

Kraków, 9 grudnia 2008 r.

Na podstawie projektu oryginalnego,  
przygotowanego przez Departament Gospodarki Lekami  
Centrali Narodowego Funduszu Zdrowia  
w marcu i kwietniu 2007 roku

Ponownie zebrał i przedstawił: Krzysztof Łanda

## **PROJEKT SOWa**

Dotyczy:

**Systemu skoordynowanej oceny wniosków o terapię niestandardowe  
(akronim: SOWa)**

### **Cel:**

1. Zapewnienie, wymaganego Konstytucją RP, **równego dostępu do terapii niestandardowej**<sup>1</sup>, finansowanej ze środków publicznych Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ), dla wszystkich pacjentów, niezależnie od miejsca zameldowania i regionu geograficznego w Polsce;
2. **Zwiększenie wydajności urzędów** (zwielokrotnienie możliwości OW NFZ) w zakresie rozpatrywania wniosków na terapię niestandardową przez eliminację, występującego obecnie dublowania prac (a właściwie wielokrotnego powtarzania tych samych czynności), przez Wydziały Gospodarki Lekami Oddziałów Wojewódzkich NFZ (WGL) oraz znacząca poprawa jakości pracy Oddziałów Wojewódzkich NFZ (OW) w przedmiotowym zakresie.

---

<sup>1</sup> Farmakoterapia i chemioterapia niestandardowa - zgodnie z obowiązującymi definicjami NFZ w roku 2007.

### **Stan aktualny:**

Wnioski na terapię niestandardową przygotowane są przez wnioskującego lekarza specjalistę. Po uzyskaniu na wniosku potwierdzenia zgody:

- Konsultanta wojewódzkiego,
- Dyrektora lub Dyrektora ds. finansowych szpitala, z którego budżetu terapia ma być sfinansowana oraz ordynatora oddziału lub osoby przez niego wyznaczonej,

wnioski kierowane są do Dyrektora OW, którzy wyraża ew. zgodę na finansowanie terapii.

Przed ew. uzyskaniem zgody Dyrektora OW, wniosek jest opracowywany przez WGL. W każdym WGL zatrudniona jest 1 lub 2 osoby, do głównych zadań pracowniczych których należy zajmowanie się wnioskami na terapię niestandardową.

Należy podkreślić, że **nie ma aktualnie żadnej formalnej koordynacji, pomiędzy WGL-ami, w zakresie rozpatrywania wniosków na terapię niestandardową. Wynika stąd, że poszczególne WGL-e zajmują się często identycznymi wnioskami** – wnioskami dotyczącymi tych samych interwencji (te same leki), które mają być stosowane u pacjentów o takiej samej lub zbliżonej charakterystyce klinicznej (to samo wskazanie).

Pracownicy WGL-ów zajmujący się wnioskami na terapię niestandardową zostali przeszkoleni w zakresie podstawowym w EBM (Evidence Based Medicine; medycyna oparta na dowodach naukowych), HTA (Health Technology Assessment; ocena technologii medycznych) oraz wyszukiwania w bazach informacji medycznej i ekonomicznej. Posiadają więc niezbędną wiedzę, nie tylko, żeby współpracować w systemie SOWa, ale również by rozpatrywać wnioski na terapię niestandardową niezależnie, w sposób nieskoordynowany, tak jak ma to miejsce dzisiaj. Część z pracowników WGL-ów, którzy zostali przeszkoleni w I połowie 2007 roku ze wszystkich OW prawdopodobnie nie świadczy dziś stosunku pracy na rzecz NFZ, jednak należy sądzić, że duża ich część wciąż pracuje w OW – z drugiej strony trudno sobie wyobrazić, żeby nowo zatrudnieni pracownicy, którzy dziś zajmują się wnioskami na terapię niestandardową nie zostali wyposażeni w odpowiednią wiedzę i umiejętności, żeby temu zadaniu podołać w sposób odpowiedzialny i profesjonalny.

### **Przyjęte założenia:**

1. Nierówny dostęp chorych w Polsce do terapii finansowanej ze środków publicznych jest niezgodny z Konstytucją RP;
2. Nie jest możliwa pełna standaryzacja postępowania medycznego w żadnym wskazaniu;
3. Stosowanie, a więc i finansowanie użycia leków *off label* (poza wskazaniami rejestracyjnymi i brak doniesień naukowych o skuteczności technologii medycznej) oraz *soft label* (poza wskazaniami rejestracyjnymi, ale są doniesienia naukowe świadczące o skuteczności technologii medycznej) jest powszechną praktyką oraz koniecznością medyczną we wszystkich krajach rozwiniętych; lekarz jest w tym przypadku zobowiązany do przestrzegania stosownych zapisów Deklaracji Helsińskiej, czego również wymaga NFZ;

4. NFZ i WGL-e posiadają ograniczone zasoby kadrowe, stąd dublowanie bądź zwielokrotnione wykonywanie tej samej pracy jest błędem organizacyjnym;
5. Daleko posunięta centralizacja decyzji w NFZ, czy szerzej w całym systemie ochrony zdrowia, nie jest pożądana i nie może być efektywna;
6. NFZ, AOTM, DPL, ZGL, Rada Konsultacyjna mają ograniczoną wydajność, a więc mogą uczestniczyć w podejmowaniu najważniejszych decyzji; zaangażowanie tych instytucji w proces podejmowania decyzji mniejszej wagi systemowej prowadzić może do niewydolności urzędów z negatywnymi konsekwencjami dla chorych w Polsce.

### **Organizacja systemu SOWa**

Poniższe nie zmieniają się w stosunku do aktualnej organizacji leczenia niestandardowego (zgodnie z definicją obowiązującą w roku 2007):

- A. przygotowanie i obieg wniosków – bez zmian
- B. sposób rozpatrywania wniosków przez WGL-e – bez zmian
- C. decyzji podejmowane przez Dyrektorów OW – bez zmian
- D. finansowanie terapii niestandardowej – w ramach kontraktu świadczeniodawcy z NFZ

Zmianie ulegają:

1. Każdy wniosek na terapię niestandardową zostaje zgłoszony do Centrali NFZ w wersji elektronicznej; Departament Gospodarki Lekami (DGL) w Centrali NFZ prowadzi rejestr wniosków na terapię niestandardową (RWTN);
2. DGL ustala priorytety i proponuje sposób rozpatrywania wniosku w ramach następujących procedur:
  - A. **BRAK INGERENCJI** - część wniosków nie wymaga ingerencji Centrali NFZ i rozpatrywana jest przez OW na dotychczasowych zasadach; brak informacji zwrotnej z DGL w ciągu 3 dni od daty zgłoszenia wniosku przez OW, należy rozumieć jako brak ingerencji Centrali NFZ w sposób rozpatrzenia wniosku; procedura będzie dotyczyć większości wniosków, przy czym są to najczęściej leki o udowodnionej skuteczności (*soft label use*) i stosunkowo tanie;
  - B. **KOORDYNACJA CENTRALI** - część wniosków wymaga oceny skoordynowanej, prowadzonej przez WGL-e w ramach SOWy;
    - i. pracownicy WGL zapoznają się z doniesieniami dotyczącymi efektywności klinicznej (AEf) oraz szacują koszt terapii; załączenie tych informacji do wniosku wymagane jest przez NFZ stosownym zarządzeniem Prezesa;
    - ii. Dyrektor DGL przydziela poszczególnym WGL-om wnioski do rozpatrzenia na podstawie dołączonej do wniosku informacji o efektywności klinicznej i kosztach, unikając przy tym dublowania prac („appraisal”, czasem również „assessment” na podstawie badań

wtórnych wyszukiwanych przez pracowników WGL); Dyrektor DGL określa termin dokonania oceny przez WGL dla każdego z przydzielonych wniosków;

- iii. wypracowane stanowisko OW z uzasadnieniem zostaje przesłane w formie elektronicznej do Centrali NFZ;
- iv. DGL dokonuje weryfikacji stanowiska OW - po zaakceptowaniu stanowiska przez Prezesa NFZ jest ono przekazywane wszystkim OW NFZ w Polsce; stanowisko dotyczy finansowania lub nie finansowania danej terapii niestandardowej w określonej sytuacji klinicznej (w określonym wskazaniu), dzięki czemu zachowana jest równość dostępu dla chorych w Polsce;

**C. INGERENCJA AOTM** – AOTM dokonuje oceny krytycznej (*critical appraisal*) evidence zgromadzonego przez NFZ i/lub czasem również dokonuje oceny technologii medycznych (*assessment*), których dotyczy wnioski; Prezes NFZ za pośrednictwem MZ (lub bezpośrednio?) kieruje wnioski do rozpatrzenia do AOTM; wniosek dotyczący sytuacji szczególnej z uwagi na następujące kryteria (poniższe mogą być rozpatrywane razem lub osobno - do decyzji Dyrektora DGL):

- Niepewność dotycząca oceny efektywności klinicznej, nieudowodniona lub wątpliwa skuteczność
- Bardzo wysoki koszt jednostkowy terapii (granica do ustalenia np. może dotyczyć większości wniosków dla terapii, których koszt miesięczny wynosi powyżej 30-35 tys. zł; granica do ustalenia w ramach procedur wewnętrznych NFZ)
- Potencjalny znaczący wpływ na budżet NFZ – bardzo liczna grupa chorych i stosunkowo droga technologia medyczna (granice do ustalenia w ramach procedur wewnętrznych NFZ)

**D. WYPRACOWANE STANOWISKO NFZ** – WGL-e uzyskują wgląd we wpisy do rejestru (RWTN) i zgodnie z wypracowanym stanowiskiem NFZ rozpatrują kolejne wnioski dotyczące określonej technologii medycznej – eliminuje to różnice w dostępie do terapii niestandardowej; wpisy obejmują daną interwencję w określonym wskazaniu z adnotacją o wypracowanym pozytywnym lub negatywnym stanowisku NFZ (w ramach procedur B lub C powyżej).

### **Istotne dodatkowe kwestie**

System SOWa może dotyczyć nie tylko wniosków na nowe technologie medyczne, nie finansowanych do tej pory nigdzie w Polsce, ale może również dotyczyć weryfikacji zasadności zgód lub ich odmowy w stosunku do wniosków, które OW rozpatrywały w czasie ostatnich miesięcy czy lat. SOWa może więc regulować cały zakres terapii niestandardowej w Polsce, a skoordynowana ocena będzie dotyczyła coraz większego obszaru, który dziś rodzi tak wiele kontrowersji i którego nie można po prostu usunąć, czy zablokować

[przyczyny zostały szczegółowo przedstawione w stanowisku Konsultantów krajowych w onkologii, przekazanemu MZ w połowie roku 2008].

W zależności od wagi problemu decyzyjnego sposób rozpatrywania wniosków, zakres i rygorystyczność gromadzonego *evidence* NFZ muszą być zróżnicowane. W przypadku terapii niestandardowej konieczne jest gromadzenie *evidence* w każdym zakresie rygorystyczności: od pojedynczego badania randomizowanego z informacją o cenie preparatu aż do pełnego zestawu analiz porównawczych (przegląd systematyczny, analiza ekonomiczna i finansowa – zgodne z wytycznymi AOTM) w przypadku procedury C. WGL, DGL, Prezes NFZ lub AOTM mogą wymagać w określonych przypadkach większego zakresu informacji i doniesień naukowych od wnioskujących specjalistów niż minimum zgromadzone na rzecz wniosku o terapię niestandardową. Prezes NFZ zarządzeniem powinien określić minimalny zakres informacji dołączanych do wniosków o terapię niestandardową, czyli co najmniej jedno badania randomizowane i cena leku, który wystarczy na terapię miesięczną lub na jednorazowe podanie leku.

Należy zwrócić uwagę, że dzięki finansowaniu terapii niestandardowej i rozpatrywaniu wniosków w ramach SOWy możliwe jest zapewnienie pacjentom w Polsce **kontrolowanego i równego dostępu** do drogich technologii medycznych stosowanych poza wskazaniami rejestracyjnymi. W ramach programów terapeutycznych taka możliwości nie istnieje. Terapia niestandardowa wymagająca restrykcyjnej regulacji przez płatnika dotyczy zwykle niewielkiej liczby pacjentów, przy czym z powodu *soft label use* i *off label use* może nie być nigdy udostępniona w ramach programu terapeutycznego, czy w ramach innych części szeroko rozumianego koszyka świadczeń gwarantowanych. Konieczność zastosowania takiej terapii, często o udowodnionej wysokiej skuteczności, występuje w medycynie często, przy czym w onkologii jest to szczególnie powszechne.

Z kolei pozostawienie kwestii finansowania leków *off label use* i *soft label use* w Polsce bez regulacji zapewniającej równy i kontrolowany dostęp chorych do terapii tego typu jest nie tylko niezgodne z Konstytucją RP, ale również stanowi poważny czynnik korupcyjny w systemie ochrony zdrowia.

---

## **PS:**

Warto nadmienić, że projekt dotyczący systemu SOWa został zaakceptowany przez Prezesa NFZ Pana Andrzeja Sośnierza, a stosowne pismo potwierdzające tą akceptację z dnia 8 czerwca 2007 roku, znak: NFZ/CF/DGL/07/05/0228/PR zostało rozesłane do oddziałów wojewódzkich NFZ.

W odpowiedzi na wymienione wyżej pismo DGL uzyskał od oddziałów informacje o produktach leczniczych w terapii niestandardowej, co do których skuteczności, profilu bezpieczeństwa lub efektywności kosztowej istniały wątpliwości w połowie 2007 roku. Po przeanalizowaniu zgłoszeń oraz mając na uwadze fakt, że część z nich się powtarzała, DGL wybrał po 2 lub 3 leki dla każdego OW (jako pierwszy „rzut” SOWy), w celu zlecenia odnalezienia badań wtórnych i pierwotnych w bazach informacji, zgodnie z wiedzą przekazaną w czasie cyklu szkoleń (EBM, HTA, bazy informacji).

W załączeniu do ww. notatki przekazany został Prezesowi NFZ projekt pisma na listowniku DGL, dotyczącego przydziału pierwszych leków, dla których WGL-e poszukiwałyby informacji w sposób skoordynowany oraz listę leków, które zostały przypisane poszczególnym oddziałom. Niestety przygotowany system nie został finalnie uruchomiony.