

Wykaz technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (TLI) – rola AOTMiT



Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

realizuje zadania dotyczące przygotowania i przekazania ministrowi właściwemu do spraw zdrowia wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności

Technologia lekowa
o wysokim poziomie innowacyjności (TLI)

to technologia lekowa stosowana w onkologii lub chorobach rzadkich, która uzyskała centralne pozwolenie na dopuszczenie do obrotu i która została umieszczona w wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności przygotowanym przez Agencję



zgodnie
z przepisami



ustawy z dnia 7 października 2020 r.
o Funduszu Medycznym
(Dz. U. z 2020 r., poz.1875)



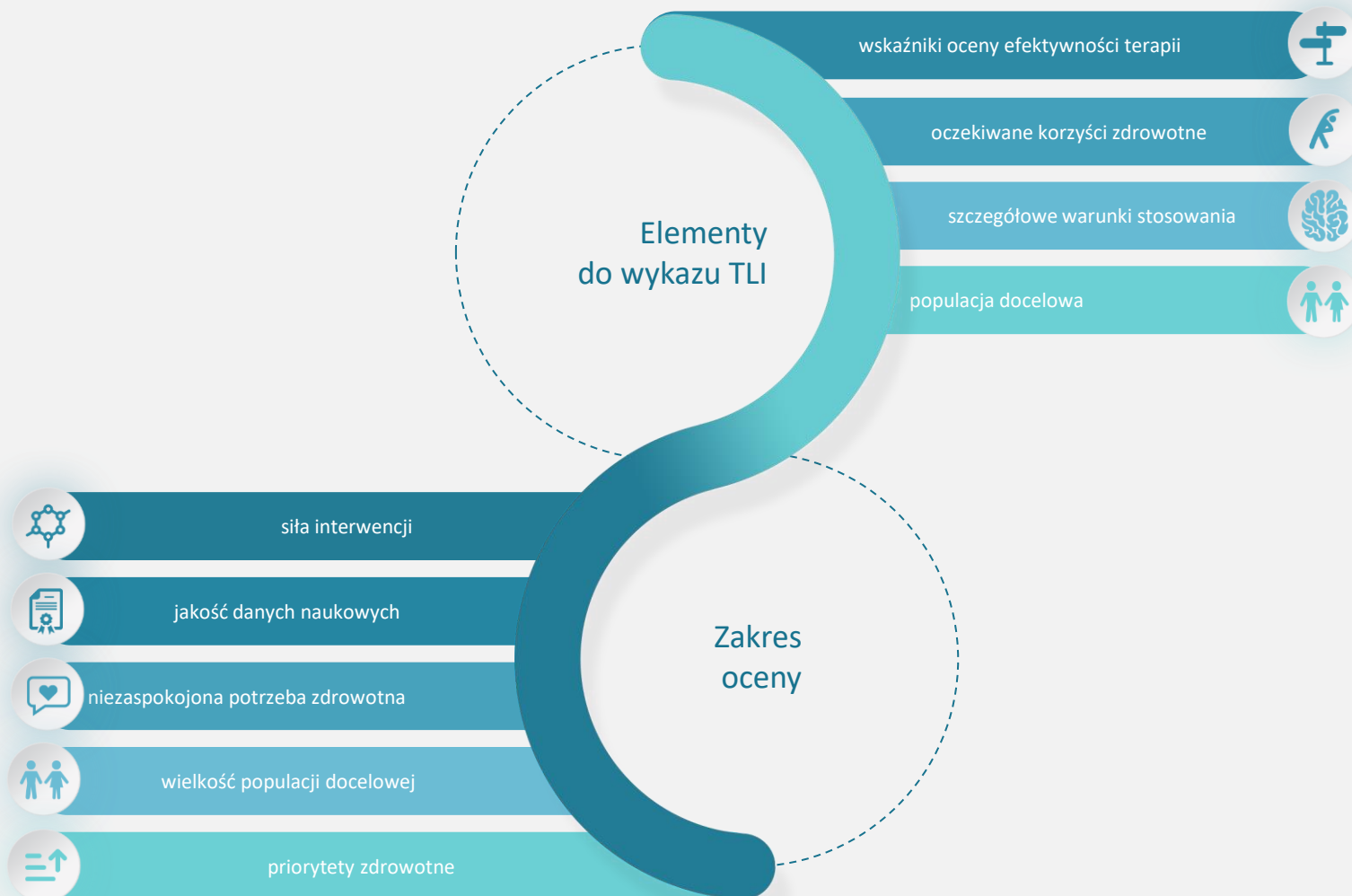
ustawy z dnia 27 sierpnia
2004 r. o świadczeniach opieki
zdrowotnej finansowanych ze
środków publicznych
(Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn.
zm.)



ustawy z dnia 12 maja 2011 r.
o refundacji leków, środków spożywczych
specjalnego przeznaczenia żywieniowego
oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r.
poz. 523)

Elementy oceny technologii lekowych

o wysokim stopniu innowacyjności
określone w ustawie



Kryteria ustawowe tworzenia wykazu technologii lekowych o wysokim stopniu innowacyjności



I. Kryterium czasowe

START

Pierwszy wykaz obejmuje leki, które uzyskały pozwolenie na dopuszczenie do obrotu począwszy od dnia 1 stycznia 2020 r.

STOP CLOCK

Z uwagi na konieczność wykonania zadania, jakim było opracowanie metodyki, ustalenie listy leków oraz dokonanie oceny – za punkt odcięcia przyjęto datę 26 listopada 2020 r. – dzień wejścia w życie ustawy o Funduszu Medycznym

Zgodnie z art. 40a ust. 2 znowelizowanej ustawy refundacyjnej wykaz technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności jest sporządzany przez AOTMiT nie rzadziej niż raz do roku



II. Wskazania

Onkologia

Choroby rzadkie



III. Status refundacji

Technologie lekowe, dla których nie złożono wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu

Proces tworzenia wykazu TLI

- Opracowanie zbiorcze (111 stron)
- Raporty dla poszczególnych technologii
- Łącznie 1 386 stron opracowań

1

Identyfikacja technologii lekowych do szczegółowej oceny

2

Analiza zgodna z wiedzą z zakresu oceny technologii medycznych

3

Opiniowanie przez Radę Przejrzystości

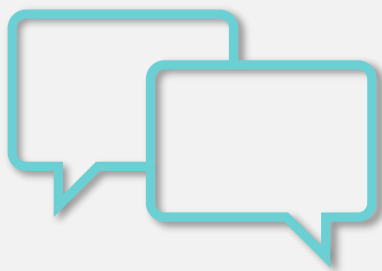
4

Utworzenie pierwszego wykazu TLI

Szczegółowe opracowania dostępne na stronie:
<https://bipold.aotm.gov.pl/index.php/tli/7310-wykaz-tli>

1 Identyfikacja technologii lekowych do szczegółowej oceny

Zasady tworzenia pierwszego wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności



Ocenie zostały poddane leki, dla których decyzja o pozwoleniu na dopuszczenie do obrotu w procedurze centralnej w Unii Europejskiej została wydana od dnia 1 stycznia 2020 r. do dnia 26 listopada 2020 r. (w celu zachowania ciągłości oceny, leki dopuszczone do obrotu po dniu 26 listopada 2020 r. będą przedmiotem oceny zasadności umieszczenia ich w drugim wykazie TLI; kolejne wykazy TLI będą publikowane, zgodnie z art. 40a ust. 2 ustawy o refundacji, nie rzadziej niż raz do roku.



Ocenie zostały poddane leki, dla których decyzja o pozwoleniu na dopuszczenie do obrotu w procedurze centralnej w Unii Europejskiej obejmuje zastosowanie w onkologii lub w chorobach rzadkich.



Ocenie zostały poddane leki we wskazaniach, dla których do dnia opublikowania wykazu TLI nie został złożony wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu.



Z procesu oceny wykluczono leki, które uzyskały pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na podstawie dokumentacji biorównoważności lub biopodobności.



Z procesu oceny wykluczono leki, względem których Agencja otrzymała informację, że wnioskodawca złożył wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla danego leku w tym wskazaniu.

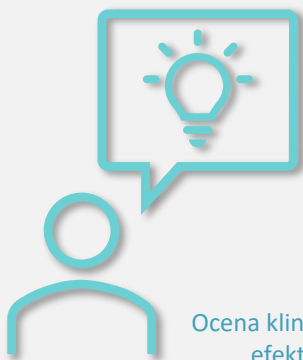
2

Analiza zgodna z wiedzą z zakresu oceny technologii medycznych

Ocena charakterystyki ewaluowanej technologii lekowej



Ocena niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej, w kontekście priorytetów zdrowotnych



Ocena kliniczna, w tym ocena oczekiwanych efektów zdrowotnych i siły interwencji



Ocena ekonomiczna oraz ocena wpływu na budżet płatnika



Opis ocenianej technologii lekowej obejmuje m.in. nazwę handlową, postać i dawkę oraz opakowanie, nazwę substancji czynnej, oceniane wskazanie, pozostałe zarejestrowane wskazania, warunki dopuszczenia do obrotu, dawkowanie, drogę podania, mechanizm działania, grupę ATC, status leku sierocego, datę dopuszczenia do obrotu na podstawie art. 11 ustawy Prawo Farmaceutyczne.

Ocena potrzeb zdrowotnych, w tym ocena niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej obejmuje charakterystykę choroby, włączając ocenę konsekwencji zdrowotnych, skutki ich nieleczenia oraz efekty podjętych działań terapeutycznych, ocenę populacji docelowej (w tym ocenę indywidualnych i społecznych potrzeb zdrowotnych oraz ocenę wielkości populacji docelowej w celu określenia m. in. skali potrzeb zdrowotnych oraz oszacowania kosztów terapii), a także ocenę dostępności alternatywnych technologii medycznych.

Ocena skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa oparto na wynikach badań rejestracyjnych. Przedstawiono kluczowe wyniki odnoszące się do skuteczności analizowanej technologii w zakresie wpływu na przeżycie; jakość życia, w tym punkty odnoszące się do postulowanego zatrzymania progresji choroby, np. PFS; jakość życia, w tym punkty końcowe odnoszące się do przebiegu/nasilenia choroby; wyleczenie; inne, zastępcze punkty końcowe, jeżeli nie odnaleziono danych w odniesieniu do ww. kategorii punktów końcowych. W ocenie bezpieczeństwa uwzględniono kluczowe zdarzenia niepożądane, które mogą mieć znaczenie przy całościowej ocenie technologii lekowej. Ocenę jakości badań przeprowadzono z wykorzystaniem Risk of Bias Tool 1.0 The Cochrane Collaboration lub z wykorzystaniem skali NICE do oceny badań jednoramiennych. Ocena siły interwencji została zmierzona wielkością efektu zdrowotnego ocenionego w badaniu klinicznym.

W ocenie ekonomicznej zawarto przegląd opublikowanych na świecie analiz HTA lub analiz ekonomicznych, oszacowanie kosztów terapii i komparatora, a w uzasadnionych przypadkach wyniki modelowania. W oparciu o dane cenowe i dotyczące dawkowania przedstawiono jednostkowe koszty terapii oraz koszty leczenia populacji docelowej. Ocenę niepewności wnioskowania przeprowadzono w oparciu o niepewność metodyki materiału dowodowego oraz w oparciu o ocenę możliwości przeniesienia wyników badania do warunków polskich (transferability).

Opiniowanie przez Radę Przejrzystości

Rada Przejrzystości
pełni funkcje
opiniodawczo-doradczą.
Działa przy Prezesie
Agencji
Oceny Technologii
Medycznych
i Taryfikacji

**Ocena
Rady
Przejrzystości
obradującej
w pełnym składzie**



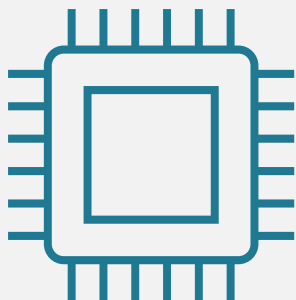
Utworzenie pierwszego wykazu TLI

Na podstawie

- wyników raportów
- oraz opinii Rady Przejrzystości

Biorąc pod uwagę

wymagane ustawowo dane gromadzone w rejestrze medycznym, w tym między innymi wskaźniki oceny efektywności terapii i oczekiwane korzyści zdrowotne oraz kryteria opisujące populację docelową oraz szczegółowe warunki stosowania technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, **opracowano pierwszy wykaz TLI, który został opublikowany w Biuletynie Informacji Publicznej Agencji.**



Pierwszy wykaz TLI dostępne na stronie:

https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/wykaz_tli/wykaz_tli.pdf

Wykaz technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności

I Załącznik – Wykaz technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności

Lp	Nazwa leku	Substancja czynna	Oceniane wskazanie
1.	Ayvakyt	awaprytynib	monoterapia w leczeniu dorosłych pacjentów z niedrocznymi albo przerzutowymi nowotworami podścieliskowymi przewodu pokarmowego (ang. <i>gastrointestinal stromal tumour</i> , GIST) z mutacją D842V w genie kodującym receptor alfa płytkopochodnego czynnika wzrostu (ang. <i>platelet-derived growth factor receptor alpha</i> , PDGFRα)
2.	Givlaari	givosyran sodowy	ostra porfiria wątrobowa u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 lat
3.	Idefirix	imlifidaza	leczenie desensytyzacyjne (odczulanie) u wysoko immunizowanych dorosłych biorców przeszczepu nerki
4.	Isturisa	osilodrostat	leczenie endogennego zespołu Cushinga u osób dorosłych
5.	Oxlumo	lumazyran sodu	leczenie pierwotnej hiperoksalurii typu 1 we wszystkich grupach wiekowych
6.	Piqray	apelisyb	leczenie kobiet po menopauzie oraz mężczyzn z miejscowo zaawansowanym lub rozsiazanym rakiem piersi HR-dodatnim, HER2-ujemnym z mutacją PIK3CA
7.	Polivy	polatuzumab wedotyny	leczenie dorosłych pacjentów z nawrotowym/ opornym chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B, którzy nie kwalifikują się do przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych
8.	Pretomanid FGK/Drovprela	pretomanid	gruźlica lekooporna (MDR, XDR)
9.	Reblozyl	luspatercept	niedokrwistość zależna od transfuzji z powodu zespołów mielodysplastycznych
10.	Rozlytrek	entrektynib	monoterapia w leczeniu dorosłych oraz dzieci i młodzieży w wieku 12 lat i starszych z guzami litymi z obecnością fuzji genu neurotroficznej receptorowej kinazy tyrozynowej (ang. <i>neurotrophic tyrosine receptor kinase</i> , NTRK)
11.	Zolgensma	onasemnogen abeparwowek	rdzeniowy zanik mięśni (ang. <i>spinal muscular atrophy</i> , SMA) 5q z białkową mutacją genu SMN1 i klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1 lub pacjentów z rdzeniowym zanikiem mięśni 5q z białkową mutacją genu SMN1 i z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2

Przebieg procesu refundacyjno-cenowego dla technologii lekowych o wysokim stopniu innowacyjności (TLI)

USTAWA O
FUNDUSZU
MEDYCZNYM

