

## Agencja Oceny Technologii Medycznych (AOTM) Agency for Health Technology Assessment (AOTM)

**Anna Jabłecka, Katarzyna Korzeniowska, Anna Skołuda, Artur Cieślewicz**

Zakład Farmakologii Klinicznej, Katedra Kardiologii, Uniwersytet Medyczny w Poznaniu

### Streszczenie

Artykuł przedstawia strukturę, cele i metody pracy Agencji Oceny Technologii Medycznej (AOTM). (*Farm Współ 2011; 4: 9-13*)

*Słowa kluczowe:* Agencja Oceny Technologii Medycznej (AOTM), HTA (ocena technologii medycznych), Rada Konsultacyjna

### Summary

The article shows the structure, cells and methods of the work of the Agency of the Evaluation of the Medical Technology (AOTM). (*Farm Współ 2011; 4: 9-13*)

*Keywords:* Agency of the Evaluation of the Medical Technology (AOTM), HTA (Health Technology Assessment), Consultative Advice

Refundowane procedury medyczne muszą przynieść pożądane skutki terapeutyczne, gwarantować bezpieczeństwo i być uzasadnione ekonomicznie. W Polsce decyzje które świadczenie zdrowotne powinno być refundowane w ramach powszechnego ubezpieczenia zdrowotnego podejmuje Agencja Oceny Technologii Medycznych (AOTM), instytucja działająca na mocy ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych oraz o cenach (Dz. U. z 2008 r. Nr 164 poz. 1027), na zlecenie Ministra Zdrowia, a w przypadku oceny projektów programów zdrowotnych także na zlecenie jednostek samorządu terytorialnego. Na mocy nowelizacji tej ustawy z dnia 25 czerwca 2009 roku AOTM uzyskała status państwowej jednostki organizacyjnej posiadającej osobowość prawną oraz otrzymała też nowe zadania:

- wykonywanie raportów dotyczących oceny świadczeń opieki zdrowotnej;
- wydawanie rekomendacji w sprawie:
  - kwalifikacji świadczeń opieki zdrowotnej do wykazów świadczeń gwarantowanych;
  - usunięcia świadczeń z wykazu świad-

czeń gwarantowanych;

- zmiany poziomu, sposobu realizacji lub finansowania świadczeń;
- opracowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania leków bądź wyrobów medycznych jako świadczeń gwarantowanych oraz przygotowanie oceny raportów tych świadczeń.
- wydawanie opinii w sprawie projektów programów zdrowotnych.

Metodą służącą podjęciu racjonalnych decyzji o refundacji świadczeń medycznych na świecie, w Europie, a także w Polsce jest HTA (ang. Health Technology Assessment - ocena technologii medycznych), którą definiuje się jako interdyscyplinarną dziedzinę wiedzy służącą podejmowaniu opartych na dowodach naukowych decyzji w zakresie polityki zdrowotnej i praktyki klinicznej. Zakres HTA obejmuje analizę kliniczną, analizę ekonomiczną oraz analizę wpływu na system ochrony zdrowia.

HTA rozwinęła się jako odpowiedź na wzrastające progresywnie koszty technologii medycznych w świecie i wspomaga twórców polityki zdrowotnej w podej-

owaniu decyzji opartych na dowodach naukowych.

AOTM jako instytucja naukowo-doradcza wydaje rekomendacje w sprawie zakwalifikowania świadczeń opieki zdrowotnej jako świadczeń gwarantowanych.

W pierwszym etapie oceny danej technologii medycznej analitycy AOTM przygotowują zgodnie z wytycznymi HTA raport podsumowujący zdrowotne, społeczne, ekonomiczne i etyczne informacje o danej technologii medycznej, dostępnej również w innych krajach świata. W swojej pracy analitycy Agencji opierają się na dowodach naukowych. Na pełną ocenę opracowania składają się trzy elementy: analiza efektywności klinicznej, analiza ekonomiczna oraz analiza wpływu na system ochrony zdrowia.

Przygotowywane przez analityków Agencji analizy technologii medycznych stanowią podstawę do opracowania przez niezależną Radę Konsultacyjną AOTM rekomendacji dotyczącej finansowania świadczeń zdrowotnych ze środków publicznych w Polsce.

Rada Konsultacyjna, pełniąca funkcję opiniodawczo-doradczą, jest najważniejszą jednostką w Agencji. Zgodnie z ustawą jest to grupa osób złożona z 12 członków powoływanych przez Ministra Zdrowia na okres 5 lat. 7 członków Rady Konsultacyjnej wskazuje Minister Zdrowia, a po jednym rektorzy uczelni medycznych, Naczelna Izba Lekarska, Naczelna Rada Aptekarska, Naczelna Rada Pielęgniarek i Położnych oraz przedstawiciel NFZ.

Rada na podstawie raportów i ocen raportów przygotowanych przez analityków AOTM, opinii wyznaczonego członka Rady, opinii ekspertów i/lub konsultantów krajowych oraz wewnętrznej dyskusji podejmuje ostateczne stanowisko czy, i w jakim stopniu oraz w jakiej formie należy finansować ze środków publicznych świadczenia opieki zdrowotnej w naszym kraju. Na podstawie stanowiska Rady, prezes AOTM wydaje rekomendacje dotyczące określonej technologii medycznej, która jest niezwłocznie przesyłana Ministrowi Zdrowia.

Przedmiotem zainteresowania AOTM i Rady Konsultacyjnej jest dokonanie oceny technologii medycznej (HTA) jako metody, której podstawowym celem jest zaopiniowanie i rekomendowanie skutecznych oraz bezpiecznych procedur z uwzględnieniem ich opłacalności. Z tego powodu HTA musi być prowadzona w sposób szczególnie rzetelny, tj. z wykorzystaniem wyłącznie uznanych metod naukowych.

Aktualnie lista oraz program HTA w Polsce, podlegają korekcie przede wszystkim poprzez fakt przy-

jęcia jasno zdefiniowanych naukowych metod oceny korzyści i kosztów. Pozwala to na wyeliminowanie subiektywnych sądów. Z tego powodu wyniki HTA z zachowaniem zasady pełnej przejrzystości, obiektywizmu są tak ważne dla środowiska medycznego, dlatego że środowisko to najczęściej otrzymuje informacje wyłącznie od producentów leków i producentów sprzętu medycznego.

Pierwotnie wymagane jest ustalenie priorytetów AOTM w zakresie wyboru technologii medycznej do oceny spośród innych technologii medycznych.

Dlatego tak istotne stało się przyjęcie głównych zasad HTA, które obejmują w kolejności:

1. Rozpoznanie i jasne zdefiniowanie problemu związanego z polityką zdrowotną.
2. Jasne sformułowanie pytania badawczego.
3. Opis technologii z uwzględnieniem technologii alternatywnych.
4. Systematyczny przegląd dowodów naukowych dotyczący korzyści zdrowotnych, efektywności, bezpieczeństwa i kosztów analizowanej technologii.
5. Analiza wpływu technologii na system świadczeń zdrowotnych.
6. Ocena przewidywanych skutków HTA.

O ile rozpoznanie i niebudzące wątpliwości zdefiniowanie problemu związanego z polityką zdrowotną w Polsce jest w gestii Ministra Zdrowia, o tyle z punktu widzenia AOTM i Rady Konsultacyjnej istotne jest jasne zdefiniowanie pytania (problemu) dotyczącego ściśle określonej technologii medycznej. Od właściwie postawionego pytania bowiem zależy czy analiza dotyczy skuteczności klinicznej (efficacy), czy efektywności w praktyce klinicznej (effectiveness). Istotny jest także czas, po którym dokonuje się oceny korzyści określonej interwencji leczniczej.

Zgodnie z przyjętym schematem postępowania, wymagany jest pełny opis zagadnień kontekstu klinicznego według schematu PICO:

1. P (population) - populacja i ew. subpopulacje.
2. I (intervention) - interwencja proponowana.
3. C (comparison) - komparatory tj. technologie porównywalne - bierze się pod uwagę technologie najczęściej stosowane, najtańsze oraz najskuteczniejsze.
4. O (outcome) – wyniki zdrowotne.

W analizie klinicznej powinny być oceniane efekty zdrowotne, które stanowią istotne klinicznie punkty końcowe w danej jednostce nozologicznej, takie jak:

zgonu, zachorowania lub wyleczenia, jakość życia, działania niepożądane (z podziałem na ciężkie i pozostałe).

Bierze się pod uwagę przede wszystkim punkty końcowe badań klinicznych, mające znaczenie dla chorego (clinical important endpoint), tj. taki wynik lub parametr, którego zmiana pod wpływem leczenia sprawia, że leczenie jest pożądane dla chorego, dlatego że np. przedłuża życie, poprawia samopoczucie chorego, pozwala żyć bez powikłań choroby lub jej leczenia.

Dane dla przeprowadzenia analizy klinicznej HTA pozyskuje się 2-etapowo.

Pierwszy etap to systematyczne poszukiwanie wszystkich badań klinicznych, które dotyczą rozpatrywanego problemu. Ważna jest znajomość istniejących niezależnych europejskich i światowych raportów HTA oraz systematyczne przeglądy badań klinicznych dostępnych w takich bazach, jak np.: Cochrane Library, Medline, EMBASE, Centre for Reviews and Dissemination i innych.

W drugim etapie poszukuje się wniosków opracowań wtórnych. Jeżeli nie dostarczają one wyczerpującej informacji, należy poszukiwać odpowiednich badań pierwotnych.

Należy podkreślić, że w analizie klinicznej w pierwszej kolejności poszukuje się badań, w których bezpośrednio porównano badaną technologię z wybranym komparatorem (head to head trials) i uważa się tego typu badania za szczególnie wartościowe.

Pozwalają one bowiem ocenić skuteczność praktyczną (efektywność praktyczną - „effectiveness”) danej procedury czy leku i określić czy lek/procedura działa.

W przeciwieństwie do tego, dane dotyczące efektywności eksperymentalnej „efficacy” (tj. w warunkach idealnych) z grupą kontrolną wskazują jedynie na możliwość działania procedury/leku. Odpowiadają bowiem na pytanie „Czy badany lek/procedura może działać?”

W przedstawionym kontekście problem decyzyjny analizy klinicznej sprowadza się do rozpoznania „prawdy” o wartości badania klinicznego. Kluczem dla uznania badania za istotne klinicznie jest postawienie właściwego pytania (hipotezy badawczej). Właściwie postawione pytanie musi indukować odpowiedź zawierającą opis technologii, jaką zaproponowano, grupy chorych, u których zastosowano technologię, sposób „mierzenia skuteczności” (punkty końcowe badania) oraz interwencję, z jaką porównano badaną technologię (superiority, non- inferiority trial). W badaniu superiority - pytaniem zadaniem jest czy interwencja jest bardziej skuteczna niż placebo; w badaniu

non-interiority - pytaniem zadaniem jest czy badana interwencja nie jest mniej skuteczna niż alternatywna, aktualnie stosowana w praktyce klinicznej.

W praktyce AOTM oceny skuteczności technologii medycznych dokonuje się zgodnie z przyjętą klasyfikacją doniesień naukowych, w której randomizowane badania kliniczne (RCT) mają pierwszorzędowe znaczenie.

W klasyfikacji wyróżnia się:

1. Przeglądy systematyczne RCT (IA - z metaanalizą, IB-bez metaanalizy).
2. Badania eksperymentalne (IIA - z randomizacją, IIB - z pseudorandomizacją, IIC - bez randomizacji).
3. Badania obserwacyjne z grupą kontrolną (IIIA - przegląd systematyczny, IIIB - badanie kohortowe z grupą kontrolną, IIIC - badanie kohortowe z historyczną grupą kontrolną, IIID, IIIE (retrospektywne).
4. Badania opisowe.
5. Opinie ekspertów.

Praktycznie, w celu przedstawienia badań, wszystkie wyniki odnoszące się do określonego problemu klinicznego zestawia się w tabelach. Wykaz ten musi zawierać charakterystykę każdego z badań, w tym między innymi okres obserwacji, liczbę ośrodków wykonujących, liczbę i rodzaj badań, wielkość próby badanej, charakterystykę chorych, uzyskane wyniki oraz wszystkie inne, ważne informacje, które mogą mieć znaczenie dla oceny wiarygodności.

Zgodnie z wytycznymi HTA z 2009 roku, w ostatecznej ocenie należy opierać się przede wszystkim na odnalezionych prawidłowo przeprowadzonych i aktualnych badaniach z najwyższego poziomu klasyfikacji, tj. przeglądach systematycznych (z metaanalizą lub bez niej), które odzwierciedlają problem kliniczny pod względem badanego punktu końcowego, populacji, komparatora. W sytuacji, gdy dane dotyczące skuteczności z kontrolowanych prób klinicznych są ograniczone do wąsko zdefiniowanej populacji lub krótkiego horyzontu czasowego należy je uzupełnić badaniami obserwacyjnymi o dobrej jakości.

Ważnym elementem analizy HTA jest analiza bezpieczeństwa. Wykonuje się ją w celu oceny ryzyka stosowania technologii medycznej. W analizie uwzględnia się wszystkie działania niepożądane i incydenty medyczne, także w perspektywie długoterminowej. Źródłem wiedzy o bezpieczeństwie technologii medycznej są dane pochodzące z randomizowanych

badania klinicznych i innych, ale tylko w niektórych przypadkach zakres oceny bezpieczeństwa jest zbliżony do stosowanego przy ocenie skuteczności.

Ocena bezpieczeństwa powinna być poszerzona np. w przypadku technologii innowacyjnych czy leków o nowym mechanizmie działania

Należy podkreślić, że wiarygodne dane, na podstawie których można wnioskować o efektywności HTA rzadko są wystarczającym źródłem danych o jej bezpieczeństwie. Co więcej, gdy dane oceny bezpieczeństwa pochodzą wyłącznie z badań klinicznych, konieczne staje się uzasadnienie zawężenia takiego źródła danych oraz przeprowadzenie krytycznej oceny bezpieczeństwa na podstawie innych dowodów naukowych.

Oceniana jest częstość, rodzaj oraz ciężkość działań niepożądanych w zależności od zastosowanych dawek lub innych czynników uznanych za istotne w odniesieniu do placebo, komparatorów lub częstości występowania w populacji.

Raporty HTA korzystają także z danych, którymi dysponują urzędy zajmujące się nadzorem i monitorowaniem bezpieczeństwa produktów leczniczych, takich jak: EMEA (*European Medicines Agency*), FDA (*Food Drug Administration*), URPL (*Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych*), WHO-Uppsala Monitoring Centre oraz z wszystkich innych dostępnych źródeł (np. raporty producentów -PSUR, raporty oceny bezpieczeństwa dokonywane przez ekspertów klinicznych itd.).

Zakres oceny technologii medycznych, jaki dokonuje Rada Konsultacyjna AOTM obejmuje także analizę ekonomiczną oraz analizę wpływu na system ochrony zdrowia.

Ogólnie można przedstawić, że analiza ekonomiczna (nazywana też analizą opłacalności) polega na porównaniu ocenianej technologii z odpowiednim komparatorem pod względem kosztów i konsekwencji zdrowotnych. Stanowi porównawczą ocenę zużycia zasobów koniecznych dla uzyskania efektu klinicznego. Dokonując takiej oceny można stosować różne znane techniki (typy analizy). Wyboru metody analitycznej dokonuje się w zależności od identyfikowanych i mierzonych wyników zdrowotnych i należy zawsze wybór uzasadnić.

Dla HTA rekomenduje się wykorzystanie analizy kosztów-efektywności lub kosztów-żyteczności.

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia natomiast obejmuje analizę wpływu na budżet (tj.

konsekwencji finansowych wprowadzenia pozytywnie rekomendowanej przez Radę Konsultacyjną technologii medycznej) oraz ocenę konsekwencji organizacyjnych dla systemu ochrony zdrowia, w tym także możliwych konsekwencji etycznych i społecznych.

Zasady HTA stanowią narzędzie dla wypracowania nowoczesnego, efektywnego i opłacalnego systemu opieki zdrowotnej w Polsce. Prowadzone z różnych perspektyw analizy HTA gwarantują wszechstronną ocenę technologii i zmianę technologiczną. Celem HTA jest zdrowsze społeczeństwo, zaś najważniejszym wynikiem HTA jest określenie korzyści zdrowotnych oraz kosztów technologii medycznej.

Żadnego kraju nie stać na powszechne finansowanie całej opieki medycznej zgodnie z potrzebami obywateli, dlatego chodzi o to, by w systemie opieki zdrowotnej w Polsce nie marnować pieniędzy przeznaczonych na nieefektywne (np. o nieudowodnionej skuteczności) technologie medyczne.

Oceny wyników badań klinicznych w analizie AOTM mają ułatwić podjęcie najbardziej racjonalnych decyzji, w zakresie finansowania opieki zdrowotnej. Analizy te dają szansę na wyodrębnienie takich świadczeń, które są najlepsze pod względem skuteczności, bezpieczeństwa, a także pod względem społecznym i ekonomicznym.

Agencja Oceny Technologii Medycznych jest członkiem następujących organizacji międzynarodowych:

- HTAI – Health Technology Assessment International
- INAHTA – International Network of Agencies for Health Technology Assessment
- GIN – Guidelines International Network
- ISPOR – International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research
- EUnetHTA - (European Network for Health Technology Assessment)

Adres do korespondencji:

Katarzyna Korzeniowska

Zakład Farmakologii Klinicznej Katedry Kardiologii  
Uniwersytet Medyczny im. K. Marcinkowskiego  
w Poznaniu

ul. Długa 1/2; 61-848 Poznań

Tel.: (+48 61) 854 91 14

E-mail: katakorz@wp.pl

## **Piśmiennictwo**

1. Wytyczne przeprowadzenia HTA w Polsce; marzec 2007.
2. Wytyczne przeprowadzenia HTA w Polsce; kwiecień 2007.
3. Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA). Wersja 2.1. Warszawa, kwiecień 2009.
4. Regulamin Rady Konsultacyjnej AOTM.
5. <http://www.atom.gov.pl>.
6. <http://leki-informacje.pl>.