

# 1. Analiza problemu decyzyjnego

2 Analiza problemu decyzyjnego (APD) stanowi omówienie podstawowych informacji  
3 niezbędnych do poprawnego zdefiniowania założeń do wykonania raportu HTA. W  
4 analizie problemu decyzyjnego przedstawiane jest uzasadnienie kierunku, zakresu  
5 oraz metod analiz, w tym zasady wyboru danych i informacji zawartych w raporcie  
6 HTA, a wszystkie elementy raportu powinny być spójne z informacjami i założeniami  
7 zawartymi w APD.

8 Analiza problemu decyzyjnego pozwala poprawnie zdefiniować pytanie kliniczne  
9 zgodnie z zalecanym w ocenie technologii nielekowych schematem PICOCS (ang.  
10 *population, intervention, comparison, outcome, context, study*)<sup>1</sup>:

- 11 – populacja, w której dana interwencja będzie stosowana (P);
- 12 – oceniana / wnioskowana interwencja (I);
- 13 – komparatory (C);
- 14 – efekty zdrowotne, czyli punkty końcowe, względem których oceniana będzie  
15 efektywność kliniczna (O);
- 16 – uwarunkowania związane z użytkowaniem wpływające na punkty końcowe (C);
- 17 – rodzaj włączanych badań (S).

18 Zaleca się wykorzystanie w dokumencie terminologii zgodnej z uznanymi i  
19 powszechnie stosowanymi, aktualnymi systemami klasyfikacji (np. ICD-9-CM<sup>2</sup>, ICD-  
20 10<sup>3</sup>, ICD-11<sup>4</sup>, SNOMED<sup>5</sup>); pożądane jest też określenie tymi kodami zdarzeń  
21 niepożądanych oraz incydentów medycznych, szczególnie przy omawianiu możliwości  
22 i sposobów monitorowania bezpieczeństwa wyrobu medycznego.

23 Niniejsza analiza powinna dostarczyć informacji niezbędnych do określenia<sup>6</sup>:

- 24 – istotności stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek o objęcie refundacją,
- 25 – istnienia alternatywnej technologii medycznej oraz jej efektywności klinicznej i  
26 bezpieczeństwa stosowania,
- 27 – rekomendacji klinicznych oraz dotyczących finansowania ze środków  
28 publicznych danego wyrobu medycznego w innych krajach.

29 W przypadku, gdy nie jest możliwe opisanie któregośkolwiek z elementów analizy  
30 problemu decyzyjnego wymienionych w dalszej części rozdziału, należy uzasadnić,  
31 czym jest to spowodowane.

---

<sup>1</sup> EUnetHTA (2015) *Therapeutic medical devices*. <https://eunethta.eu/wp-content/uploads/2018/01/Therapeutic-medical-devices-Guideline-Final-Nov-2015.pdf> (stan na 13.11.2019)

<sup>2</sup> Narodowy Fundusz Zdrowia: <http://slovniki.nfz.gov.pl/ICD9/SlovníkPrimary/3803> (stan na 04.10.2019).

<sup>3</sup> Należy odwoływać się do wersji ICD-10, aktualnie stosowanej przez płatnika publicznego. Dodatkowo, jeśli zasadne, można podać kod według aktualnej wersji WHO: <http://www.who.int/classifications/icd/icdonlineversions/en/> (stan na 23.10.2019).

<sup>4</sup> Należy odwoływać się do wersji ICD-11 według aktualnej wersji WHO: <https://icd.who.int/en> (stan na 07.10.2019).

<sup>5</sup> SNOMED International: <http://www.snomed.org/> (stan na 23.10.2019).

<sup>6</sup> W rozumieniu Ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2019 poz. 784 z późn. zm.)

## 1.1. Problem zdrowotny

- 2 Opis problemu zdrowotnego powinien pozwolić na określenie istotności stanu  
3 klinicznego<sup>7</sup> oraz stanowić podstawę do dalszych elementów raportu HTA.
- 4 Należy przedstawić problem zdrowotny, którego dotyczy raport<sup>8</sup>. Przedstawiając  
5 problem zdrowotny należy opisać schorzenie lub stan kliniczny wraz z patogenezą,  
6 przebiegiem naturalnym, dostępnymi metodami diagnostycznymi, rokowaniem,  
7 epidemiologią i czynnikami ryzyka oraz aktualnym postępowaniem medycznym.
- 8 Opis problemu zdrowotnego, dokonany w oparciu o wiarygodne źródła informacji,  
9 powinien być zwięzły i zawierać podstawowe informacje istotne dla decyzji  
10 metodycznych podejmowanych w dalszej części raportu HTA. Informacje te powinny  
11 umożliwić jednoznaczne określenie miejsca ocenianej technologii w procesie  
12 diagnostyczno-terapeutycznym rozpatrywanej jednostki chorobowej, a także pozwolić  
13 na ocenę istotności stanu klinicznego, którego dotyczy analiza.
- 14 Należy podać definicję jednostki chorobowej<sup>9</sup> wraz z oznaczeniem zgodnie z przyjętym  
15 systemem terminologii klinicznej lub właściwymi w kontekście analizy systemami  
16 klasyfikacyjnymi. Jeżeli przedmiotem analiz jest szczególna populacja docelowa (np.  
17 określone stadium zaawansowania choroby), należy przedstawić zwięzły opis ogólny  
18 jednostki chorobowej, po czym przejść do szczegółowej charakterystyki docelowego  
19 problemu zdrowotnego (np. określony stopień zaawansowania). Jeśli populacja  
20 docelowa jest bardzo szeroka i obejmuje wiele jednostek chorobowych, należy  
21 wymienić główne lub wskazać grupę schorzeń albo kryteria do zastosowania wyrobu.

### 1.1.1. Etiologia i patogenezą

- 23 Należy zwięzle opisać przyczyny i mechanizm rozwoju choroby oraz czynniki ryzyka  
24 jej wystąpienia.

### 1.1.2. Rozpoznanie

- 26 Należy opisać zasady i kryteria rozpoznawania choroby, w tym badania niezbędne do  
27 postawienia/potwierdzenia diagnozy, z uwzględnieniem warunków polskich.  
28 Konieczne jest przy tym powołanie się na wiarygodne źródła, najlepiej na wytyczne  
29 kliniczne oparte na przeglądzie systematycznym dowodów naukowych. Jeśli w  
30 rozpoznawaniu stosowane są swoiste skale lub testy, należy je scharakteryzować z  
31 podaniem punktów odcięcia i informacji o ich walidacji.

---

<sup>7</sup> Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2019 poz. 784 z późn. zm.)

<sup>8</sup> Przy opracowywaniu tego rozdziału Wytycznych uwzględniono m.in. zawartość HTA Core Model<sup>®</sup> EUnetHTA, Domena 1: Problem zdrowotny i aktualne wykorzystanie technologii (EUnetHTA Joint Action 2, HTA Core Model, version 3.0 (PDF), 2016, Domain 1: Health problem and current use of technology).

<sup>9</sup> Choroba, według WHO, jest odwrotnością zdrowia, które definiowane jest jako „stan pełnego dobrego samopoczucia („dobrostanu”) fizycznego, psychicznego i społecznego, a nie tylko nieobecność choroby czy niedomagania.” WHO definition of Health. New York: Official Records of the World Health Organization 1948; 2: 100.

### 111.3. Obraz kliniczny, przebieg naturalny, powikłania i rokowanie

- 2 Należy opisać naturalny przebieg choroby i objawy/zespoły objawów, ze szczególnym  
3 uwzględnieniem tych istotnych z punktu widzenia chorego. Opis powinien zawierać  
4 wskazanie czynników rokowniczych oraz czynników wpływających na przebieg  
5 choroby, a także omówienie związanej z chorobą utraty jakości życia. Należy, o ile jest  
6 to zasadne<sup>10</sup>, przedstawić sposób monitorowania postępu choroby.
- 7 Z informacji zawartych w tym rozdziale powinno m.in. jednoznacznie wynikać, które  
8 punkty końcowe badań klinicznych można uznać za punkty końcowe istotne klinicznie.

### 191.4. Epidemiologia i obciążenie chorobą

- 10 Należy przedstawić dane epidemiologiczne, w tym zapadalność i chorobowość, ze  
11 szczególnym zwróceniem uwagi na dane dla polskiej populacji. Należy także omówić  
12 kwestie istotne z perspektywy zdrowia publicznego (obciążenie społeczno-  
13 ekonomiczne).

### 141.5. Aktualne postępowanie medyczne

- 15 Należy opisać zalecane postępowanie medyczne na podstawie wytycznych  
16 klinicznych opartych na dowodach naukowych o najwyższej dostępnej jakości zgodnie  
17 z narzędziem oceny jakości wytycznych AGREE II<sup>11</sup> i aktualności. Następnie należy  
18 opisać sposoby postępowania zalecane w polskich wytycznych klinicznych. Powyższy  
19 opis powinien zwięźle przedstawiać sposób leczenia w poszczególnych stopniach  
20 zaawansowania choroby, ze szczególnym uwzględnieniem stadium, w którym ma być  
21 stosowany oceniany wyrób medyczny.
- 22 Należy opisać istniejącą praktykę kliniczną, pamiętając, że może się ona nie pokrywać  
23 z zalecaną w wytycznych klinicznych (patrz też rozdz. 1.4. Komparatory).
- 24 Dopelnieniem opisu powinno być zestawienie opcji diagnostyczno-terapeutycznych  
25 aktualnie finansowanych ze środków publicznych w ocenianym wskazaniu w Polsce.

## 26.2. Populacja docelowa

- 27 Należy przedstawić charakterystykę populacji docelowej, czyli populacji, w której  
28 oceniana technologia będzie stosowana. Konieczne jest porównanie kryteriów  
29 kwalifikacji i dyskwalifikacji rozpatrywanych w analizie z zastosowaniem  
30 przewidzianym przez wytwórcę wyrobu. Należy omówić wskazania i przeciwwskazania  
31 względne (m.in. stany, które mogą utrudniać stosowanie, zmniejszać skuteczność,  
32 wymagać stosowania dodatkowych technologii). Ewentualne zawężenie wskazań  
33 powinno się uzasadnić.

---

<sup>10</sup> Za zasadne uznaje się przypadki, w których wnioskowany wyrób wpływa na sposób monitorowania postępu choroby/dysfunkcji

<sup>11</sup> Brouwers M.C., Kho M.E., Browman G.P., Burgers J.S., Cluzeau F., Feder G., Fervers B., Graham I.D., Grimshaw J., Hanna S.E., Littlejohns P., Makarski J., Zitzelsberger L., dla AGREE Next Steps Consortium, AGREE II: Advancing guideline development, reporting and evaluation in healthcare, „CMAJ” 2010;182:E839–842.

- 1 Jeżeli oceniana interwencja będzie stosowana w szczególnej subpopulacji pacjentów  
2 z rozpoznaniem danej jednostki chorobowej, należy oddzielnie podać kryteria  
3 dodatkowe, służące wyodrębnieniu ocenianej subpopulacji. Powinno się wykazać, że  
4 zawężona populacja da się jednoznacznie wyodrębnić za pomocą wskazanych  
5 kryteriów; jeśli tak nie jest, należy przeanalizować przyczyny i konsekwencje takiego  
6 stanu rzeczy.
- 7 Należy w możliwie dokładny sposób określić potencjalną liczebność populacji wraz z  
8 zakresem niepewności i opisać metodę jej oszacowania. Szczególnie ważne jest  
9 uwzględnienie danych polskich, jeśli są one dostępne.

### 10.3. Interwencja

11 Należy zdefiniować ocenianą interwencję, wskazując, czy raport dotyczy  
12 zastosowania:

- 13 – pojedynczego wyrobu medycznego lub systemu, będącego połączeniem  
14 produktów przeznaczonych do osiągnięcia konkretnego zastosowania  
15 medycznego. (Jeżeli dodatkowy wyrób jest niezbędny do wykonania  
16 świadczenia i jest jednego typu – należy traktować taką grupę wyrobów jako  
17 system i opisywać łącznie. W przypadku, gdy możliwe jest zastosowanie  
18 dowolnego dodatkowego wyrobu z grupy wielu dostępnych, należy podać ich  
19 charakterystykę i opis cech niezbędnych do wykonania funkcji, oraz podać dane  
20 niezbędne do analiz farmakoekonomicznych.);
- 21 – kategorii/grupy rodzajowej wyrobów medycznych, które mogą być stosowane w  
22 określonej metodzie diagnostyczno-terapeutycznej lub w określonym  
23 wskazaniu, obejmującą podobne produkty różnych producentów oraz różne  
24 generacje danego wyrobu jednego producenta<sup>12</sup>.

25 Interwencję należy precyzyjnie opisać, uwzględniając w szczególności następujące  
26 aspekty<sup>13</sup>:

- 27 – mechanizm, sposób działania;
- 28 – rodzaj i klasę wyrobu medycznego;
- 29 – przewidziane zastosowanie podane przez producenta w oznakowaniu i  
30 instrukcji używania wyrobu;
- 31 – warunki oraz sposób używania danego wyrobu, z uwzględnieniem:
- 32 • kompetencji użytkownika niezbędnych do zastosowania technologii oraz  
33 niezbędnych informacji, które należy przekazać pacjentowi/opiekunowi;
- 34 • wymaganych szkoleń personelu i użytkownika/pacjenta;

---

<sup>12</sup> NICE (2013) *Guide to the methods of technology appraisal 2013* wprowadza analogiczne rozróżnienie, nazywając wymienione procesy odpowiednio Single Technology Assessment (STA) i Multi-Technology Assessment (MTA).

<sup>13</sup> Przy opracowywaniu tego rozdziału Wytycznych uwzględniono m.in. zawartość HTA Core Model® EUnetHTA, Domena 2: Opis i techniczna charakterystyka technologii (EUnetHTA Joint Action 2, HTA Core Model, version 3.0 (PDF), 2016, Domain 2: Description and technical characteristics of technology).

- 1 • niezbędnego monitorowania stosowania technologii (zarówno z uwagi na  
2 skuteczność, jak i bezpieczeństwo) oraz niezbędnych informacji  
3 dodatkowych;
  - 4 – warunki, w jakich oceniana technologia ma być dostępna lub finansowana
  - 5 – inne kwestie dotyczące danego wyrobu, jak np. serwis, termin ważności,  
6 utylizacja, metoda sterylizacji, certyfikat zgodności etc.
  - 7 – oznakowanie wyrobu znakiem CE oraz wprowadzenie go do obrotu na  
8 terytorium Polski i/lub innego kraju członkowskiego UE;
  - 9 – finansowanie ze środków publicznych w Polsce, z podaniem zakresu  
10 zastosowań objętych finansowaniem.
- 11 Ponadto, na podstawie aktualnych wytycznych klinicznych, należy odnieść się do  
12 miejsca ocenianej technologii w terapii bądź diagnostyce: linia leczenia, czy jest to  
13 technologia stosowana samodzielnie, czy dodana do dotychczasowego standardu  
14 leczenia (ang. *add-on*) albo zastępująca obecny standard. Należy wskazać, czy  
15 zgodnie z wytycznymi klinicznymi użytkowanie ocenianego wyrobu medycznego ma  
16 przebiegać bezterminowo czy przez czas ograniczony (w takim przypadku powinno  
17 się orientacyjnie określić czas stosowania ocenianej technologii medycznej).
- 18 Należy przedstawić aktualne informacje dotyczące finansowania ocenianej interwencji  
19 ze środków publicznych, w Polsce i w innych krajach.

#### 20.4. Komparatory

- 21 Ocena inkrementalnych korzyści (w zakresie skuteczności klinicznej, bezpieczeństwa  
22 i ekonomii) związanych z wprowadzeniem ocenianej technologii medycznej do praktyki  
23 klinicznej w ramach oceny technologii medycznych dokonywana jest poprzez  
24 porównanie wyników zdrowotnych i kosztów nowej interwencji z konsekwencjami  
25 kontynuacji opcjonalnych sposobów postępowania, tj. obecnie stosowanych w  
26 populacji docelowej.
- 27 Interwencje opcjonalne, których skuteczność, bezpieczeństwo i koszt stanowią punkt  
28 odniesienia w ocenie nowej technologii, nazywa się komparatorami. Porównanie takie  
29 ma na celu zbadanie, czy oceniana interwencja niesie dodaną wartość terapeutyczną  
30 lub ekonomiczną.
- 31 Technologią opcjonalną może być każda technologia medyczna, w tym np. lek, wyrób  
32 medyczny, procedura medyczna lub interwencja psychologiczna, radioterapia,  
33 fizjoterapia, zabieg chirurgiczny, a także porada (np. w zakresie rzucania palenia) oraz  
34 kombinacja interwencji zdrowotnych przeprowadzanych równocześnie lub  
35 sekwencyjnie, jak również naturalny przebieg choroby (brak aktywnego leczenia).  
36 Często pierwszą technologią medyczną o udowodnionej efektywności klinicznej w  
37 danym wskazaniu, czy w danej subpopulacji jest najlepsza terapia podtrzymująca  
38 (ang. *best supportive care*, BSC) lub technologie o skuteczności placebo.
- 39 Na wstępnym etapie wyboru komparatora należy rozpatrzyć wszystkie potencjalne  
40 interwencje opcjonalne, które można zastosować w ocenianym wskazaniu, zwłaszcza  
41 finansowane ze środków publicznych w Polsce. W analizie należy uwzględnić

- 1 wszystkie technologie, które stosuje się w ocenianym wskazaniu w celu osiągnięcia  
2 podobnego celu terapeutycznego, co w przypadku ocenianej interwencji.
- 3 Należy wskazać niezaspokojone potrzeby pacjentów w kontekście ocenianej  
4 interwencji i obecnie stosowanych opcji diagnostycznych i terapeutycznych.
- 5 Komparatorem dla ocenianej interwencji w pierwszej kolejności musi być istniejąca  
6 (aktualna) praktyka medyczna, czyli sposób postępowania, który w praktyce  
7 medycznej prawdopodobnie zostanie zastąpiony przez ocenianą technologię (patrz  
8 rozdz. 1.1.5 Aktualne postępowanie medyczne). Źródłem informacji na temat  
9 istniejącej praktyki medycznej mogą być m.in.<sup>14</sup>:
- 10 – wykaz świadczeń gwarantowanych<sup>15</sup>;
  - 11 – analiza rynku sprzedaży;
  - 12 – wytyczne praktyki klinicznej oraz konsultacje z ekspertami klinicznymi;
  - 13 – rejestry.
- 14 Zaleca się przeprowadzenie porównania również z innymi komparatorami, np.  
15 interwencją najtańszą lub uznawaną za najskuteczniejszą (np. zgodnie z  
16 obowiązującymi wytycznymi praktyki klinicznej, przeglądami systematycznymi oraz  
17 opinią ekspertów klinicznych i środowisk pacjenckich).
- 18 Wybór komparatorów należy uzasadnić w oparciu o aktualne wytyczne i standardy  
19 postępowania oraz praktykę kliniczną, uwzględniając cel diagnostyki i leczenia: np.  
20 wyleczenie, wydłużenie przeżycia, opóźnienie rozwoju choroby, zapobieganie  
21 objawom i ich kontrola, zapobieganie/przeciwdziałanie incydentom medycznym i  
22 zdarzeniom niepożądanym, wpływ na jakość życia pacjentów i opiekunów, wpływ na  
23 system opieki zdrowotnej. Należy wskazać istotne klinicznie incydenty medyczne i  
24 zdarzenia albo działania niepożądane dla komparatorów, w tym istotne z punktu  
25 widzenia jakości życia chorych.
- 26 Należy zachować zgodność komparatorów we wszystkich analizach.

## 27.5. Efekty zdrowotne

- 28 Ocena korzyści zdrowotnych wnoszonych przez ocenianą technologię medyczną  
29 powinna być dokonywana poprzez analizę istotnych klinicznie punktów końcowych<sup>16</sup>,  
30 odgrywających kluczową rolę w danej jednostce chorobowej. Można wskazać trzy  
31 główne kategorie, grupujące istotne klinicznie punkty końcowe:
- 32 – punkty końcowe odnoszące się do śmiertelności (ang. *mortality*);
  - 33 – punkty końcowe odnoszące się do przebiegu/nasilenia choroby (ang.  
34 *morbidity*);

---

<sup>14</sup> EUnetHTA Guidelines: Comparators & Comparisons. Criteria for the Choice of the Most Appropriate Comparator(s). Summary of Current Policies and Best Practice Recommendations. Amended Nov 2015.

<sup>15</sup> Dostępny na stronach Ministerstwa Zdrowia pod adresem: <https://www.gov.pl/web/zdrowie/leczenie> (stan na 04.10.2019).

<sup>16</sup> EUnetHTA Guidelines: Endpoints Used for Relative Effectiveness Assessment: Clinical Endpoints. Amended Nov 2015.

- 1 – punkty końcowe odnoszące się do zależnej od zdrowia jakości życia (ang.  
2 *health related quality of life, HRQoL*).
- 3 Do klinicznie istotnych punktów końcowych należą też zdarzenia niepożądane i  
4 incydenty medyczne (z podziałem na ciężkie i pozostałe)<sup>17</sup>.
- 5 Punkty końcowe raportowane w analizach powinny:
- 6 – być zdefiniowane i uzasadnione w opisie problemu decyzyjnego;  
7 – dotyczyć ocenianej jednostki chorobowej i jej przebiegu;  
8 – odzwierciedlać medycznie istotne aspekty problemu zdrowotnego i  
9 jednocześnie umożliwiać wykrycie potencjalnych różnic między  
10 porównywanymi technologiami;
- 11 – w uzasadnionych przypadkach analiza korzyści zdrowotnych może dotyczyć  
12 opiekunów lub systemu opieki zdrowotnej;
- 13 – mieć zasadnicze znaczenie dla podejmowania racjonalnych decyzji  
14 terapeutycznych (punkty krytyczne dla danego problemu zdrowotnego).
- 15 Podczas oceny wyrobu medycznego wskazane jest określenie istotności punktów  
16 końcowych zgodnie z metodologią GRADE<sup>18</sup> i na tej podstawie określenie  
17 najistotniejszych, które zostaną uwzględnione w dalszych etapach analizy<sup>19</sup>.
- 18 Przy raportowaniu wyników dla punktów końcowych należy dokładnie opisać sposoby  
19 postępowania z danymi utraconymi<sup>20</sup>.
- 20 Wyniki postępowania należy poddać analizie w najdłuższym dostępnym okresie  
21 obserwacji. Ocena wyników postępowania w krótkim czasie obserwacji jest  
22 wystarczająca w problemach zdrowotnych o przebiegu ostrym, bez konsekwencji  
23 długoterminowych. W chorobach przewlekłych wyższą wartość mają wyniki uzyskane  
24 w dłuższym okresie obserwacji, jakkolwiek w niektórych sytuacjach ocena  
25 skuteczności postępowania – ze względu na długie oczekiwane przeżycie – będzie  
26 musiała być dokonywana w oparciu o wyniki uzyskane w krótszym okresie  
27 obserwacji<sup>21</sup>.
- 28 W analizie przeżycia zaleca się raportowanie przeżycia całkowitego (ang. *overall*  
29 *survival*); należy przedstawić dane nieskorygowane, a w uzasadnionych przypadkach  
30 również dane skorygowane o efekt przejścia do grupy interwencji (ang. *cross-over*).
- 31 Jeśli ocena efektywności klinicznej została przeprowadzona w oparciu o wyniki w  
32 zakresie zastępczych (surogatowych) punktów końcowych, w analizie klinicznej  
33 konieczne jest wiarygodne wykazanie ich związku z klinicznie istotnymi punktami

---

<sup>17</sup> Pojęcia dotyczące zdarzeń niepożądanych oraz incydentów precyzowane są przez Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2017/745 z dnia 5 kwietnia 2017 r. w sprawie wyrobów medycznych, zmiany dyrektywy 2001/83/WE, rozporządzenia (WE) nr 178/2002 i rozporządzenia (WE) nr 1223/2009 oraz uchylecia dyrektyw Rady 90/385/EWG i 93/42/EWG

<sup>18</sup> Schünemann H., Brożek J., Guyatt G., Oxman A. (2013). *GRADE Handbook*. (stan na 14.12.2019).

<sup>19</sup> EUnetHTA Guidelines: Endpoints Used for Relative Effectiveness Assessment: Clinical Endpoints. Amended Nov 2015.

<sup>20</sup> EUnetHTA Guidelines: Endpoints Used for Relative Effectiveness Assessment: Clinical Endpoints. Amended Nov 2015.

<sup>21</sup> Ibidem.



- 1 końcowymi<sup>22</sup>. Walidacja surogatowych punktów końcowych powinna być dokonywana  
2 w odniesieniu do rozpatrywanego problemu zdrowotnego.
- 3 Nie zaleca się włączania do analizy punktów końcowych zdefiniowanych w ramach  
4 analizy *post hoc*. W uzasadnionych przypadkach (np. analiza specyficznych  
5 subpopulacji) dopuszcza się wykorzystanie danych z analiz *post hoc*, jednak wyniki  
6 takich analiz należy interpretować z ostrożnością. Należy odróżnić analizy *post hoc* od  
7 analiz w podgrupach chorych o wyjściowym różnym rokowaniu zakładających efekt  
8 działania wyrobu obserwowany w całej badanej populacji.
- 9 Stosowanie złożonych punktów końcowych zalecane jest wyłącznie w przypadku, gdy  
10 zostały one predefiniowane w protokole badania klinicznego. Nie zaleca się  
11 analizowania złożonych punktów końcowych zdefiniowanych w ramach analizy *post*  
12 *hoc*; jeśli analizy w podgrupach chorych były predefiniowane na etapie planowania  
13 badania, ich wyniki mają większe znaczenie niż typowych analiz *post hoc*. W  
14 przypadku raportowania złożonych punktów końcowych niezbędne jest podanie nie  
15 tylko wyników dla złożonego punktu końcowego, ale też oddzielnie dla każdego  
16 komponentu, nawet gdy nie osiągnęły istotności statystycznej<sup>23</sup>.
- 17 Gdy wyniki oceny klinicznej uzyskane zostały przy użyciu skal lub kwestionariuszy,  
18 należy przedstawić informacje o ich walidacji oraz istotności klinicznej wyników. W  
19 przypadku konwersji zmiennych ciągłych lub porządkowych na zmienne  
20 dychotomiczne (np. zdrowy – chory) konieczne jest uzasadnienie punktu odcięcia<sup>24</sup>.

## 21.6. Uwarunkowania związane z użytkowaniem

- 22 Oceniając dany wyrób medyczny, należy uwzględnić uwarunkowania związane z jego  
23 użytkowaniem. Uwarunkowania te mogą modyfikować i decydować o efektach  
24 wdrożenia interwencji. Zalicza się do nich między innymi system organizacji opieki  
25 zdrowotnej, politykę zdrowotną, zależność od użytkownika, czynniki instytucjonalne  
26 (infrastruktura, poziom / warunki opieki)<sup>25</sup>.
- 27 Opis uwarunkowań związanych z użytkowaniem powinien być dokonany w oparciu o  
28 wiarygodne źródła informacji oraz powinien zawierać podstawowe informacje istotne  
29 dla decyzji podejmowanych w dalszej części raportu HTA.

### 306.1. Miejsce/otoczenie wykorzystania technologii<sup>26</sup>

- 31 Należy zwięźle opisać w jaki sposób technologia medyczna będzie się wpisywać w  
32 obecny system opieki zdrowotnej oraz jakie są możliwości jej implementacji,  
33 uwzględniając:
- 34 – poziom opieki zdrowotnej (np. POZ, AOS, szpital);

---

<sup>22</sup> Ibidem.

<sup>23</sup> Ibidem.

<sup>24</sup> Ibidem.

<sup>25</sup> European network for Health Technology Assessment (EUnetHTA). (2015). Therapeutic medical devices.

<sup>26</sup> NICE (2013), Guide to the methods of technology appraisal 2013, <https://www.nice.org.uk/process/pmg9>



- 1 – miejsce udzielania świadczenia (np. zakład opieki zdrowotnej, laboratorium
- 2 diagnostyczne, miejsce zamieszkania pacjenta);
- 3 – użytkownika wyrobu i jego kompetencje (np. personel medyczny, laik);
- 4 – inne czynniki istotne ze względu na planowane wykorzystanie technologii (np.
- 5 mobilność, łatwość użycia).

### 166.2. Świadczenia konieczne do uzyskania prawidłowych efektów<sup>27</sup>

7 Należy przedstawić opis ewentualnych świadczeń towarzyszących wraz z  
8 dodatkowymi wymogami sprzętowymi (np. konieczność rehabilitacji po zabiegu czy  
9 zapewnienie dodatkowych wyrobów medycznych lub leków), które są niezbędne do  
10 prawidłowej realizacji świadczenia, prawidłowego działania wyrobu lub do osiągnięcia  
11 pełnych wyników procesu diagnostyczno-terapeutycznego. W opisie należy zawrzeć  
12 informację, czy powyższe technologie medyczne objęte są finansowaniem ze środków  
13 publicznych.

### 146.3. Wpływ krzywej uczenia się na efekty zdrowotne<sup>28</sup>

15 Należy rozważyć konsekwencje związane z wpływem krzywej uczenia się<sup>29</sup> personelu  
16 (ang. *learning curve*) i pacjenta (ang. *compliance/adherence*), stanowiącej jedną ze  
17 specyficznych cech wyrobów medycznych. W związku z postępującym rozwojem  
18 technologii i względnie krótkim cyklem życia produktu, umiejętności użytkowników i ich  
19 szkolenie/dokształcanie mogą mieć znaczący wpływ na efektywność zastosowania  
20 wyrobów. Krzywa uczenia się zmienia oszacowanie efektywności praktycznej wyrobu,  
21 ale też wpływa na niepewność oszacowań.

22 Należy zidentyfikować mechanizmy uczenia się, które mogą powodować zmiany w  
23 czasie oraz ocenić profil ryzyka inwestycyjnego zgodnie z doświadczeniem  
24 użytkownika, na które wpływa stopień umiejętności wykorzystania wyrobu w  
25 praktyce<sup>30</sup>. Należy zawrzeć informację, czy instrukcja została zwalidowana dla  
26 populacji polskiej i jakie były wyniki tego procesu.

### 176.4. Uciążliwość/inwazyjność zastosowania technologii<sup>31</sup>

28 W tym punkcie należy zawrzeć informacje na temat ewentualnych obciążeń  
29 związanych z zastosowaniem ocenianej technologii, uwzględniając m.in. ból, wpływ  
30 technologii na mobilność pacjenta, stopień trudności jej obsługi czy długofalowe skutki  
31 stosowania wyrobu. Uwzględnić również należy kwestię ewentualnej nieodwracalności  
32 zastosowania ocenianej technologii medycznej (tj. możliwości cofnięcia jej efektów), w

---

<sup>27</sup> NICE (2016), Interventional procedures programme manual, <https://www.nice.org.uk/process/pmg28>

<sup>28</sup> Ibidem

<sup>29</sup> Przedstawia zależność opanowania danej umiejętności lub wiedzy w funkcji czasu, jaki poświęciliśmy na jej zdobycie

<sup>30</sup> Tarricone, R., Torbica, A., Drummond, M., & MedtechHTA Project Group. (2017). Key recommendations from the MedtechHTA Project. *Health economics*, 26, 145-152.

<sup>31</sup> NICE (2016), Interventional procedures programme manual, <https://www.nice.org.uk/process/pmg28>

- 1 szczególności w odniesieniu do procedur inwazyjnych, np. czy możliwe jest usunięcie
- 2 implantu.

### 136.5. Wpływ zastosowania technologii na ścieżkę diagnostyczno-terapeutyczną<sup>32, 33</sup>

- 4 Należy opisać, jakie zmiany mogą zajść w aktualnej praktyce diagnostyczno-
- 5 terapeutycznej i w systemie po objęciu danej technologii finansowaniem ze środków
- 6 publicznych.

## 1.7. Rodzaj i jakość dowodów naukowych

8 Do analizy skuteczności klinicznej należy włączać przede wszystkim dowody naukowe  
9 możliwie najwyższej jakości, których metodyka umożliwi uzyskanie najbardziej  
10 wiarygodnych danych w zakresie efektywności eksperymentalnej ocenianej  
11 interwencji. Zasady tej nie zmienia niewielka liczba przeprowadzanych badań lub niska  
12 jakość dostępnych dowodów klinicznych. Ponadto należy uwzględnić wysokiej jakości  
13 rejestry wyrobów medycznych czy rejestry zdarzeń chorobowych, wysokiej jakości  
14 badania obserwacyjne oraz, jeśli są dostępne, testy konsumenckie.

15 Analiza bezpieczeństwa powinna zawierać przegląd informacji z dostępnych rejestrów  
16 (URPL, ECRI, FDA), a dodatkowo należy włączyć również dowody naukowe z  
17 niższych poziomów klasyfikacji. W przypadku braku danych o profilu bezpieczeństwa  
18 interwencji w rozpatrywanym wskazaniu zalecane jest odniesienie się do wyników w  
19 zakresie profilu bezpieczeństwa interwencji stosowanej w innych populacjach.  
20 Przedstawienie wiarygodnych danych na temat bezpieczeństwa interwencji jest  
21 kluczowe zwłaszcza w przypadku powoływania się w ocenie efektywności klinicznej  
22 na pośrednie lub surogatowe punkty końcowe.

23 Należy przeprowadzić dyskusję o możliwości wnioskowania na podstawie danej  
24 analizy o rzeczywistej wartości klinicznej ocenianej technologii. Specyfika pytania  
25 klinicznego może wymagać określenia minimalnej jakości włączanych badań  
26 klinicznych niezbędnych do podjęcia decyzji. Decyzję o wprowadzeniu takiego  
27 wymogu należy uzasadnić.

---

<sup>32</sup> NICE (2013), Guide to the methods of technology appraisal 2013, <https://www.nice.org.uk/process/pmg9>

<sup>33</sup> NICE (2011), Diagnostics Assessment Programme manual, <https://www.nice.org.uk/Media/Default/About/what-we-do/NICE-guidance/NICE-diagnostics-guidance/Diagnostics-assessment-programme-manual.pdf>