowia ws. sprawie sposobu i procedur przygotowania AWA Agencji oraz wysokości opłaty za tę analizę), w tym ocenę AWB (art. 25 pkt. 14 c tiret trzecie ustawy o refundacji),
- 2) opracowania w sprawie oceny zasadności wydawania zgód na refundację produktów leczniczych sprowadzanych z zagranicy na warunkach i w trybie określonym w art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne

oraz ŻSPM w trybie art. 29a ustawy z dnia 25 sierpnia 2006 r. o bezpieczeństwie żywności i żywienia, zlecane przez MZ w trybie art. 39 ust. 3c ustawy o refundacji (dalej „importy docelowe”),

- 3) opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych produktów leczniczych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej (dalej „RDTL”), zlecane przez MZ w trybie art. 47 f ust. 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (dalej „ustawa o świadczeniach”),
- 4) inne opracowania i raporty Agencji, w tym np. wykonywane przez WOT na zlecenie MZ z art. 31n pkt 5 ustawy o świadczeniach oraz z art. 31 c ust. 1 ustawy o świadczeniach.

Należy zauważyć, że opracowania, o których mowa w punkcie 4. (tj. zlecane z art. 31 n pkt 5 ustawy o świadczeniach) mogą, ale nie muszą, zawierać elementów oceny wpływu na budżet, w zależności od treści zlecenia MZ, zaś opracowania, realizowane na podst. art. 31 c ust. 1 ustawy o świadczeniach, powinny odnosić się do skutków finansowych dla systemu ochrony zdrowia (art. 31 a ust 1 pkt 7) i Prezes Agencji zasięga w tym zakresie opinii Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia (dalej „Prezesa NFZ”) (5).

Mając na uwadze szeroki zakres zadań realizowanych przez WOT, w niniejszej publikacji wyszczególniono dane dla określonych typów zleceń tj. analiz weryfikacyjnych dokumentacji składanej wraz z wnioskami o objęcie refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu leku czy ŻSPM, ocen zasadności wydawania zgód na refundację produktów leczniczych/ŻSPM sprowadzanych w ramach tzw. importu docelowego, ocen zasadności finansowania produktu leczniczego w ramach RDTL. Dane dotyczące opracowań WOT przygotowanych na potrzeby innych niż wymienione wyżej zleceń MZ, o różnym przedmiocie i zakresie, kierowane na podstawie odrębnych przepisów ustaw obowiązujących Agencję (m.in. ocen leków stosowanych poza wskazaniami zarejestrowanymi – *off-label*) przedstawiono w niniejszym opracowaniu zbiorczo.

3. Analiza wpływu na budżet – przykłady

W latach 2017-2018 w ramach realizacji statutowych zadań WOT przygotowano łącznie 359 opracowań dot. oceny technologii medycznych (zarówno leków jaki i ŻSPM, bez uwzględnienia ocen programów polityki zdrowotnej).

Tabela 1. Zestawienie ilościowe opracowań WOT przygotowanych w latach 2017-2018 ocen leków/ ŻSPM w podziale na lata realizacji i typ zlecenia

Rok	AWA	Import docelowy	RDTL	Inne	Suma końcowa
2017	70	18	19	35	142
2018	70	42	51	54	217
Suma końcowa	140	60	70	89	359

Źródło: opracowanie własne

W ramach wspomnianych 359 opracowań przygotowano odpowiednio:

- 140 AWA;
- 60 ocen zasadności wydawania zgód na refundację produktów leczniczych/ ŻSPM sprowadzanych w ramach tzw. importu docelowego;
- 70 ocen zasadności finansowania produktu leczniczego w ramach RDTL;
- 89 opracowań na potrzeby innych niż wymienione wyżej zleceń MZ o różnym przedmiocie i zakresie.

Analizy weryfikacyjne dokumentacji składanej wraz z wnioskami o objęcie refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu leku czy ŻSPM stanowiły znaczną część (39%) z przygotowanych w analizowanym okresie opracowań. Opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgód na refundację produktów leczniczych/ ŻSPM sprowadzanych w ramach tzw. importu docelowego stanowiły 17% wszystkich przygotowanych w tym czasie dokumentów, a dotyczące zasadności finansowania w ramach obowiązującego od jesieni 2017 r. RDTL 19%. Pozostała jedna czwarta wszystkich opracowań przygotowana była na potrzeby innych niż wymienione wyżej zleceń MZ.

W ramach opracowań „innych” dominowały opracowania dotyczące zastosowania leków *off-label* – stanowiły 64% wszystkich opracowań z tej kategorii. Niemal jedną trzecią (30%) stanowiły opracowania na rzecz realizacji innych zadań zleconych przez MZ (z art. 31 n pkt 5 ustawy o świadczeniach - głównie była to ocena proponowanych zmian w programach lekowych). Dwa procent stanowiły opracowania ws. zasadności utworzenia odrębnych grup limitowych, zaś 3% - opracowania w sprawie oceny efektywności produktów leczniczych z uwzględnieniem ich finansowania w populacji osób powyżej 75 roku życia.

Tabela 2. Zestawienie ilościowe „innych” opracowań WOT przygotowanych w latach 2017-2018 ocen leków/ ŻSPM w podziale na lata realizacji

Rok	75+	Grupy limitowe	Inne zadania	„Off-label”	Suma końcowa
2017	2	1	16	16	35
2018	1	1	11	41	54
Suma końcowa	3	2	27	57	89

Źródło: opracowanie własne

Wśród 89 opracowań „innych” zleconych Agencji przez MZ i zrealizowanych w WOT w latach 2017-2018 elementy oceny wpływu na wydatki płatnika publicznego i ewentualnie świadczeniobiorców zawierały opracowania:

- 1) przygotowane na potrzeby wydania opinii Rady Przejrzystości i ewentualnie opinii Prezesa Agencji dotyczące oceny zasadności utworzenia odrębnej grupy limitowej dla wybranych produktów (dalej „grupy limitowe”),
- 2) dotyczące zastosowania leków *off-label*,
- 3) wybrane opracowania realizowane w trybie zlecenia z art. 31 n pkt 5 ustawy o świadczeniach.

Opracowania, o których mowa w pkt. 3 powyżej, które nie zawierały elementów szacowania wpływu na wydatki płatnika publicznego dotyczyły m.in.:

- oceny zmian w programach lekowych – w opracowaniach wskazano, że wpływ proponowanych zmian na wydatki płatnika jest trudny do oszacowania i opisano jak każda proponowana zmiana mogłaby wpłynąć na wydatki płatnika. W innym opracowaniu tego typu w ramach oceny wpływu zmian w opisie ocenianych programów lekowych na budżet płatnika publicznego przedstawiono opinię eksperta klinicznego;
- zlecenia wykonania przeglądu systematycznego,
- zlecenia ponownego wyszukiwania badań dotyczących skuteczności klinicznej i praktycznej oraz bezpieczeństwa do daty wydania Rekomendacji Prezesa,
- odniesienia się do komentarzy wnioskodawcy do wydanej rekomendacji Prezesa do AWA.

Opracowania w sprawie oceny efektywności produktów leczniczych z uwzględnieniem ich finansowania w populacji osób powyżej 75 r.ż. nie zawierały oceny wpływu na wydatki płatnika publicznego.

4. Analiza wpływu na budżet – ograniczenia

4.1. Analiza weryfikacyjna Agencji

Zgodnie z Rozporządzeniem MZ ws. sposobu i procedur przygotowania AWA Agencji oraz wysokości opłaty za tę analizę, Agencja po otrzymaniu wniosku refundacyjnego dokonuje sprawdzenia, czy analizy dołączone do wniosku przekazanego przez MZ, spełniają wymagania minimalne oraz przeprowadza ich ocenę (3).

Analizy weryfikacyjne Agencji, jako jedyne z dokumentów opracowywanych przez WOT Agencji zawierają ocenę AWB, jako że, jak uprzednio wspomniano, pozostałe opracowania WOT zawierają jedynie wskazanie „wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców” (art. 12 pkt 9 ustawy o refundacji), co nie jest tożsame z AWB lub nie zawierają takich oszacowań wcale, jeśli nie są wymagane ustawowo lub jeśli MZ nie oczekuje wykonania takich oszacowań. Oznacza to, że WOT nie wykonuje AWB *de novo*, a jedynie przedstawia ocenę i weryfikację AWB wnioskodawcy. Zakres weryfikacji w praktyce oznacza także ewentualne przedstawienie własnych oszacowań AWB w oparciu o zmienione założenia / alternatywne dane / modyfikację modelu przedstawionego przez wnioskodawcę.

Zakres AWB, ich zawartość i sposób wykonania precyzują odpowiednie akty prawne (np. Rozporządzenie MZ w sprawie minimalnych wymagań i Wytyczne HTA).

W latach 2017-2018 w WOT zakończono prace nad 140 AWA (po 70 w każdym roku), jedynie w 6 przypadkach (po 3 w każdym roku – 4,3% AWA) Agencja nie wzywała wnioskodawców do uzupełnienia analiz względem wymagań minimalnych. Pozostałe analizy wnioskodawcy wymagały uzupełnienia.

Na potrzeby publikacji przeprowadzono analizę 134 pism w sprawie niespełnienia wymagań minimalnych w części dotyczącej AWB (tj. §2, 6 i 8 Rozporządzenia MZ w sprawie minimalnych wymagań). Ze względu na znaczną różnorodność metodologii AWB przekazywanych do Agencji wraz z wnioskiem o objęcie refundacją, na potrzeby publikacji uznano, że wszelkie zgłoszone przez Agencję uwagi, w ramach wzywania wnioskodawców do uzupełnienia analiz względem wymagań minimalnych, są ograniczeniami AWB.

Najczęściej zgłaszane przez Agencję zastrzeżenia odnośnie do AWB wnioskodawcy, które wymagały stosownych uzupełnień dotyczyły sposobów szacowania liczebności populacji (§6 ust. 1 pkt.1-2 Rozporządzenia MZ w sprawie minimalnych wymagań). Uwagi te oraz zastrzeżenia co do pozostałej zawartości AWB przedstawiono poniżej.

Sposoby szacowania liczebności populacji

W ramach AWB wnioskodawcy zobowiązani są do przedstawienia oszacowań rocznych liczebności pacjentów obejmujące wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana, populacji docelowej (wskazanej we wniosku) i populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana oraz populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że oceniana technologia zostanie objęta refundacją.

Najczęściej zgłaszane przez Agencję zastrzeżenia odnośnie do AWB wnioskodawcy, które wymagały stosownych uzupełnień dotyczyły sposobów szacowania ww. liczebności populacji i dotyczyły np.:

- nieprawidłowego oszacowania populacji, w której oceniana technologia jest obecnie stosowana – wnioskodawcy podawali informację, że dany produkt ze względu na brak refundacji nie jest stosowany w Polsce. Jednakże załączone dane dotyczące prognozy sprzedaży leku w przypadku objęcia leku refundacją bądź braku refundacji sugerowały, iż lek był jednak stosowany. Zdarzały się przypadki, że wnioskodawca dokonał oszacowania liczby pacjentów stosujących preparat w aktualnie finansowanym programie lekowym, natomiast nie przedstawił oszacowania populacji pacjentów stosujących obecnie lek we wnioskowanym wskazaniu, które było odmienne niż w programie lekowym,
- w AWB wskazano, że liczebność populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana wynosi 0. Biorąc jednak pod uwagę fakt, że lek został zarejestrowany odpowiednio wcześniej, a część ekspertów klinicznych odpowiedziała twierdząco na pytanie dotyczące jego stosowania w analizowanym wskazaniu obecnie, liczebność populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana zapewne została przedstawiona nieprawidłowo,
- analiza została przeprowadzona dla populacji innej niż wnioskowana (tj. nie uwzględniała zmian wprowadzonych na etapie uzgadniania treści wnioskowanego programu lekowego),
- przy szacowaniu populacji oparto się na niepełnych danych dotyczących kwalifikacji do programu lekowego, publikowanych na stronie NFZ w danym miesiącu, a nie danych aktualniejszych, publikowanych za poprzedni miesiąc,
- w AWB nie oszacowano populacji, dla wszystkich refundowanych i zarejestrowanych wskazań, np. pominięto populację pediatryczną,

- roczną liczebność populacji obejmującą wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana określono na podstawie zapadalności, nie uwzględniono natomiast całej populacji tj. obejmującej zarówno osoby chorujące już wcześniej, jak i nowo stwierdzone przypadki. Inny przypadek – w oszacowaniach populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana wykorzystano dane dotyczące liczby chorych leczonych w ramach obecnych programów lekowych oraz uwzględniające liczbę chorych leczonych w ramach badania klinicznego w Polsce. Powyższe programy lekowe obejmowały pacjentów tylko z ciężką postacią choroby, podczas gdy, zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego, lek mógł być stosowany w leczeniu choroby o nasileniu umiarkowanym i ciężkim,
- brak oszacowania rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana – podano liczbę pacjentów stosujących wnioskowany lek w ramach istniejącego programu lekowego, natomiast przedmiotowe oszacowanie powinno być wykonane dla liczby pacjentów stosujących oceniany lek we wnioskowanym wskazaniu. Inny przypadek – podano informację, że oceniany lek nie jest jeszcze dostępny na rynku polskim, w związku z tym aktualnie brak jest jego udziału, a równocześnie w załącznikach do wniosku refundacyjnego znajdowało się oświadczenie, że lek jest dostępny w obrocie (a dodatkowo lek był dostępny na rynku oraz był refundowany w innych wskazaniach wcześniej),
- w oszacowaniu populacji nie uwzględniono liczebności populacji przyjmującej leki nierefundowane (dotyczyło przypadku, kiedy lek miał być stosowany po niepowodzeniu wcześniejszego leczenia innym lekiem, który był refundowany ale dużą część populacji finansowała lek z własnych środków tj. bez refundacji),
- analiza wpływu na budżet nie zawierała wariantu, w którym wydatki ponoszone przez płatnika publicznego oszacowano na podstawie danych dotyczących liczby pacjentów – populację docelową w analizie wnioskodawcy oparto na danych dotyczących sprzedaży, a oszacowanie udziałów w rynku nie zostało dostatecznie uzasadnione (powołanie się na opinie ekspertów, tymczasem w załączonych ankietach brak było odniesienia się do udziału w rynku),
- przy szacowaniu rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że MZ wyda decyzję o objęciu refundacją nie uzasadniono, dlaczego oceniany lek przejmie udziały tylko jednego innego preparatu a nie przejmie udziałów pozostałych leków zawierających daną substancję czynną.

Brak aktualności AWB na dzień złożenia wniosku

Informacje zawarte w AWB nie były aktualne na dzień złożenia wniosku refundacyjnego w zakresie cen oraz poziomu i sposobu finansowania technologii wnioskowanej i technologii opcjonalnych. Stwierdzano m.in. niezgodność cen technologii opcjonalnych z wartościami zawartymi w Obwieszczeniu Ministra Zdrowia w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (dalej „Obwieszczenie MZ”) aktualnym na dzień złożenia wniosku refundacyjnego; dostępne były bardziej aktualne komunikaty Narodowego Funduszu Zdrowia (dalej „Komunikaty NFZ”) dotyczące wartości refundacji leków wg kodów EAN lub były dostępne bardziej aktualne Zarządzenia Prezesa NFZ dotyczące wyceny wybranych procedur.

Dodatkowo, niektóre przedłożone AWB nie uwzględniały zapisów art. 43a ust. 1 ustawy o świadczeniach (tj. bezpłatnego zaopatrzenia w leki świadczeniobiorców po ukończeniu 75. r.ż.), przez co poziom i sposób finansowania technologii uwzględnionych w AWB nie był aktualny na dzień złożenia wniosku. Tę uwagę zgłaszano też czasami jako brak dodatkowego wariantu analizy wrażliwości AWB z prośbą o przeanalizowanie wpływu zapisów ww. ustawy na wynik AWB.

Brak uzasadnienia dla grupy limitowej

Pomimo, że wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmowały utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej, AWB nie zawierała wskazania dowodów spełnienia wymagań, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 ustawy o refundacji. W AWB podawano niewłaściwe uzasadnienie dla wyznaczenia podstawy limitu, ponieważ np. wnioskowany produkt leczniczy zawierał więcej substancji czynnej w opakowaniu (i inną postać farmaceutyczną) niż było to refundowane. Nie podawano argumentów na rzecz twierdzenia, że postać farmaceutyczna lub droga podania powoduje dodatkowy efekt kliniczny, w porównaniu z refundowanymi komparatorami lub nie przedstawiano założeń, na podstawie których dokonano wyboru określonej prezentacji, która będzie wyznaczać podstawę limitu w przypadku utworzenia nowej grupy limitowej.

Niezgodności w oszacowaniach z uwzględnieniem RSS

Niektóre AWB nie zawierały poprawnych stosownych oszacowań oraz prognoz przedstawionych w wariantach z uwzględnieniem proponowanego RSS – np. w modelu nie uwzględniono w pełni proponowanego przez wnioskodawcę RSS lub zaproponowano inny RSS.

Czasami Agencja zgłaszała uwagi do konstrukcji samego RSS.

W jednym przypadku wnioskowane warunki objęcia refundacją nie obejmowały instrumentów dzielenia ryzyka (wnioskodawca nie zaproponował RSS), więc stosowne oszacowania oraz prognozy nie powinny być przedstawione osobno w wariantach z uwzględnieniem proponowanego RSS oraz bez jego uwzględnienia, a były.

Nieprawidłowości w działaniu modelu farmakoekonomicznego

Analiza wpływu na budżet nie zawierała dokumentu elektronicznego, umożliwiającego powtórzenie wszystkich kalkulacji, w wyniku których uzyskano odpowiednie oszacowania. Model nie zawierał oszacowań aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku. Model był zablokowany hasłem lub nie dawał możliwości edycji wartości wejściowych oraz nie dawał możliwości modyfikacji jego struktury. Zgłoszono problem, że wnioskodawca przekazał uszkodzony plik.

Uwagi do wyboru komparatorów

Agencja na etapie weryfikacji zgodności analiz z wymaganiami minimalnymi zgłaszała uwagi do poprawności wyboru komparatorów – proszono o uwzględnienie dodatkowych komparatorów (refundowanych i zalecanych przez wytyczne kliniczne, a czasem także uwzględnionych we wcześniejszym wniosku tego samego wnioskodawcy a nie uwzględnionych obecnie).

Korzystanie w AWB z danych niepublikowanych

Zdarzało się, że przedstawiano w AWB dane nieopublikowane oraz nie przekazywano wykorzystywanych źródeł do Agencji. Często w pierwotnej wersji AWB nie podawano np. danych osobowych ekspertów, z których opinii korzystano w ramach jej opracowywania.

Brak wariantu maksymalnego i minimalnego AWB

Analiza wrażliwości AWB nie zawierała minimalnego i maksymalnego wariantu oszacowania, jako, że wnioskodawca przeprowadził analizę wrażliwości, w ramach której testowano zmiany wartości dla poszczególnych parametrów wejściowych, natomiast nie przeprowadził oszacowań dla wariantów skrajnych. Wnioskodawcy nie wskazywali przy tym, który z rozpatrywanych wariantów stanowi wariant minimalny, a który maksymalny.

Agencja zgłaszała też uwagi odnośnie uwzględnienia kolejnego wariantu analizy wrażliwości, np. rozważania kwalifikacji ocenianego produktu do innej grupy limitowej niż wnioskowana. Czasami wyniki AWB szacowano w oparciu o dane sprzedażowe pochodzące z państw, w których warunki refundacji były zbliżone do wnioskowanych, jednak w jednym z tych państw dane były odstające od reszty, więc w ramach analizy wrażliwości zgłaszano potrzebę wykluczenia tych danych z oszacowań.

Zgłaszano również brak w AWB wariantu, w którym uwzględniono refundację wnioskowanej interwencji w ramach leków dostępnych bezpłatnie dla pacjentów po 75 r.ż. Na liście tej np. znajdowały się preparaty stosowane w ocenianym wskazaniu, stąd istniało prawdopodobieństwo, że wnioskowana interwencja również się tam znajdzie.

W scenariuszu maksymalnym nie uwzględniano maksymalnej dziennej dawki produktu leczniczego wg Charakterystyki Produktu Leczniczego (dalej „ChPL”).

Zgłaszano uwagi, że koszty w ramieniu najlepszej terapii wspomagającej szacowano w oparciu o ceny leków stanowiących podstawę limitu w poszczególnych grupach limitowych, które często (wraz z kolejnym Obwieszczeniem MZ) ulegały zmianom i stąd istniała potrzeba przedstawienia w tym scenariuszu wariantu minimalnego i maksymalnego.

Zgłaszano też wątpliwości odnośnie do sposobu obliczeń zużycia technologii ocenianej, która np. miała postać niepodzielnej fiołki do jednorazowego podania i ze względu na brak możliwości ponownego użycia leku należało, w opinii Agencji, przedstawić wariant oszacowań zużycia technologii ocenianej w fiołkach na pacjenta, nie zaś w dawce (mg) na pacjenta.

Niejasności w oszacowaniach / brak wyszczególnienia założeń

Niektóre AWB nie zawierały wyszczególnienia założeń, na podstawie których dokonano stosownych oszacowań i prognoz lub zawierały niejasne założenia, na podstawie których szacowano AWB:

- nie wyjaśniono, na jakiej podstawie przyjęto założenia dotyczące przejęcia udziałów w rynku przez wnioskowaną technologię,
- nie uzasadniono wystarczająco założenia dotyczącego wzrostu udziałów w rynku ocenianej interwencji,
- brak uwzględnienia w AWB kosztu przeprowadzenia dodatkowych badań / kosztów podania leku w ramieniu ocenianej interwencji,
- nie wyjaśniono zakresów zmienności przyjętych w analizie wrażliwości,
- nie przedstawiono uzasadnienia, dlaczego w analizie podstawowej przyjęta wysokość dawki produktu leczniczego nie była wielokrotnością dawki zawartej w jednej, niepodzielnej kapsułce,
- AWB nie została przeprowadzona w populacji zgodnej z wnioskiem refundacyjnym.

Brak wyszczególnienia wydatków na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku refundacyjnym

Niektóre AWB nie zawierały ilościowej prognozy rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, przy założeniu, że MZ wyda decyzję o objęciu refundacją – np. nie wyszczególniono kosztów wnioskowanej interwencji (koszt substancji czynnej), przedstawiono jedynie koszty całego schematu trójlekowego. Nie oszacowano kosztów leczenia standardowego.

Analiza wpływu na budżet nie zawierała oszacowania aktualnych rocznych wydatków, ponoszonych z tytułu refundacji wnioskowanej technologii w momencie złożenia wniosku lub przedstawione wydatki nie były oszacowane w rocznym horyzoncie (a np. w krótszym niż rok).

Niepoprawny horyzont analizy

Odpowiednie oszacowania w AWB nie były dokonywane w horyzoncie czasowym właściwym dla AWB – np. horyzont czasowy ustalono na pełne lata 2017-2018, podczas gdy prawdopodobna data wejścia w życie decyzji refundacyjnej to połowa 2017 r.

Horyzont czasowy analizy wpływu na budżet wynoszący dwa lata nie był, w opinii Agencji, wystarczający do ustalenia równowagi na rynku.

Brak danych bibliograficznych wykorzystanych publikacji

Analiza wpływu na budżet nie zawierała danych bibliograficznych publikacji, z zachowaniem stopnia szczegółowości umożliwiającego jednoznaczny identyfikację – brak odniesienia bibliograficznego pozycji wymienionej w AWB.

4.2. Import docelowy

Zgodnie z art. 39 ust. 3c ustawy o refundacji zlecenia dotyczące importów docelowych powinny zawierać elementy, o których mowa w art. 12 pkt 8 i 9 ustawy o refundacji tj. odniesienie się do konkurencyjności cenowej i oszacowanie wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców (2). W latach 2017-2018 zrealizowano 60 takich opracowań.

W większości zrealizowanych opracowań odnoszono się do szacowanego wpływu na wydatki płatnika publicznego, jednak w niektórych z nich ograniczono się do przedstawienia danych przekazanych wraz ze zleceniem MZ dotyczące finansowania (liczby wniosków o refundację, liczby wniosków rozpatrzonych pozytywnie, liczby unikalnych numerów PESEL we wnioskach, liczby sprowadzonych opakowań i łącznej kwoty zgód na refundację), bez dalszego oszacowania ewentualnego wpływu na budżet. Brak tych oszacowań był spowodowany wieloma czynnikami i ograniczeniami.

W tych opracowaniach, w których szacowano ewentualny wpływ na budżet płatnika, związany z wydaniem pozytywnej decyzji odnośnie do finansowania, przyjęto różną metodykę. W niektórych opracowaniach szacowany wpływ na budżet płatnika publicznego był wynikiem iloczynu liczby pacjentów, średniej liczby opakowań przypadających na pacjenta lub zdefiniowanych dawek dobowych oraz średniego kosztu za opakowanie / dawkę.

Ograniczenia w oszacowaniu wielkość populacji

Liczba pacjentów, u których oceniana technologia mogłaby być stosowana po objęciu jej refundacją w ramach importu docelowego zazwyczaj była pozyskiwana z opinii ekspertów, do których Agencja wystąpiła z prośbą o przekazanie takiej opinii. W przypadku niepozyskania opinii ekspertów wskazywano, że nie było możliwości oszacowania wpływu sfinansowania przedmiotowej technologii w ramach importu docelowego na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców.

Niejednokrotnie dane MZ przekazane wraz z wnioskiem podano jedynie dla jednego roku, co uniemożliwiało ewentualne wyznaczenie linii trendu i oszacowanie populacji rocznej – wtedy odstępowano od szacowania wydatków ponoszonych na refundację ocenianej technologii medycznej w kolejnych latach.

Zdarzało się, że dane udostępnione przez MZ zostały podane łącznie za okres kilku lat, bez podziału na lata, w związku z czym oszacowanie przeprowadzone w skali roku było znacznie utrudnione i obarczone błędem. Niejednokrotnie przekazane dane nie obejmowały pełnego roku kalendarzowego, stąd wyznaczenie liczebności rocznej populacji było niemożliwe.

Ponadto, były dopuszczalne sytuacje, że pacjent uzyskał zgodę na refundację produktu w więcej niż jednym wskazaniu (gdy wniosek o import był rozpatrywany w kilku wskazaniach), stąd liczba unikalnych numerów PESEL przekazanych wraz z wnioskiem nie stanowiła faktycznej liczby pacjentów przyjmujących oceniane produkty.

Ograniczenia w oszacowaniu wielkości ponoszonych nakładów finansowych

Gdy wnioskowana technologia nie była dotąd refundowana w ramach importu docelowego, głównym ograniczeniem było ustalenie rzeczywistej ceny przy braku danych – np. nieznaności kraju, z którego dany produkt był importowany czy też cen ocenianego produktu obowiązujących w tym kraju (a dodatkowo np. z uwzględnieniem innych opłat, np. kosztów manipulacyjnych zamówienia) po jakich produkt będzie sprowadzany do Polski.

Gdy wnioskowana technologia była już refundowana w ramach importu docelowego, a przeprowadzana ocena miała za zadanie ocenić zasadność dalszego jej finansowania ze środków publicznych, ograniczeniem mającym istotny wpływ na możliwość szacowania wpływu na budżet płatnika publicznego były koszty za opakowanie tej technologii przekazane wraz z wnioskiem MZ.

Dane przekazywane przez MZ odnoszące się do ceny / kosztu ocenianej technologii dotyczyły różnych wartości, np.:

- średniej ceny sprzedaży leku do apteki, która nie zawierała marży apteki, a szacowana na potrzeby oceny zasadności wydawania zgód na refundację kwota nie stanowiła kwoty, która rzeczywiście poniósł płatnik publiczny,
- łącznej kwoty zgód na refundację pozyskanych na podstawie danych uzyskiwanych od hurtowni farmaceutycznych – bez doszczegółowienia czy była to kwota netto czy brutto,
- kwot, które nie zawierały VAT, marży hurtowej oraz marży detalicznej produktu ani dopłaty świadczeniobiorców. W związku z powyższym kwota refundacji poniesiona przez płatnika publicznego była prawdopodobnie wyższa niż to wynikała z udostępnionych przez MZ danych i jednocześnie trudna do dokładnego oszacowania,
- kosztów ZSPM, które w ramach importu docelowego mogą być sprowadzane zarówno za pośrednictwem aptek ogólnodostępnych jak i aptek szpitalnych. Sposób sprowadzenia produktu warunkuje sposób finansowania, a tym samym ostateczną wielkość wydatków płatnika publicznego poniesionych na refundację, które były przez to trudne do oszacowania,
- kwoty, które uwzględniały, zgodnie z informacją uzyskana od MZ „średnie ceny sprzedaży netto w danym roku”. Kwoty te dotyczyły zatem cen sprzedaży netto, jednak z danych nie wynikało, czy cena sprzedaży netto oznacza urzędową cenę zbytu czy cenę hurtową. Z tego względu wydatki poniesione przez płatnika mogły być wyższe niż przedstawione w otrzymanych z MZ danych (brak uwzględnienia marż detalicznych i ewentualnie marż hurtowych).

Ograniczenia wnioskowania na temat szacowanego wpływu na wydatki płatnika publicznego i świadczeniobiorców wynikające z przyjętych założeń:

- w opracowaniach niejednokrotnie zakładano upraszczająco, że wszyscy pacjenci otrzymają wszystkie dawki terapii przez cały rok (brak danych nt. odsetków dyskontynuacji terapii),
- często istniały obiektywne trudności z określeniem stosowanej dawki dobowej oraz czasu trwania terapii,
- nie było dostępnych danych na temat długości stosowania poszczególnych produktów – dane dla części pacjentów mogły dotyczyć okresu krótszego niż rok,
- przedstawione oszacowania były często podawane w szerokim zakresie, bez wskazania wartości najbardziej prawdopodobnej, jako niemożliwej do oszacowania,
- nie przedstawiono wpływu na wydatki świadczeniobiorców, choć w niektórych opracowaniach przedstawiano informację, iż zgodnie z art. 39 ust. 1 ustawy o refundacji świadczeniobiorca zobowiązany jest do uiszczenia opłaty ryczałtowej za opakowanie jednostkowe,
- w założeniach dotyczących średniorocznego kosztu terapii na jednego pacjenta przyjmowano średnią liczbę opakowań leków z wniosku MZ przypadających na jednego pacjenta oraz średni koszt za opakowanie leku, co mogło nie odzwierciedlać rzeczywistych wydatków,
- w przypadku, kiedy w ramach importu docelowego sprowadzane były różne wielkości opakowań danego produktu dane uzyskane od MZ nie pozwalały jednoznacznie stwierdzić czy pacjenci nie korzystali z kilku produktów jednocześnie w przypadku pojedynczej terapii.

Podsumowując, dane uzyskiwane od MZ wraz z pismem zlecającym często niejednoznacznie wskazywały koszt produktu za opakowanie. Dodatkowo istniały ograniczone możliwości rzetelnego określenia wielkości populacji, w której oceniana technologia byłaby stosowana w przypadku wydania zgody na refundację w ramach importu docelowego, przy założeniu, że zastosowanie ocenianej technologii jest niezbędne dla ratowania życia lub zdrowia pacjenta (art. 4 ust. 1 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo Farmaceutyczne) (6), a szacowanie ewentualnego wpływu na wydatki płatnika publicznego, często przy skąpych danych klinicznych i braku jakichkolwiek innych danych mogących posłużyć za założenia do określania wielkości wpływu na budżet, skutkuje jedynie bardzo ograniczonymi możliwościami Agencji do spełnienia wymogów wskazanych w art. 12 pkt. 8-9 ustawy o refundacji oraz do przeprowadzenia oceny zgodnej z Wytocznymi HTA. Próby przeprowadzenia oszacowań wpływu na wydatki płatnika publicznego w opracowaniach dotyczących oceny zasadności wydawania zgód na refundację produktów sprowadzanych w ramach importu docelowego cechują się wieloma ograniczeniami.

4.3. Ratunkowy dostęp do technologii lekowych

Zgodnie z art. 47f ust. 3 ustawy o świadczeniach opinia Agencji odnośnie do zasadności finansowania danego produktu ze środków publicznych w ramach RDTL powinna zawierać elementy, o których mowa w art. 12 pkt 8 i 9 ustawy o refundacji tj. odniesienie się do konkurencyjności cenowej i oszacowanie wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców (5). W latach 2017-2018 zrealizowano w Agencji 70 opracowań dot. RDTL, na podstawie których została wydana opinia Agencji. Żadne z 70 opracowań nie dotyczyło zlecenia MZ wydanego celem kontynuowania terapii u pacjenta, dla którego została wydana uprzednio zgoda na sfinansowanie leku w ramach RDTL.

W większości zrealizowanych opracowań odnoszono się do szacowanego wpływu na wydatki płatnika publicznego, a ewentualny brak tych oszacowań był spowodowany wieloma czynnikami i ograniczeniami.

W tych opracowaniach, w których szacowano wpływ na budżet płatnika, związany z wydaniem pozytywnej decyzji odnośnie do finansowania, przyjęto różną metodykę i założenia, które były spowodowane m.in. niedostateczną ilością informacji przekazanych wraz ze zleceniem MZ odnośnie do stanu klinicznego pacjenta, dla którego został złożony wniosek, brakiem danych nt. szacowanej populacji, w której dany produkt mógłby być stosowany oraz problemów z precyzyjnym określeniem kosztów stosowania ocenianej technologii.

Zakres informacji, jakie są przekazywane Agencji przez MZ wraz ze zleceniem obejmuje m.in. następujące dane:

- dane dotyczące wnioskowanego produktu – w tym jego ilości, sposobu dawkowania, planowanego okresu terapii lub liczby cykli leczenia, wartości netto wnioskowanej terapii albo cykli leczenia wraz z jej uzasadnieniem,
- informacje dotyczące choroby lub problemu zdrowotnego – w tym rodzaj wniosku (pierwszy lub kolejny), wskazanie choroby lub problemu zdrowotnego, określenie okresu wnioskowanej terapii albo liczby cykli leczenia,
- dane konsultanta, który przygotował opinię do przedmiotowego wniosku,
- ewentualnie inne uwagi dotyczące zastosowania leku lub stanu klinicznego pacjenta.

Zakres przekazywanych Agencji przez MZ danych pokrywa się z danymi przekazywanymi we wniosku o RDTL do MZ (wg art. 47e ust 1 ustawy o świadczeniach), jednak zazwyczaj nie zawiera np. opisu przebiegu dotychczasowego leczenia oraz opinii konsultanta zawierającej ocenę zasadności zastosowania danego produktu u konkretnego pacjenta. W związku z brakiem danych przedstawione w opracowaniach Agencji oszacowania wpływu na wydatki płatnika publicznego cechują się wieloma ograniczeniami. Dodatkowo, należy nadmienić, że Agencja ma łącznie 30 dni (zgodnie z art. 47f ust. 3 ustawy o świadczeniach) na przygotowanie opinii od momentu wypłynięcia zlecenia MZ. Ograniczony na przeprowadzenie oceny czas nie sprzyja wykonywaniu pogłębionych oszacowań.

Poniżej wymieniono wybrane ograniczenia, które były wymieniane w opracowaniach Agencji dot. RDTL, dotyczące metodyki i założeń, na podstawie których szacowano wpływ na wydatki płatnika publicznego. Ponieważ za lek podawany w ramach RDTL pacjent nie ponosi opłaty (art. 47i ustawy o świadczeniach), nie ma konieczności przedstawiania w opracowaniach Agencji szacowanego wpływu na wydatki świadczeniobiorców.

Ograniczenia dotyczące nieznamości / niewielkiej wiedzy nt. stanu klinicznego konkretnego pacjenta, które komplikują wybór technologii alternatywnej

W zleceniach MZ nie przedstawiono informacji precyzującej opis choroby pacjenta, natomiast np. przegląd wytycznych wskazywał, że strategia terapeutyczna u chorych będzie się różnić w zależności od konieczności zastosowania profilaktyki, leczenia powikłań czy też obecności innych współtowarzyszących chorób, w związku z czym istniały problemy z określeniem technologii alternatywnej i odniesienia się do konkurencyjności cenowej technologii wnioskowanej i alternatywnej.

Ograniczenia dotyczące braku możliwości precyzyjnego określenia kosztów terapii i wydatków płatnika publicznego związanych z refundacją wnioskowanego produktu w ramach RDTL

- dawkowanie: Agencja zwracała uwagę na nieścisłości w części zleceń MZ dotyczącej informacji o sposobie dawkowania wnioskowanej technologii, która nie była wielokrotnością dawki pojedynczej (zawartej np. w fiole lub kapsułce), a dodatkowo w zleceniu MZ nie przedstawiano kosztu ani sposobu finansowania brakującej części dawki produktu, których zapotrzebowania nie pokrywała wnioskowana wielkość opakowania. Nie było jasne, w jaki sposób obliczyć koszt stosowania technologii wnioskowanej – przypuszczano, że o inną prezentację wnioskowanego leku również wystąpiono w ramach RDTL.

W opracowaniach podnoszono również niepewność co do dawkowania ocenianej terapii związaną ze wskazanym w zleceniu MZ dawkowaniem – zwracano uwagę, że przyjęte dawkowanie i liczba cykli są niezgodne z ChPL lub że ChPL nie dopuszcza możliwości podziału fiolek leku i wykorzystania niezużytej części leku w późniejszym

terminie z uwagi np. na fakt, że podział zawartości fiołki przed rekonstytucją roztworu niesie ze sobą ryzyko odmierzenia nieprecyzyjnej dawki oraz skażenia mikrobiologicznego preparatu w okresie do następnego podania leku. Stanowiło to niepewność odnośnie do przyjętych założeń i było ograniczeniem przedstawionych oszacowań.

W opracowaniach podnoszono problem związany z szacowaniem kosztów wnioskowanej terapii w związku z określeniem dawkowania w przeliczeniu na masę ciała dla konkretnego pacjenta, co utrudniało wskazanie szacowanych wydatków w ewentualnej populacji docelowej, która również mogłaby skorzystać z tej terapii,

- koszty terapii: wielokrotnie w opracowaniach podnoszono problem określenia „wartości netto” wnioskowanej terapii. Podnoszono wątpliwości, co oznacza „wartość netto” – czy jest to wartość określająca cenę zbytu netto czy jakkolwiek inną cenę zawierającą marżę i VAT. Ostatecznie w większości opracowań zakładano, że chodzi o cenę zbytu netto, mimo, że były co do tego niepewności. Zdarzało się, że „wartość netto” wskazana w zleceniu MZ była najprawdopodobniej ceną hurtową brutto z Obwieszczenia MZ, gdyż lek był refundowany w innym wskazaniu i posiadał oficjalną cenę hurtową brutto. Było to istotne o tyle, że gdyby założyć za pismem MZ, iż podany koszt jest kosztem netto, to przy przeliczeniu go na koszty brutto, w ewentualnej pozytywnej decyzji administracyjnej MZ na pokrycie kosztów ocenianego leku w ramach RDTL, kwota określona w tej decyzji byłaby wyższa niż wynikająca z zastosowania do obliczeń ceny hurtowej brutto, co jest niezgodne z art. 47i ust. 2 ustawy o świadczeniach. Zgłaszano także problem z określeniem kosztów najlepszej terapii wspomagającej / braku aktywnego leczenia, obejmującej zazwyczaj leki i procedury refundowane ze środków publicznych, które zazwyczaj były stosowane także w ramieniu ocenianej interwencji. W związku z powyższym wskazywano jedynie koszt ocenianego produktu, bez jakichkolwiek innych kosztów, co było ograniczeniem szacowania wpływu na wydatki płatnika publicznego w przypadku objęcia refundacją ocenianej technologii. W obliczeniach nie uwzględniano m.in. kosztów podania leków czy leczenia działań niepożądanych,
- dostępność produktów generycznych / biopodobnych i technologii alternatywnych: wątpliwości budziło również niewystępowanie we wnioskach kierowanych do MZ w ramach RDTL o produkt generyczny / biopodobny tylko o referencyjny, który był droższy. Kolejne wątpliwości przy przeprowadzaniu oszacowań występowały, gdy dla ocenianej technologii był dostępny komparator, jednak był on nierefundowany / niedostępny w Polsce itp. i w związku z tym nie miał oficjalnej ceny,
- czas leczenia: składane wnioski dotyczyły trzech miesięcy terapii lub trzech cykli leczenia, zaś w raportach dokonywano dodatkowych obliczeń wpływu na wydatki w przeliczeniu na rok. Wiązało się to z założeniem, że dana terapia będzie kontynuowana przez cały rok (brak dyskontynuacji, nieuwzględnienie często wysokiej śmiertelności wśród pacjentów) oraz że zostanie wydana kolejna zgoda na refundację leku w ramach RDTL, co obarczone było niepewnością a przedstawione oszacowania cechowały się znacznymi ograniczeniami. W przeliczeniach dotyczących szacowanego wpływu na wydatki z uwzględnieniem większej populacji zakładano także, że wszyscy pacjenci rozpoczną terapię w tym samym momencie. Wiąże się to z ograniczeniami wynikającym z przyjętych, upraszczających założeń.

Ograniczenia dotyczące oceny konkurencyjności cenowej

Istotnym ograniczeniem oszacowań był brak znajomości ceny / kosztu produktu generycznego / biopodobnego oraz brak znajomości ceny /kosztu ewentualnej technologii alternatywnej – gdy takowe były zarejestrowane, ale nierefundowane bądź niedostępne rynkowo (nie była prowadzona ich sprzedaż na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej).

W sytuacjach, gdy prócz ocenianego produktu leczniczego możliwe są do zastosowania inne produkty, które nie są refundowane, a często też nie są dostępne na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej, określenie ich ceny i kosztu jest obarczone niepewnością. Dodatkowo istnieje niepewność co do możliwości ich zastosowania przez pacjenta – jeśli takie produkty są zarejestrowane (np. centralnie), ale podmiot nie prowadzi ich sprzedaży w Polsce, taki produkt mógłby być dostępny dla pacjenta w praktyce tylko w ramach importu docelowego, jednak zgoda na refundację produktu sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego wymaga wydania pozytywnej decyzji administracyjnej MZ. Przedstawienie w opracowaniach Agencji informacji nt. konkurencyjności cenowej jest zatem niełatwe.

Ograniczenia dotyczące szacowania liczebności pacjentów

Szacunki dotyczące liczebności pacjentów, którzy mogliby skorzystać z ocenianej terapii w ramach RDTL były oparte głównie o otrzymane opinie eksperckie – jeśli takie zostały przekazane lub o dane zawarte we wcześniejszych analizach weryfikacyjnych, jeśli takie były wykonywane. Do ograniczeń korzystania z danych zawartych we wcześniejszych AWA zalicza się m.in. fakt, że często w AWA była rozpatrywana nieco inna populacja (wskazanie wnioskowane w AWA mogło nie być tożsame ze wskazaniem ocenianym w ramach RDTL a dodatkowo należy brać pod uwagę, że korzystanie z RDTL jest uzasadnione, gdy zostały wykorzystane wszystkie refundowane ze środków publicznych opcje leczenia).

Do ograniczeń możliwości szacowania populacji zaliczyć można brak możliwości, w większości przypadków, do korzystania z danych NFZ, jako że zazwyczaj nie odzwierciedlają one rzeczywistej populacji (nie jest pewne, jaka część pacjentów jest w sytuacji, w której wyczerpano wszystkie możliwe do zastosowania w tym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych).

Dodatkowo, w opracowaniach wskazywano następujące ograniczenie: wartość wpływu na wydatki płatnika publicznego, która została oszacowana w wyniku przemnożenia kosztów trzech cykli terapii dla jednego pacjenta przez potencjalną liczbę pacjentów. Kalkulacja taka nie stanowi klasycznej AWB.

Podsumowując, dane uzyskiwane od MZ wraz z pismem zlecającym były często niewystarczające do precyzyjnego oszacowania wydatków płatnika publicznego związanych z refundacją ocenianej technologii w ramach RDTL. Dodatkowo istniały ograniczone możliwości rzetelnego określenia wielkości populacji, w której oceniana technologia byłaby stosowana w przypadku wydania zgody na refundację w ramach RDTL, przy założeniu wykorzystania wszystkich refundowanych w Polsce opcji terapeutycznych. Szacowanie ewentualnego wpływu na wydatki płatnika publicznego, często przy skąpych danych klinicznych i braku jakichkolwiek innych danych mogących posłużyć za założenia do określania wielkości wpływu na budżet, skutkuje jedynie bardzo ograniczonymi możliwościami Agencji do spełnienia wymogów wskazanych w art. 12 pkt. 8-9 ustawy o refundacji oraz do przeprowadzenia oceny zgodnej z Wytycznymi HTA. Próby przeprowadzenia oszacowania wydatków płatnika publicznego w opracowaniach dotyczących RDTL cechują się wieloma ograniczeniami.

4.4. Grupy limitowe

W latach 2017-2018 w WOT zrealizowano dwa opracowania przygotowane na potrzeby wydania opinii Rady Przejrzystości i ewentualnie opinii Prezesa Agencji dotyczące oceny zasadności utworzenia odrębnej grupy limitowej dla wybranych produktów leczniczych, zlecone przez MZ w trybie art. 31 n pkt 5 ustawy o świadczeniach. W przygotowanych opracowaniach uwzględniono perspektywę płatnika publicznego i perspektywę pacjenta i założono roczny horyzont czasowy.

Przyjęto dwa scenariusze:

- istniejący, który zakładał utrzymanie grupy limitowej w jej dotychczasowym kształcie,
- nowy, który zakładał objęcie refundacją wnioskowanych produktów leczniczych w ramach nowej grupy limitowej. Założono, że oceniane produkty będą objęte refundacją w takich samych wskazaniach, jak to wynika z odpowiedniego Obwieszczenia MZ i będą dostępne dla pacjentów z takim samym poziomem odpłatności jak w ww. Obwieszczeniu MZ.

W opracowaniach WOT uwzględniano jedynie koszty leków. Przedstawiono koszty dla scenariusza istniejącego i nowego oraz obliczono koszt inkrementalny dla płatnika publicznego i pacjenta.

W jednej z ocen, oprócz analizy podstawowej, przeprowadzono analizę wrażliwości (zakładającą, że w przypadku utworzenia nowej grupy limitowej dla wnioskowanych leków, przejmą one część rynku innych leków, z którymi były do tej pory w jednej grupie limitowej).

Ograniczenia dotyczące szacowania wpływu na wydatki płatnika publicznego:

- konieczność przyjęcia w opracowaniach WOT arbitralnych założeń co do wielkości sprzedaży leków, a także wielkości przejścia rynku przez leki. Założenia dotyczące przejścia rynku poparte były opiniami od ekspertów klinicznych, jednak ze względu na brak danych wielkość przejścia została oszacowana arbitralnie przez analityków Agencji, co było związane z dużą niepewnością,
- przyjęcie arbitralnego i nie konserwatywnego założenia, że sprzedaż leków z obecnej grupy limitowej będzie taka sama w roku w którym była wykonywana ocena jak w roku poprzednim,
- przyjęcie danych z Komunikatów NFZ, gdzie podane są wartości dla wszystkich refundowanych wskazań.

4.5. Inne zadania

W ramach 27 opracowań, zrealizowanych na zlecenie MZ w trybie art. 31 n pkt 5 ustawy o świadczeniach w latach 2017-2018, 13 opracowań dotyczyło zmian w programie lekowym. W przypadku 10 zleceń MZ nie wskazał wprost prośby o wykonanie oszacowań wpływu na wydatki płatnika publicznego. W pozostałych trzech zleceniach wskazano prośbę:

- o odniesienie się w opinii Agencji, czy zmiana wpłynie na zwiększenie populacji pacjentów leczonych w programie oraz czy wpłynie na długość trwania terapii,
- o odniesienie się w opinii Agencji do aspektu ilości włączanych do programu pacjentów, jak również do zmian obciążenia budżetu płatnika publicznego na realizację tego programu lekowego, po wprowadzeniu opisanej w zleceniu modyfikacji,
- o ocenę populacji oraz wpływ na budżet dwóch wariantów oferty złożonej przez wnioskodawcę.

W 10 zleceniach MZ, w których nie odniesiono się do konieczności wykonania oszacowań wpływu na budżet płatnika:

- w jednym raporcie Agencji nie wykonano oszacowań wpływu na budżet płatnika,
- w czterech raportach Agencji wskazano, że przez wzgląd na szeroki zakres otrzymanego zlecenia oraz termin jego realizacji, możliwe było jedynie wskazanie, które zmiany treści programu lekowego mają potencjalnie znaczący wpływ na wydatki płatnika publicznego (w jednym z tych raportów powołano się również w tym zakresie na opinię ekspertów klinicznych),
- w jednym raporcie Agencji w ramach oceny wpływu zmian ocenianych programów lekowych na budżet płatnika publicznego przedstawiono opinię eksperta klinicznego oraz opinię analityków Agencji,
- w trzech raportach Agencji opisano aktualny stan finansowania ze środków publicznych w Polsce (zgodnie z aktualnym na czas pracy na raporcie Obwieszczeniem MZ). W dwóch z tych raportów przedstawiono dane NFZ (Komunikaty NFZ) takie jak: ilość wydanego leku i kwota refundacji. W jednym z raportów przedstawiono dane NFZ dotyczące ocenianego programu lekowego z podziałem na lata (liczba pacjentów, krotność rozliczonych produktów, wartość rozliczonych jednostek rozliczeniowych). Dodatkowo w jednym z tych raportów wskazano, że wpływ proponowanych zmian na wydatki płatnika jest trudny do oszacowania (opisano jak każda proponowana zmiana mogłaby wpłynąć na wydatki płatnika), a w drugim z tych raportów przeprowadzono oszacowania własne w zakresie prognozy wydatków płatnika publicznego w związku z rozszerzeniem populacji włączanej do programu lekowego. Oszacowania te wykonano przy uwzględnieniu populacji wskazanej przez eksperta i przyjmując liczne założenia. Zaznaczono, że wskazana kwota nie stanowi dokładnej kwoty, o którą wzrosną wydatki płatnika publicznego. Podkreślono, że brak jest jednak dokładnych danych pozwalających oszacować liczebność tej populacji, a w związku z tym dokładną wartość inkrementalnego wpływu na budżet,
- w jednym raporcie Agencji posłużono się modelem farmakoekonomicznym dołączonym do wniosku o objęcie refundacją leków we wskazaniu podobnym do rozpatrywanego. Wskazano, że, jeżeli nie określono inaczej, przyjęto założenia tożsame z założeniami wnioskodawcy. W opracowaniu przedstawiono wyniki analizy wpływu na budżet (scenariusze: istniejący i nowy oraz koszty inkrementalne).

W zleceniach, w których odniesiono się do konieczności wykonania oszacowań wpływu na budżet:

- w jednym raporcie Agencji (ocena, czy zmiana wpłynie na zwiększenie populacji pacjentów leczonych w programie lekowym oraz czy wpłynie na długość trwania terapii, w tym koszty) wykorzystano obliczenia AWB wnioskodawcy z AWA dotyczącej podobnego problemu,
- w jednym raporcie Agencji (ocena liczby włączanych do programu pacjentów, jak również zmiany obciążenia budżetu płatnika publicznego na realizację tego programu) przeanalizowano obliczenia AWB wnioskodawcy z AWA dotyczącej podobnego problemu. Przez wzgląd na brak uwzględnienia jednej ze zmiennych w oszacowaniach populacji, nie można było wykorzystać danych z AWA. Biorąc pod uwagę to oraz fakt, że nie otrzymano żadnej opinii od ekspertów, wskazano, że nie można było oszacować wpływu proponowanej zmiany na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych,
- w jednym raporcie Agencji oceniano wpływ na budżet dwóch wariantów oferty złożonej przez wnioskodawcę za pomocą zmodyfikowanego modelu wnioskodawcy.

W ramach realizacji zleceń MZ z art. 31 n pkt 5 ustawy o świadczeniach w latach 2017-2018, powstały dwa opracowania, które dotyczyły oceny zasadności dalszej refundacji / braku podstaw do dalszej refundacji / zmiany zakresu refundacji określonych produktów leczniczych w ramach chemioterapii. W zleceniach tych zawarto prośbę m.in. o ocenę wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych. W opracowaniach tych prognozę wydatków oparto na Komunikatach NFZ dotyczących wydatków na refundację rozpatrywanej substancji czynnej

we wszystkich refundowanych wskazaniach z listy „C – chemioterapia” łącznie. W opracowaniu wskazano, że należy mieć na uwadze, że ww. dane obejmują również wskazanie nieobjęte zleceniem MZ. Wskazano również, że można jednak przypuszczać, że wydatki w tak określonym wskazaniu stanowią niewielki odsetek całkowitych wydatków na refundację rozpatrywanej substancji czynnej. Podkreślono, że dostępna seria danych jest relatywnie krótka i obejmuje jedynie kilkadziesiąt miesięcznych obserwacji.

Pozostałe opracowania zlecone przez MZ z art. 31 n pkt 5 ustawy o świadczeniach i zrealizowane w latach 2017-2018 dotyczyły różnych kwestii. Zakres zlecenia i zakres wykonywanych czynności w ramach oszacowania wpływu na budżet płatnika był różny.

W dwóch z tych zleceń nie wykonano kalkulacji związanych z wpływem na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (w tych przypadkach w zleceniu nie było prośby o oszacowanie populacji / wpływu na wydatki płatnika publicznego).

W jednym przypadku zlecenie zostało wycofane i Agencja nie stworzyła żadnego opracowania.

Pozostałymi pięcioma zleceniami MZ z art. 31 n pkt 5 ustawy o świadczeniach zrealizowanymi w latach 2017-2018 były:

- raport dotyczący zmiany zakresu wniosku – przeprowadzenie analizy weryfikacyjnej, m.in. AWB, na nowych analizach przedłożonych przez wnioskodawcę,
- raport dotyczący opinii, czy zmiana dawkowania w ChPL dwóch leków wcześniej ocenianych przez Agencję miałaby wpływ na wydaną opinię:
 - ✓ przeprowadzono nowe obliczenia inkrementalnych kosztów ponoszonych przez NFZ w wariantcie uwzględniającym wnioskowany RSS,
 - ✓ wykorzystano do tego celu modele wnioskodawców, użyte w ramach analiz, które były oceniane w Agencji przy wnioskach refundacyjnych leków, aktualnie rozpatrywanych, w poprzednich latach,
 - ✓ wyniki AWB przedstawiono w formie: wydatków inkrementalnych płatnika publicznego oraz średniego wzrostu wydatków z budżetu NFZ,
- raport dotyczący oceny leku w porównaniu do innych leków finansowanych w ramach jednego z programów polityki zdrowotnej. Zlecenie Ministra Zdrowia nie zawierało prośby o wykonanie oszacowań wpływu na budżet. W raporcie przedstawiono wydatki płatnika publicznego przytaczając AWB przedstawioną przez podmiot odpowiedzialny dla rozpatrywanego leku (przedstawiono założenia wnioskodawcy oraz wskazano scenariusze: istniejący i nowy oraz koszty inkrementalne – wszystko w wariantcie najbardziej prawdopodobnym i w dwóch wariantach skrajnych, tzn. minimalnym i maksymalnym,
- raport dotyczący ponownego wyszukiwania badań dotyczących skuteczności klinicznej i praktycznej oraz bezpieczeństwa od daty wydania Rekomendacji Prezesa: zlecenie nie zawierało prośby o wskazanie wpływu na wydatki płatnika publicznego i raport nie zawierał takich elementów,
- raport dotyczący wydania opinii w zakresie skuteczności klinicznej i praktycznej oraz bezpieczeństwa stosowania jednego z leków w realizowanym programie lekowym: zlecenie nie zawierało prośby o skazanie wpływu na wydatki płatnika publicznego i raport nie zawierał takich elementów.

Pozostałe 4 z 27 opracowań, określone na potrzeby niniejszej publikacji jako „inne zadania”, to opracowania dotyczące oceny zasadności finansowania produktów stosowanych poza wskazaniami zarejestrowanymi – *off-label*. Zakwalifikowanie ich do kategorii „inne zadania” wynikało ze zmiany instrukcji kancelaryjnej Agencji w 2017 r. Poniżej odniesiono się do ograniczeń oszacowań wpływu na budżet płatnika publicznego w tych opracowaniach.

4.6. Oceny typu *off-label*

W latach 2017-2018 w Agencji przygotowano łącznie 61 opracowań dotyczących oceny zasadności finansowania leków *off-label* (cztery opracowania z kategorii „inne zadania” i 57 z kategorii *off-label*). W opracowaniach tych podjęto próby oszacowania wpływu na budżet płatnika w związku z zastosowaniem leków we wskazaniach pozarejestacyjnych.

W związku z przygotowaniem bardzo dużej liczby cyklicznych opracowań, w związku z nowelizacją ustawy o refundacji, w listopadzie 2018 roku wprowadzono nowy szablon opracowania, który nie uwzględniał szacowania wpływu na budżet płatnika publicznego z powodu ograniczeń, które uprzednio pojawiały się w opracowaniach analitycznych. Rodzaje ograniczeń możliwości szacowania wpływu na budżet płatnika na podstawie opracowań Agencji *off-label* przedstawiono poniżej.

Ograniczenie wynikające z braku danych z NFZ

Zgodnie z informacjami przekazanymi przez NFZ, ze względu na fakt, iż dane o refundacji aptecznej nie zawierają informacji o rozpoznaniu, w którym są stosowane, nie było możliwe wskazanie zarówno liczby pacjentów stosujących poszczególne substancje czynne w ocenianych rozpoznaniach, jak również liczby opakowań leków oraz kwoty refundacji. W opracowaniach Agencji za bezpodstawne uznano również przedstawienie danych na podstawie publikowanych przez NFZ komunikatów o kwotach refundacji i ilości zrefundowanych opakowań jednostkowych leków w poszczególnych latach (Komunikaty NFZ), ponieważ podane kwoty dotyczą wszystkich wskazań, zarówno rejestracyjnych, jak i pozarejestracyjnych, w których refundowane są oceniane leki. Z obiektywnych powodów nie było możliwe oszacowanie dotychczasowych wydatków płatnika ponoszonych na refundację danych produktów we wskazaniach pozarejestracyjnych.

Ograniczenie dotyczące wiarygodnych danych odnoszących się do wielkości populacji docelowej w ocenianym wskazaniu

W niektórych przypadkach obliczenia Agencji odnoszące się do wpływu na budżet płatnika publicznego były oszacowane na podstawie danych populacyjnych uzyskanych od ekspertów klinicznych lub od tylko jednego eksperta, co było obarczone niepewnością.

W związku z brakiem pełnych danych na temat wielkości populacji docelowej, w kilku opracowaniach Agencji szacowano koszty w przeliczeniu na jednego pacjenta, co nie pozwalało na określenie całkowitego wpływu na budżet płatnika.

Nawet w przypadku otrzymania danych z NFZ dotyczących liczby pacjentów z konkretnym rozpoznaniem wg kodu ICD-10 nie było możliwe precyzyjne określenie wielkości populacji docelowej przez wzgląd na fakt, że nie wszyscy pacjenci z danym rozpoznaniem kwalifikowaliby się do leczenia ocenianą substancją.

Mając na uwadze brak możliwości precyzyjnego oszacowania populacji docelowej, w opracowaniach Agencji często podawano przedział w jakim mogą mieścić się potencjalne wydatki płatnika publicznego.

Ograniczenie związane z brakiem określonych danych demograficznych i klinicznych pacjentów

Niektóre z ocenianych substancji podawane są w przeliczeniu na kg masy ciała lub powierzchnię ciała pacjenta. Ze względu na brak informacji na temat przeciętnego wieku/ masy ciała lub jej powierzchni u osób z danym rozpoznaniem, w obliczeniach przyjmowano np. dawkowanie dla „standardowego” dorosłego człowieka. Należy jednak pamiętać, że w rzeczywistości dawka podawana pacjentom mogła być inna.

Ograniczenie związane z niepewną dawką leku oraz czasem leczenia

Ze względu na fakt, że oceniane wskazania były pozarejestracyjne, nie było znane dawkowanie ocenianej substancji. Czasami stosowane dawki podawane były w wytycznych klinicznych (jeśli były dostępne) lub w odnalezionych badaniach. Często podawane dawkowanie w badaniach znacznie różniło się. Często w opracowaniach Agencji posługiwano się dawką dobową leku (ang. *defined daily dose*, DDD) wg Światowej Organizacji Zdrowia. Należy zauważyć, iż było to jedynie założenie, które mogło nie odpowiadać dawce stosowanej w praktyce. Często przyjmowano założenie, że ze względu na wieloletni przebieg choroby pacjent będzie stosować lek przewlekle, choć nie było co do tego pewności.

W jednym z opracowań ankietowani eksperci kliniczni wskazali, że oceniany lek jest stosowany głównie u niemowląt, jednak oceniane wskazanie dotyczyło dzieci ogółem. W takiej sytuacji obliczano koszt podania dawki leku w przeliczeniu na średnią masę ciała wg siatek centylowych dla chłopców i dziewczynek w Polsce i wskazywano, że koszt podania dawki będzie prawdopodobnie dużo mniejszy.

Ograniczenia związane z niepewnym kosztem ocenianej substancji

Koszt ocenianej substancji był szacowany na podstawie Obwieszczeń MZ, jednak określenie realnego kosztu (tj. uwzględniającego potencjalny RSS) nie było możliwe. W opracowaniach podejmowano takie próby, szacując średni koszt ważony za DDD na podstawie Komunikatów DGL (Komunikatów NFZ), jednak było to obarczone niepewnością (z powodów opisanych powyżej).

5. Podsumowanie

Zgodnie z Wytycznymi oceny technologii medycznych z 2016 r. analiza wpływu na budżet określa konsekwencje finansowe wprowadzenia, zaprzestania refundacji lub innej zmiany warunków finansowania ocenianej technologii medycznej w polskim systemie opieki zdrowotnej. W analizie wpływu na budżet dokonuje się oceny wpływu danej technologii na jednoroczny budżet opieki zdrowotnej w okresie kilku lat następujących po wprowadzeniu nowej lub zaprzestaniu finansowania dotychczas refundowanej technologii. Zalecane jest wykonanie analizy wpływu na budżet uwzględniając: liczebność i charakterystykę badanej populacji, scenariusz przedstawiający aktualną praktykę („scenariusz istniejący”), scenariusz przewidywany po wprowadzeniu nowej/usunięciu obecnie refundowanej technologii („scenariusz nowy”), koszty ww. scenariuszy i wyniki inkrementalne. Ocena całkowitej inkrementalnej zmiany nakładów powinna uwzględniać: wydatki związane z ocenianą technologią, koszt dodatkowych nakładów w systemie ochrony zdrowia związanych z wdrożeniem ocenianej technologii, zmniejszenie nakładów związanych ze zmniejszonym stosowaniem dotychczasowych technologii w przypadku przejścia na ocenianą technologię, zmniejszenie kosztów związanych z oszczędnościami w zakresie innych świadczeń (np. redukcją hospitalizacji) (1).

Analizy weryfikacyjne Agencji, jako jedyne z dokumentów opracowywanych przez Wydział Oceny Technologii Medycznych Agencji zawierają ocenę analizy wpływu na budżet, ponieważ pozostałe opracowania Wydziału Oceny Technologii Medycznych zawierają jedynie wskazanie „wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców” co nie jest tożsame z analizą wpływu na budżet lub nie zawierają takich oszacowań wcale, jeśli nie są wymagane ustawowo lub jeśli Minister Zdrowia nie oczekuje wykonania takich oszacowań. Najczęściej zgłaszanymi przez Agencję uwagami do analiz wpływu na budżet wnioskodawcy, które wymagały stosownych uzupełnień w ramach wymagań minimalnych, były zastrzeżenia co do sposobu szacowania liczebności populacji. Pozostałymi ograniczeniami były: brak aktualności analiz wpływu na budżet na dzień złożenia wniosku, brak uzasadnienia grupy limitowej, niezgodności w oszacowaniach z uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka, nieprawidłowości w działaniu modelu farmakoekonomicznego, zastrzeżenia co do wyboru komparatorów, korzystanie przez wnioskodawcę z danych niepublikowanych i nieprzekazanie ich Agencji w celu weryfikacji, brak wariantu minimalnego i maksymalnego analizy wpływu na budżet, niejasność w oszacowaniach / brak wyszczególnienia założeń, brak wyszczególnienia wydatków na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku refundacyjnym, niepoprawny horyzont analizy oraz brak danych bibliograficznych wykorzystanych publikacji.

6. Bibliografia

1. Wytyczne oceny technologii medycznych, wersja 3.0, Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Wydawnictwo Lekarskie PZWL, Warszawa, sierpień 2016
2. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.)
3. Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 18 grudnia 2013 r. w sprawie sposobu i procedur przygotowania analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych oraz wysokości opłaty za tę analizę (Dz. U. z 2014 r., poz. 4)
4. Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu (Dz. U. z 2012 r., poz. 388)
5. Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373)
6. Ustawa z dnia 6 września 2001 r. Prawo Farmaceutyczne (DZ.U. 2019 poz. 499, 399, 959)