

POLSKIE ZDROWIE 2.0

Wdrażanie innowacji w medycynie

Policy brief III.3



Rekomendacje strategiczne
na lata 2023-2027

POLSKA AKADEMIA NAUK
Wydział Nauk Medycznych
Komitet Zdrowia Publicznego

Rekomendacje strategiczne na lata 2023-2027:

WDRAŻANIE INNOWACJI W MEDYCYNIE

– *Polskie Zdrowie 2.0*

Autorzy (w kolejności alfabetycznej):

Krzysztof Chlebus

Marcin Czech

Stanisław Czuczwar

Marek Krawczyk

Rafał Stec

Adam Witkowski

Rekomendacje przygotowano w ramach realizacji Projektu KZP PAN pt.:

„Ocena wybranych elementów systemu zdrowia w Polsce w oparciu
o dowody naukowe i dobre praktyki innych krajów – Polskie Zdrowie 2.0”

Policy Brief nr III.3
wersja preprint

Warszawa, luty 2023 r.

POLICY BRIEF

Wstęp

W Polsce trwa kryzys zdrowotny manifestujący się postępującym od 2015 r. brakiem obserwowanego w poprzednich dekadach wydłużenia, a w ostatnich latach nawet skróceniem czasu życia kobiet i mężczyzn [1]. Ten niekorzystny trend został dodatkowo pogłębiony przez pandemię COVID-19, co spowodowało dalsze narastanie długu zdrowotnego rozumianego jako ciągłe i pogłębiające się niezaspokajanie potrzeb zdrowotnych społeczeństwa spowodowane utrudnionym dostępem do efektywnej opieki zdrowotnej, który powstał w konsekwencji niedrożności publicznego systemu zdrowia [2].

Głównymi przyczynami zgonów w Polsce są choroby układu krążenia (ChUK) i choroby nowotworowe – stanowią one blisko 70% wszystkich zgonów. W 2020 r. odnotowano w Polsce wzrost liczby zgonów z powodu przyczyn kardiologicznych w stosunku do kilku ostatnich lat. Z powodu chorób układu krążenia zmarło ponad 174,5 tys. osób, co stanowiło 42,6% wszystkich zgonów, tj. na każde 100 tys. ludności kraju 455 osób zmarło w wyniku schorzeń układu krążenia [3]. Z drugiej strony Polska należy do jednych z najszybciej starzejących się populacji Europy, co sprawia, że w roku 2060 na 100 osób w wieku produkcyjnym (20-64 lata) będzie przypadać ponad 70 osób w wieku 65+. Wśród krajów OECD gorzej będzie tylko w Korei, Hiszpanii, Francji, Włoszech, Japonii [1].

Liczba zachorowań na nowotwory złośliwe stale rośnie, co związane jest głównie ze starzeniem się społeczeństwa (szacuje się, że w roku 2050 liczba osób w wieku 65+ będzie wynosić ponad 11 mln – 1/3 populacji Polski). Kolejnym istotnym czynnikiem odpowiadającym za większą liczbę zachorowań jest wzrost wskaźników zapadalności. Z drugiej strony dzięki wprowadzonym programom przesiewowym, poprawie wykrywalności oraz innowacyjnym technologiom medycznym wzrastają wskaźniki przeżywalności, które jednak przekładają się bezpośrednio na rosnącą liczbę osób chorych wymagających świadczeń zdrowotnych w tym samym czasie, a to z kolei wpływa na większe obciążenie finansowe systemu opieki zdrowotnej.

Jednym z istotnych elementów odbudowy systemu zdrowia publicznego i niwelowania długu zdrowotnego jest możliwie szeroki i szybki dostęp do innowacyjnych technologii zdrowotnych lekowych i nielekowych, który w Polsce i pozostałych krajach Europy Środkowo-Wschodniej (ES-W) Unii Europejskiej (EU) jest wyraźnie ograniczony w stosunku do pięciu państw (Francja,

Hiszpania, Niemcy, Wielka Brytania, Włochy) tzw. „starej” EU (EU5). Z raportu opublikowanego w 2021 r. wynika, że pacjenci z krajów ES-W EU mają dwukrotnie mniej szans na otrzymanie innowacyjnej farmakoterapii, tylko 34% leków autoryzowanych przez Europejską Agencję Leków (EMA) jest dostępnych w krajach ES-W EU, a okres oczekiwania na innowacyjną terapię trwa aż o 304 dni dłużej niż w przypadku krajów EU5 [4]. Podobnie ograniczony jest, przede wszystkim z powodu czynników finansowych i systemowych, dostęp do nowoczesnych terapii sprzętowych (technologii nielekowych). To wyraźne ograniczenie dostępu do innowacyjnych terapii jest jedną z przyczyn gorszej kondycji zdrowotnej społeczeństw krajów ES-W EU: długość trwania życia jest o cztery lata krótsza, a umieralność z przyczyn sercowo-naczyniowych trzykrotnie większa niż w krajach EU5 [5].

Uważamy, że naprawa permanentnie złej sytuacji w Polsce, związanej ze zbyt powolnym wprowadzaniem innowacyjnych terapii, która trwa już od wielu lat, powinna polegać na zdefiniowaniu problemu oraz propozycji racjonalnych rozwiązań, które są podane w tabeli 1.

Definicja innowacji i opis sytuacji w Polsce

Innowację określa się jako wynik wszystkich działań o charakterze naukowym, technicznym, organizacyjnym, finansowym i komercyjnym, które rzeczywiście doprowadziły lub miały w zamierzeniu doprowadzić do wdrożenia zmian w zakresie produktów, procesów, organizacji lub marketingu [6].

Międzynarodowa Organizacja Współpracy Gospodarczej i Rozwoju (*Organisation for Economic Cooperation and Development*, OECD) definiuje innowację jako wdrożenie całkowicie nowego lub istotnie ulepszanego produktu (wyrobu bądź usługi). Innowacja może dotyczyć również marketingu, procesu, organizacji w zakresie praktyk biznesowych, organizacji miejsca pracy, formy pracy, a nawet relacji ze środowiskiem. Innowacje pojawiają się w każdym sektorze gospodarki [6]. Z kolei Światowa Organizacja Zdrowia (WHO) wskazuje, że celem innowacji w zakresie zdrowia jest opracowanie i dostarczanie nowych lub ulepszonych polityk zdrowotnych, systemów, produktów, technologii oraz usług i metod ich świadczenia, które wpłyną na poprawę zdrowia ludzi [7].

Tabela 1. Innowacyjne technologie medyczne oraz możliwości ich wprowadzania w Polsce

Lp.	Zagadnienie	Proponowane rozwiązanie
1.	Definicja innowacji w medycynie	wypracowanie jednoznacznej definicji pojęcia innowacji oraz opisanie sytuacji w Polsce związanej z inwestycjami w nowe technologie medyczne
2.	Dlaczego innowacje w medycynie są potrzebne?	innowacyjne terapie (lekowe i nielekowe) umożliwiają leczenie pacjentów, u których stosowanie dotychczasowych technologii nie przynosiło pożądanego/oczekiwanego wydłużenia przeżycia, w tym przeżycia w zdrowiu, i nie sprzyjało zmniejszeniu częstości zdarzeń oraz poprawy komfortu życia lub też takich terapii do tej pory w ogóle nie było
3.	Wydatki budżetowe	zwiększenie wydatków budżetowych na ochronę zdrowia w Polsce, z uwzględnieniem innowacyjnych technologii medycznych
4.	Zasady oceny nowych technologii medycznych	stworzenie przejrzystych zasad eksperckiej, merytorycznej, klinicznej oraz ekonomicznej oceny nowych technologii medycznych przez wzmocnienie roli już działających instytucji, jak np. AOTMiT i/lub ABM, oraz przez zaangażowanie w ten proces wiodących ośrodków medycznych w kraju (<i>centra doskonałości, centres of excellence</i>); wdrażanie nowych technologii medycznych w tempie będącym pochodną racjonalności ekonomicznej oraz w zależności od ocenionej przez ekspertów pilności potrzeb; analizy eksperckie powinny być oparte o wyniki uznanych badań i opracowań naukowych, danych rejestrowych i HTA oraz opinii specjalistów, a ostateczny, a więc także polityczny, proces podejmowania decyzji w oparciu o ww. analizy powinien być przejrzysty publicznie i wyraźnie oddzielony od merytorycznej części eksperckiej
5.	Jak wprowadzać innowacje?	zintegrowanie wprowadzania innowacji z całym, odpowiednio umocowanym i stabilnie zarządzanym systemem zdrowia publicznego w Polsce, z podziałem zadań między MZ, NFZ, AOTMiT, ABM, centra doskonałości oraz inne grupy eksperckie; niezbędne jest instytucjonalne centrum koordynujące (spośród instytucji już istniejących, jak np. AOTMiT czy MZ, albo stworzone <i>de novo</i>) o dużym poziomie niezależności i stabilnym budżecie

Źródło: opracowanie własne

Rozwój innowacyjnych technologii medycznych w Polsce

Według danych Europejskiego Urzędu Patentowego (EPO) technologie medyczne są wiodącą dziedziną wśród zgłoszeń patentowych z Polski. Na kolejnych miejscach uplasowały się produkty farmaceutyczne (+11,4%) oraz transport (w tym przemysł samochodowy), gdzie złożono o 81% więcej zgłoszeń patentowych niż rok wcześniej. Dwa główne obszary związane z ochroną zdrowia – produkty farmaceutyczne i technologie medyczne – reprezentują łącznie 19,3% wszystkich polskich zgłoszeń patentowych składanych do EPO, w porównaniu do 15,3% w roku 2020. Odzwierciedleniem powyższych danych są wartości dotyczące eksportu sprzętu i urządzeń medycznych z Polski, które wyniosły w 2019 r. 2,4 mld euro i były o 10% wyższe niż w poprzednim roku, gdy polscy producenci wyeksportowali sprzęt o wartości 2,2 mld euro [8]. Z roku na rok rośnie także znaczenie start-upów w zakresie wprowadzania nowych technologii na rynek. Ostatni raport Fundacji Startup Poland pokazuje zaś, że branża medtech – czyli usługi z obszaru medycyny i zdrowia – jest jednym z najpopularniejszych obszarów ich działalności. W tej branży rozwija się ok. 13% polskich innowacyjnych spółek [9].

Jak wynika z raportu „Top Disruptors in Healthcare 2021”, będącego przeglądem innowacyjnych start-upów medycznych w Polsce, ponad połowa badanych spółek działa w obszarze telemedycyny, 45% wskazuje na obszar *AI/machine learning*, a na trzecim miejscu podium są urządzenia medyczne *ex aequo* z obszarem danych medycznych (po 37%). W porównaniu z poprzednią wersją badania widać wzrost zainteresowania sztuczną inteligencją w zdrowiu. W badanej grupie start-upów 70% tworzy innowacje we współpracy ze szpitalami. W przypadku start-upów, których rozwiązania są rozwijane w oparciu o sztuczną inteligencję, najczęściej wybieranymi sektorami były onkologia (22 startupy, 32% badanych), kardiologia (21 startupów, 31% badanych) oraz radiologia (19 startupów, 28% badanych) [10].

Wpływ innowacyjnych technologii medycznych na zdrowie

Inwestycje w innowacyjne technologie w systemie ochrony zdrowia wykazują ścisły związek ze stanem zdrowia społeczeństwa. To właśnie innowacyjne leki i szczepionki umożliwiły istotne wydłużenie przeżycia pacjentów z chorobami nowotworowymi (np. z rakiem płuca, nawet w stadium rozsiały), eradykację lub znaczące zmniejszenie zapadalności na choroby zakaźne, skuteczniejsze leczenie chorób przewlekłych (np. chorób autoimmunologicznych) czy terapię pacjentów z rzadkimi i ultraradkimi chorobami o podłożu genetycznym (np. rdzeniowego zaniku mięśni, choroby Fabry’ego).

Szczególnym źródłem innowacyjności jest przemysł farmaceutyczny i produkujący wyroby medyczne, który napędza postęp medycyny, prowadząc do opracowania nowych leków,

wyrobów medycznych, metod diagnostycznych, ale też wielu odkryć z zakresu nauk podstawowych, jak patofizjologia chorób, biologia nowotworów czy wiele innych. Postęp ten wpływa jednocześnie na rozwój innowacyjności, ponieważ wykrycie nowych celów terapeutycznych w postaci różnych białek skłania do poszukiwania tzw. terapii ukierunkowanych molekularnie, które w sposób celowany, a często spersonalizowany, będą skutecznym sposobem leczenia pacjentów onkologicznych. Polski rynek badań klinicznych jest wart około 2 mld złotych, przy czym 98% z nich ma charakter komercyjny, finansowany przez przemysł farmaceutyczny. Te niekomercyjne – zainicjowane przez naukowców i nienastawione na zysk – stanowią raptem 2%, podczas gdy europejska średnia sięga ok. 30%, co dowodzi dużej dysfunkcji mechanizmów publicznych w tym zakresie i wskazuje na potrzebę zmian. Można się spodziewać, że powołanie Agencji Badań Medycznych (ABM) zmieni tę sytuację [11].

Należy podkreślić, że przemysł farmaceutyczny należy do najbardziej innowacyjnych gałęzi gospodarki. Wydatki na badania i rozwój wśród firm farmaceutycznych i biotechnologicznych przekraczają 15% przychodu firm netto. Dla porównania: w drugim najbardziej innowacyjnym obszarze usług, jakim jest IT, ten wskaźnik osiąga wartość niespełna 12%. Średnia dla 38 gałęzi gospodarki, obliczona na podstawie danych zebranych od firm zarejestrowanych na całym świecie, wynosi 4,3%. Wartość inwestycji w działalność badawczo-rozwojową w Europie w roku 2020 wyniosła 39 mld euro.

Warto również zauważyć niezwykle ważną rolę ośrodków akademickich w procesie tworzenia innowacji w naszym kraju. Zgłoszenia uczelni lub instytutów badawczych stanowią ponad 40% wszystkich zgłoszeń z Polski złożonych w EPO. Ta sytuacja jest dość wyjątkowa na tle innych krajów, gdzie wyraźnie dominuje w tym zakresie przemysł. Oznacza to ogromny potencjał polskich uczelni, który powinien być uwzględniony w planach rozwoju innowacji w naszym kraju.

Innowacyjność w medycynie jest wynikiem postępu w nauce, technologii oraz metodach badawczych. Prowadzi do wielu pozytywnych następstw:

- zmniejszenia śmiertelności,
- wydłużenia życia (w Europie żyje się nawet o 30 lat dłużej niż sto lat temu),
- kontroli chorób przewlekłych,
- „przekształcenia” niektórych nieuleczalnych nowotworów w choroby przewlekłe,
- poprawy jakości życia,
- personalizacji terapii, czyli dostosowania leczenia do potrzeb określonego chorego,
- dokładniejszej i szybszej diagnostyki wielu chorób,
- kontroli chorób, dla których dotychczas nie było skutecznego leczenia.

Korzystne następstwa medyczne i ograniczenie skutków chorób nie pozostają bez wpływu na gospodarkę. Analizy wskazują, że jednoprocenowy wzrost przewidywanej długości życia populacji może przekładać się na zwiększenie PKB nawet o 6% i PKB *per capita* o 5% [12].

W zakresie leczenia, innowacyjność w medycynie doprowadziła do rozwoju nowych obszarów terapeutycznych:

- medycyny genomicznej – opartej na wyniku zbadania całego ludzkiego genomu człowieka lub przynajmniej jego części, co umożliwia określenie indywidualnego ryzyka zachorowania i dobór odpowiedniej terapii,
- medycyny personalizowanej – ukierunkowanej na konkretnego chorego, ale skupiającej się nie tylko na leczeniu, a nawet przede wszystkim na mechanizmach zachowania zdrowia i zapobiegania chorobom,
- medycyny translacyjnej – obejmującej badania naukowe w poszukiwaniu początku i mechanizmów procesu chorobowego oraz identyfikację swoistych procesów biologicznych, biomarkerów lub szlaków prowadzących do choroby, czyli będącej procesem przenoszenia odkryć na poziomie molekularnym z laboratorium do praktyki klinicznej.

Szczególną rolę innowacyjności dostrzegają też urzędy rejestracyjne. Amerykańska Agencja ds. Żywności i Leków (FDA) niektórym lekom nadaje status leku pierwszego w swojej klasie albo terapii przełomowej. W latach 2008-2017 FDA zarejestrowała 321 nowych technologii lekowych, z czego 46 w roku 2017 [13]. Europejska Agencja Leków wydaje rocznie średnio 87 pozytywnych opinii dotyczących wprowadzenia produktów leczniczych do obrotu, a także dopuszcza średnio 35 nowych substancji czynnych w różnych obszarach terapeutycznych. W latach 2015-2018 najwięcej pozytywnych opinii wydano w roku 2015 (93), natomiast najwięcej nowych substancji czynnych dopuszczono w roku 2018 (42). Najwięcej nowych leków zostało dopuszczonych w obszarze onkologii, neurologii, chorób zakaźnych oraz hematologii [14]. Nie widać w tym zakresie wkładu polskiej myśli innowacyjnej, co wobec dużej dynamiki zgłoszeń patentowych może budzić wątpliwości dotyczące mechanizmów wdrażania innowacji w naszym kraju.

W Polsce pierwszy w historii wykaz technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności – zgodnie z przepisami Ustawy z dnia 7 października 2020 r. o Funduszu Medycznym (Dz.U. 2020 poz. 1875), Ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. 2020 poz. 1398 z późn. zm.) i Ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2020 poz. 357 z późn. zm.) – opublikowano w „Biuletynie Informacji Publicznej” z 26 lutego 2021 r. Obejmował on 11 technologii lekowych. Kryteria, jakimi kieruje się Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) w określaniu innowacyjności technologii lekowych, obejmują:

- siłę interwencji terapeutycznej,
- jakość dostępnych danych naukowych,
- niezaspokojone potrzeby zdrowotne,
- wielkość populacji docelowej,
- priorytety zdrowotne państwa.

Obecnie na świecie w fazie rozwoju jest niemal 7 tys. innowacyjnych leków, a w nadchodzących latach pojawią się m.in. nowe możliwości terapeutyczne dla chorych na nowotwory (terapia *chimeric antigen receptors T cells*, CAR-T, polegająca na modyfikacji komórek układu odpornościowego w celu ukierunkowania ich na zwalczanie określonych rodzajów nowotworów układu krwiotwórczego), cukrzycę (terapia komórkowa polegająca na wprowadzeniu wydzielających insulinę komórek wysp trzustkowych zdrowego dawcy do organizmu pacjenta), hemofilię (terapia genu polegająca na wprowadzeniu do komórek chorego materiału genetycznego zastępującego nieprawidłowo działające geny), choroby zakaźne (przeciwciała monoklonalne ukierunkowane na bakterie) czy chorobę Alzheimera (leki ukierunkowane na β -amyloid). Główne przeszkody w szybkim i szerokim udostępnieniu terapii innowacyjnych w Polsce obejmują zaległości w implementacji nowych leków, niedokładny proces szacowania efektu zdrowotnego, długi proces refundacji, a przede wszystkim niedofinansowanie systemu [15].

Dlaczego innowacyjne technologie są potrzebne?

Odpowiedź na to pytanie powinna brzmieć następująco: innowacyjne terapie (lekowe i nielekowe) umożliwiają leczenie pacjentów, u których stosowanie dotychczasowych technologii nie przynosiło pożądanego/oczekiwanego wydłużenia przeżycia, w tym przeżycia w zdrowiu, i nie sprzyjało zmniejszeniu częstości niepożądanych zdarzeń, np. sercowo-naczyniowych (zawał serca, udar mózgu, nieplanowe hospitalizacje) oraz poprawy komfortu życia lub też takich terapii do tej pory w ogóle nie było. Posługując się tylko ostatnimi przykładami z dziedziny kardiologii, możemy powołać się na wprowadzenie zabiegów przezcewnikowej implantacji zastawki aortalnej (*transcatheter aortic valve implantation*, TAVI) u starszych pacjentów z degeneracyjnym, ciasnym i objawowym zwężeniem zastawki aortalnej [16-17] oraz wprowadzeniem nowych leków stosowanych u pacjentów z niewydolnością serca z zarówno obniżoną, jak i zachowaną frakcją wyrzucania lewej komory serca [18-19]. Oba nowe rodzaje terapii okazały się niezwykle skuteczne, przy czym także uznano je za bezpieczne.

Wprowadzone w ostatnich latach wysoce skuteczne terapie znajdujemy też w onkologii, należy do nich m.in. leczenie ukierunkowane molekularnie skierowane przeciwko określonej mutacji w guzie czy nowoczesna immunoterapia (*checkpoint inhibitors*, inhibitory punktu kontrolnego).

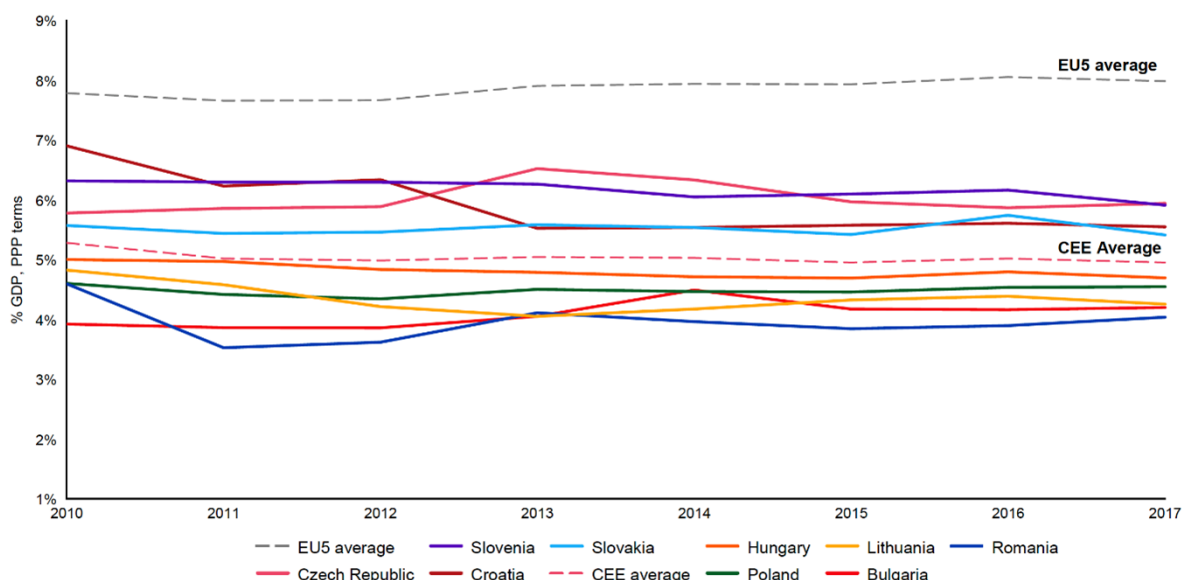
Z uwagi na szybki rozwój medycyny, zwłaszcza onkologii i kardiologii, a tym samym pojawianie się w szybkim tempie nowych technologii, nieuniknione i pilne jest znalezienie mechanizmów poprawiających dostęp do nich przy jednoczesnym zachowaniu racjonalnych kosztów oraz mierzeniu realnego wpływu na poprawę wskaźników przeżywalności. Dlatego jest niezwykle ważne, aby społeczeństwo w jak najszybszym czasie otrzymało dostęp do innowacyjnych technologii w medycynie (zwłaszcza takich, gdzie znane są czynniki predykcyjne, czyli selekcjonujące populacje chorych odnoszące największą korzyść z leczenia) finansowanych w ramach środków publicznych. Temu powinna służyć możliwość ich szybkiego dopuszczenia

do powszechnego stosowania, realne obniżenie ceny, instrumenty dzielenia ryzyka (*risk sharing scheme*), czy udział w badaniach klinicznych. Całość tych mechanizmów niewątpliwie przyczyni się w sposób bezpośredni do zwiększenia dostępności innowacji w medycynie.

Wydatki budżetowe na ochronę zdrowia w Polsce z uwzględnieniem innowacyjnych technologii

Według raportu PriceWaterhouseCooper (PWC) kraje E S-W wydają mniej na ochronę zdrowia w proporcji do PKB w porównaniu do krajów EU5 [4]. Przeciętnie na jednego obywatela kraju E S-W w latach 2000-2017 wydawano na ochronę zdrowia 26 tys. euro mniej niż na osobę mieszkającą w EU5. Jeżeli kraje E S-W wydawałyby ten sam odsetek PKB na ochronę zdrowia co kraje EU5, to wydatki na osobę w E S-W zwiększyłyby się o 65%, co oznacza dodatkowe 644 euro na osobę w 2017 r. Nowsze dane z Polski z 2019 r. nadal nie pokazują znaczącego wzrostu wydatków na ochronę zdrowia (6,5% PKB) i pozostają znacząco niższe w porównaniu do średniej wartości w krajach OECD (8,8% PKB) [11].

Dodatkowo należy stwierdzić, że dużą część budżetu na ochronę zdrowia w Polsce w latach 2020-2021 pochłonęły wydatki związane z pandemią COVID-19. Podobną ocenę sytuacji w krajach E S-W, w tym w Polsce, przynosi wyżej wspomniane opracowanie PWC z 2021 r. [4]. Podkreśla się w nim ponadto, że mimo wzrostu PKB w latach 2010-2017 w krajach E S-W o przeciętnie 1,4% (większego niż w krajach EU5) wydatki na ochronę zdrowia wzrosły nieproporcjonalnie mniej – o 0,5%.



Wykres 1. Publiczne wydatki na zdrowie jako procent dochodu narodowego brutto (PKB) w krajach EU5 i E S-W

Źródło: PWC. *Healthcare outcomes and expenditure in Central and Eastern Europe – a review*. June 2021.

Z drugiej strony z danych polskich wynika, że w 2020 r. na leczenie onkologiczne finansowane ze środków publicznych przeznaczone zostało około 11 mld złotych. Dla porównania w roku 2009 było to niespełna 5 mld złotych. Większą część tej nadwyżki przeznaczono na innowacyjne terapie o znacznie zwiększonej skuteczności, co spowodowało kilkukrotne wydłużenie wskaźników przeżywalności, w tym czasu przeżycia całkowitego, oraz długoletnie remisje choroby. W niektórych sytuacjach klinicznych innowacyjne terapie onkologiczne całkowicie wyparły klasyczną chemioterapię [20].

Drugim ważnym elementem są koszty pośrednie choroby związane z absencją chorobową, skutkującą redukcją dochodów pracowników czy utraconymi składkami systemu zabezpieczenia społecznego. Trwała niezdolność do pracy chorych w wieku produkcyjnym wiąże się z niższym PKB lub koniecznością wypłaty świadczeń rentowych. Zmniejszona na skutek choroby produktywność w pracy (prezenteizm) również prowadzi do zmniejszenia PKB.

Należy zatem sądzić, że zwiększone oraz racjonalne wydatki na ochronę zdrowia będą miały jednoznacznie pozytywny wpływ na wszystkie istotne mierniki zdrowia w Polsce, co z kolei przełoży się na poprawę wskaźników ekonomicznych i wpływów z podatków, a także będzie w dalszej perspektywie generowało oszczędności w systemie ochrony zdrowia. Ta zasada stopniowego, ale dość szybko postępującego zwiększania wydatków jako procenta PKB na ochronę zdrowia w Polsce powinna w szczególności przełożyć się na szybsze i bardziej szerokie wprowadzanie innowacyjnych terapii.

Przejrzyste zasady eksperckiej, merytorycznej, klinicznej i ekonomicznej oceny nowych technologii medycznych oraz ścieżki ich wprowadzania w Polsce

Jak wcześniej napisaliśmy, niezwykle ważne jest, aby społeczeństwo w jak najszybszym czasie otrzymało dostęp do innowacyjnych technologii w medycynie (zwłaszcza takich, w których znane są czynniki predykcyjne, czyli selekcjonujące populacje chorych odnoszące największą korzyść z leczenia) finansowanych w ramach środków finansowych przeznaczonych na publiczną opiekę zdrowotną.

Szybka ścieżka dostępu (*fast track*, FS) do nowych technologii medycznych to proces mający na celu ułatwienie i przyspieszenie oceny oraz analizy leków do praktycznego zastosowania w leczeniu schorzeń bezpośrednio wpływających na wskaźników przeżywalności i zaspokojenia potrzeb medycznych społeczeństw. Celem FS jest jak najszybsze ułatwienie dostępu pacjentów do terapii, które są efektywniejsze niż obecne standardowo stosowane leczenie.

Do schorzeń bezpośrednio wpływających na obniżenie wskaźników przeżywalności należą m.in. choroby układu sercowo-naczyniowego czy choroba nowotworowa, ale także choroba Alzheimera, depresja czy cukrzyca są również uważane za istotne choroby cywilizacyjne zagrażające „bytowi” i rozwojowi społeczeństw.

Każda nowo opracowywana terapia musi oczywiście potwierdzić swoją skuteczność oraz wskazanie ukierunkowane na niezaspokojoną potrzebę medyczną. Cechy nowych terapii powinny obejmować:

- lepszą skuteczność, przy mniejszych lub akceptowalnych efektach ubocznych,
- wpływ na poprawę wskaźników przeżywalności określonej choroby,
- zdolność do zaspokojenia nowo pojawiających się lub przewidywanych potrzeb w zakresie zdrowia publicznego.

Kwalifikacja określonego leku do przyspieszonego zatwierdzenia do refundacji może zostać złożona po spełnieniu określonych i przejrzystych kryteriów. Z wnioskiem o skierowanie leku na szybką ścieżkę występuje firma farmaceutyczna na dowolnym jego etapie badań klinicznych. Wniosek powinien zostać rozpatrzony w ciągu 60 dni na podstawie analizy HTA oraz tego, czy lek spełnia kryteria „przełomowych terapii” i może wejść na ścieżkę warunkowego finansowania z koniecznym w tym przypadku śledzeniem skuteczności i bezpieczeństwa nowej technologii w odpowiednim rejestrze nadzorowanym przez NFZ lub ABM. W szybkie wprowadzanie nowych, przełomowych terapii lekowych może też być zaangażowany Fundusz Medyczny przy Prezydencie RP.

Agencja ds. Żywności i Leków (FDA) [21] opracowała kwalifikacje leków do czterech różnych grup:

- analiza priorytetów dostępu,
- przełomowa terapia,
- przyspieszona akceptacja,
- szybka ścieżka.

Oznaczenie jako priorytet dostępu zobowiązuje FDA do podjęcia działań w sprawie wniosku złożonego przez firmę farmaceutyczną w ciągu 6 miesięcy.

Przełomowa terapia to proces przeglądu leków, które mogą wykazać znaczną poprawę skuteczności w porównaniu do istniejącej i dostępnej terapii.

Celem przyspieszonej akceptacji jest dopuszczenie leku do stosowania w oparciu o tzw. zastępczy punkt końcowy pod warunkiem, że jego wskazanie obejmuje niezaspokojoną potrzebę medyczną.

Szybka ścieżka dostępu (FS) to proces mający na celu przyspieszenie oceny leków (w ciągu 60 dni) do leczenia istotnych chorób obniżających wskaźniki przeżywalności oraz jakość życia. Ich celem jest zaspokojenie dotychczas niezaspokojonych potrzeb medycznych w możliwie jak najkrótszym czasie.

Wydaje się, że podobny system kwalifikacyjny powinien również obowiązywać w stosunku do innowacyjnych technologii nielekowych (sprzętowych). Natomiast w przypadku tych technologii proces zgłaszania do AOTMiT jest inny od obowiązującego dla leków i prawdopodobnie wymaga to zmiany i ujednoczenia. Nie należy też zapominać, jak w przypadku technologii lekowych, o możliwościach wykorzystania Funduszu Medycznego.

Opierając się na przedstawionych danych, za konieczne należy uznać stworzenie podobnego systemu dostosowanego do warunków polskich, który musi być przejrzysty, obiektywny i jednoznaczny w celu wydania oceny terapii, których wskazania obejmują niezaspokojone potrzeby medyczne. Dlatego uważamy, że konieczne jest wzmocnienie roli AOTMiT. Oznacza to nie tylko stabilność dobrego finansowania jej działań, ale też maksymalne uniezależnienie od czynników politycznych.

Zezwolenie na dopuszczenie do obrotu rynkowego oraz refundacja każdego leku jest zwykle ograniczona i specyficzna dla leczenia pacjentów z rozpoznaną chorobą nowotworową lub chorobą sercowo-naczyniową, np. jak ma to miejsce w przypadku inhibitorów PCSK9 w terapii hipercholesterolemii rodzinnej lub u pacjentów po przebytym zawale serca (program Ministerstwa Zdrowia B.101) [22]. Powoduje to pewne ograniczenie dostępności do nowych, innowacyjnych terapii. Ponadto istnieją znaczne różnice w możliwościach stosowania innowacji w zakresie krajów – członków Unii Europejskiej. Jest to jeden z powodów, dlaczego stwierdza się znaczne różnice we wskaźnikach przeżywalności w zakresie całej Unii Europejskiej. Wynikają one w sposób oczywisty z nakładów finansowych przeznaczanych na opiekę zdrowotną w poszczególnych krajach, ale i także z różnych cen leków.

Zatem ważnym elementem w zwiększeniu, a może nawet w wyrównaniu szans społeczeństw krajów UE byłby np. zakup centralny leków onkologicznych lub stosowanych w tzw. chorobach sierocych na poziomie Komisji Europejskiej. Niewątpliwie argument negocjacyjny z koncernami farmaceutycznymi przy tak dużym zakupie leków dla wielu krajów byłby ogromny. Pozwoliłoby to na obniżenie cen leków, a tym samym zwiększenie ich dostępności w krajach mniej zamożnych. Taki zakup już się udał w przypadku szczepionek przeciw SARS-CoV 2.

Innym mechanizmem umożliwiającym dostęp do innowacji w medycynie jest zwiększenie udziału chorych na nowotwory w badaniach klinicznych, który jest różny w różnych krajach Europy (w Polsce jest to wciąż niewielka grupa chorych). Obecnie głównym źródłem badań klinicznych są tzw. badania komercyjne, znacznie rzadziej realizowane są niekomercyjne badania akademickie czy badania inicjowane przez badaczy (*investigator initiated study*), przede wszystkim przez instytucje naukowe.

Kolejnym mechanizmem pomocnym przy zwiększeniu dostępu do technologii innowacyjnych w medycynie są tzw. instrumenty podziału ryzyka, które opierają się na przeniesieniu części ryzyka i kosztów na wnioskodawcę starającego się o ich finansowanie ze środków publicznych [23]. Ich zastosowanie powinno być praktyczne klinicznie i oparte na wzajemnych korzyściach. Należą do nich:

- określenie wielkości przychodu od uzyskiwanych, ale jednocześnie potwierdzonych efektów zdrowotnych,
- zależność pomiędzy urzędową ceną zbytu a zapewnieniem dostaw po obniżonej ustalonej w negocjacjach cenie,
- zależność między wysokością urzędowej ceny zbytu a wielkością obrotu,

- zależność wysokości urzędowej ceny zbytu od zwrotu części uzyskanej refundacji podmiotowi zobowiązanemu do finansowania świadczeń ze środków publicznych po przekroczeniu z góry ustalonej wielkości obrotu,
- ustalenia określonych kryteriów refundacyjnych wpływających na zwiększenie dostępności do świadczeń gwarantowanych.

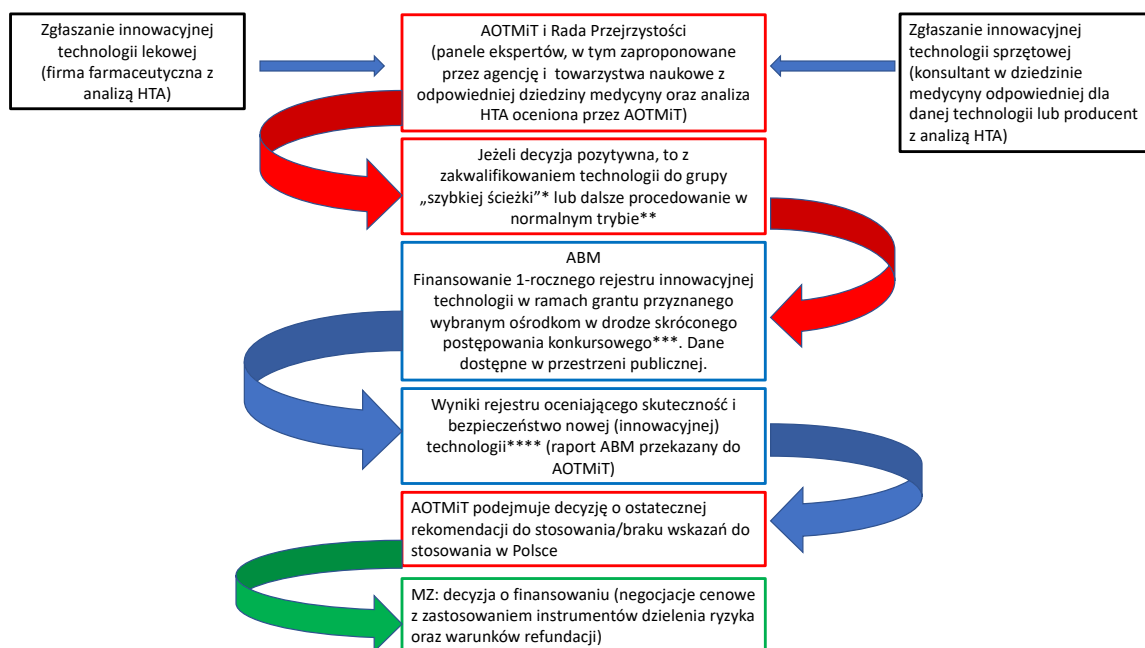
Zatem konieczne staje się zweryfikowanie zastosowania praktycznego ryzyka podziału w odniesieniu do innowacyjnych technologii w medycynie na poziomie negocjacyjnym przed refundacyjnym w oparciu dane efektywności.

Konieczna jest także personalizacja terapii w oparciu o czynnik predykcyjny (zwiększenie dostępności badań molekularnych nowotworów – *molecular finger print*), analizę potencjalnych działań niepożądanych terapii w odniesieniu do schorzeń współistniejących, dostosowanie do lokalizacji i dynamiki zmian chorobowych, stanu ogólnego chorych czy prognozowanego czasu przeżycia. To pozwala na kierowanie innowacyjnych terapii głównie tej do populacji pacjentów, która może odnieść rzeczywistą korzyść z zastosowanych innowacyjnych technologii.

Zintegrowanie systemu wprowadzania innowacji z systemem zdrowia publicznego w Polsce

Na rycinie 1. przedstawiono proponowany przez nas schemat wprowadzania innowacyjnych technologii medycznych (lekowych i nielekowych) w Polsce, który w naszym przekonaniu usprawni proces weryfikacji oraz przyspieszy i zwiększy dostęp do tych innowacyjnych terapii dla pacjentów w naszym kraju. Schemat jest zgodny z obecnie obowiązującymi w Polsce zasadami zgłaszania innowacyjnych terapii.

Rola szpitali mających status Państwowych Instytutów Badawczych oraz szpitali uniwersyteckich (akademickich) i innych jednostek z będących regionalnymi centrami doskonałości jest tu kluczowa. Szpitale te powinny prowadzić ściśle kontrolowane, zlecone przez Ministerstwo Zdrowia i/lub Agencję Badań Medycznych rejestry nowych technologii medycznych, których wyniki pozwoliłyby na podjęcie decyzji o ewentualnym finansowaniu w kraju. Przy czym regionalne centra doskonałości, które powinny być powoływane na podstawie ściśle określonych kryteriów przez ministra zdrowia w porozumieniu z AOTMiT i NFZ, powinny być traktowane na równi (co najmniej ten sam poziom referencyjny) z jednostkami akademickimi, a ich rola nie powinna się ograniczać tylko do działalności usługowo-klinicznej (jako III poziom referencyjny), ale powinna obejmować również działalność badawczo-naukową przy uwzględnieniu ścisłej współpracy z jednostkami akademickimi na zasadzie partnerstwa. Jako centra doskonałości powinny prowadzić w pełnym tego słowa znaczeniu kształcenie podyplomowe w pełnym zakresie.



Rycina 1. Proponowany schemat wprowadzania innowacyjnych technologii medycznych w Polsce
 Źródło: opracowanie własne

objaśnienia skrótów

ABM – Agencja Badań Medycznych

AOTMiT – Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

HTA – *health technology assessment*

MZ – Ministerstwo Zdrowia

oznaczenia dodatkowe

*	**	***	****
ocena w ciągu 30 dni	ocena w ciągu 60 dni	postępowanie powinno być rozstrzygnięte w ciągu 60 dni od daty ogłoszenia konkursu	w szczególności w stosunku do technologii już stosowanych w danej jednostce chorobowej

Podsumowanie

1. W Polsce trwa kryzys zdrowotny, manifestujący się postępującym od roku 2015 brakiem obserwowanego w poprzednich dekadach wydłużenia, a raczej skróceniem czasu życia kobiet i mężczyzn. Ten niekorzystny trend został dodatkowo pogłębiony przez pandemię COVID-19, co spowodowało dalsze narastanie długu zdrowotnego.
2. Głównymi przyczynami zgonów w Polsce są choroby układu krążenia i choroby nowotworowe – stanowią one blisko 70% wszystkich zgonów.
3. Jednym z istotnych elementów odbudowy systemu zdrowia publicznego i niwelowania długu zdrowotnego jest możliwie szeroki i szybki dostęp do innowacyjnych technologii zdrowotnych lekowych i nielekowych, który w Polsce (i pozostałych krajach Europy Środkowo-Wschodniej) jest wyraźnie ograniczony.
4. Innowacyjne terapie (lekowe i nielekowe) umożliwiają leczenie pacjentów, u których stosowanie dotychczasowych technologii nie przynosiło pożądanego/oczekiwanego wydłużenia przeżycia, w tym przeżycia w zdrowiu i nie sprzyjało zmniejszeniu częstości zdarzeń oraz poprawy komfortu życia lub też takich terapii do tej pory w ogóle nie było.
5. W celu zapewnienia większego i szybszego dostępu polskich pacjentów do innowacyjnych technologii medycznych konieczne jest zwiększenie wydatków na ochronę zdrowia w Polsce z przeznaczeniem ich na leki, szczepionki i produkty medyczne terapii zaawansowanych.
6. Należy dążyć do wzmocnienia działających w sektorze ochrony zdrowia publicznych instytucji, takich jak MZ, NFZ, AOTMiT, oraz zaangażowania wiodących ośrodków medycznych w kraju (centra doskonałości) w celu wykorzystywania danych z realnej praktyki (*real world evidence*), w tym stworzenia i prowadzenia ściśle kontrolowanych rejestrów nowych technologii oraz podejmowania decyzji na podstawie analizy tych rejestrów.
7. Powinno zdefiniować się, uwzględniając specyfikę medyczną, prawną i finansową w Polsce, takie pojęcia jak przełomowa terapia, przyspieszona akceptacja oraz szybka ścieżka wprowadzenia/dostępu do nowej technologii medycznej.
8. To wszystko powinno skutkować z jednej strony zintegrowaniem systemu wprowadzania innowacji z systemem zdrowia publicznego w Polsce, z drugiej – szybszą i łatwiejszą dostępnością do innowacyjnych technologii medycznych dla pacjentów.



Rekomendacje strategiczne w ramach projektu Polskie Zdrowie 2.0 zostały zrealizowane przy wsparciu finansowym Związku Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA oraz ze środków Polskiej Akademii Nauk.

Bibliografia

1. Wojtyniak Bogdan i Goryński Paweł [red.]. *Sytuacja zdrowotna ludności Polski i jej uwarunkowania 2020*. Warszawa: Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego – Państwowy Zakład Higieny, 2020. [Online] 07.02.2023. <http://bazawiedzy.pzh.gov.pl/wydawnictwa>
2. Społeczeństwo i polityka społeczna w sytuacji kryzysowej spowodowanej pandemią COVID-19. [monograficzny numer czasopisma]. *Stud Politol.* 2022, t. 65, s. 1-282.
3. GUS. *Sytuacja demograficzna Polski do 2020 r. Zgony i umieralność*. Warszawa: GUS, 2021. [Online] 07.02.2023. <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/ludnosc/ludnosc/sytuacja-demograficzna-polski-do-2020-roku-zgony-i-umieralnosc,40,1.html>
4. PWC. *Healthcare outcomes and expenditure in Central and Eastern Europe – a review*. June 2021. [Online] 07.02.2023. <https://www.efpia.eu/media/602945/pwc-strategy-report-increasing-healthcare-investment-in-cee-countries.pdf>
5. OECD i WHO. *Polska: profil systemu ochrony zdrowia 2021. State of Health in the EU*. [Online] 07.02.2023. <https://www.oecd.org/health/polska-profil-systemu-ochrony-zdrowia-2021-b562ffe2-pl.htm>
6. OECD i Eurostat. *Podręcznik Oslo. Zasady gromadzenia i interpretacji danych dotyczących innowacji*. Wyd. 3. Warszawa: MNIŚzW, 2008. [Online] 07.02.2023. <https://home.agh.edu.pl/~kkulak/lib/exe/fetch.php?media=user:konrad:vary:oslo-manual.pdf>
7. WHO. *Innovation*. [Online] 02.05.2022. <https://www.who.int/topics/innovation/en/>
8. *Medical Devices and Equipment in Poland REPORT 2021*. [Online] 02.05.2022. https://www.trade-old.gov.pl/pl/f/v/610672/PPE_PL_Medical-Devices-and-Equipment-Poland-Report2021.pdf
9. Dzięwit Wojciech. *Polskie startupy 2021*. [Online] 07.02.2023. https://startuppoland.org/wp-content/uploads/2021/11/Raport_Polskie_Startupy_2021.pdf
10. Kornowska Karolina i in. *Top disruptors in healthcare. Przegląd innowacyjnych startupów medycznych w Polsce 2022*. [Online] 07.02.2023. <https://icm.edu.pl/wp-content/uploads/2021/06/Raport-Top-Disruptors-in-Healthcare-2022.pdf>
11. Łyszczarz Błażej, Nojszewska Ewelina i Bukowski Hubert. *Sektor wyrobów medycznych w Polsce. Wielkość, oddziaływanie, znaczenie*. Warszawa: Instytut Innowacji i Odpowiedzialnego Rozwoju, 2022. [Online] 07.02.2023. https://polmed.org.pl/wp-content/uploads/2022/06/Raport_online_FINAL_1.07.22.pdf
12. Swift Robyn. The relationship between health and GDP in OECD countries in the very long run. *Health Econ.* 2011, t. 20, nr 3, s. 306-322.
13. European Medicines Agency. *Annual Report 2017: The European Medicines Agency's contribution to science, medicines and health in 2017*. London: EMA, 2018. [Online] 07.02.2023. http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Annual_report/2018/04/WC500248201.pdf
14. European Medicines Agency. *Medicine evaluation figures*. [Online] 07.02.2023. <https://www.ema.europa.eu/en/about-us/what-we-do/authorisation-medicines/medicine-evaluation-figures>
15. Bukowski Hubert i Gierczyński Jakub. *Przełomowe innowacje farmaceutyczne: doświadczenia, rekomendacje, perspektywy*. Warszawa: Infarma, 2019. [Online] 02.05.2022. https://www.infarma.pl/assets/files/raporty/raport_przelomowe_innowacje_farmaceutyczne.pdf
16. Leon Martin B i in. Transcatheter aortic-valve implantation for aortic stenosis in patients who cannot undergo surgery. *N Engl J Med.* 2010, t. 363, nr 17, s. 1597-1607.
17. Smith Craig R i in. Transcatheter versus surgical aortic-valve replacement in high-risk patients. *N Engl J Med.* 2011, t. 364, nr 23, s. 2187-2198.
18. McMurray John J V i in. Dapagliflozin in patients with heart failure and reduced ejection fraction. *N Engl J Med.* 2019, t. 381, nr 21, s. 1995-2008.
19. Anker Stefan D i in. Empagliflozin in heart failure with a preserved ejection fraction. *N Engl J Med.* 2021, t. 385, nr 16, s. 1451-1461.

20. PMR Healthcare Market Experts. *MZ: Ponad 11 mld zł na onkologię w 2020 r.* 26 lutego 2020. [Online] 07.02.2023. <https://healthcaremarketexperts.com/aktualnosci/mz-ponad-11-mld-zl-na-onkologie-w-2020-r/>
21. FDA. *Fast track, breakthrough therapy, accelerated approval, priority review.* [Online] 07.02.2023. <https://www.fda.gov/patients/learn-about-drug-and-device-approvals/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review>
22. *Leczenie inhibitorami PCSK-9 pacjentów z zaburzeniami lipidowymi (ICD-10 E78.01, I21, I22, I25).* [Online] 07.02.2023. <https://www.gov.pl/attachment/9ad24526-c366-4b32-b4b0-8eb9a62c9d00>
23. Iwańczuk Tymoteusz, Tomaszewska Iwona i Wyszowska Aleksandra. *Analiza instrumentów dzielenia ryzyka proponowanych we wnioskach refundacyjnych dla leków stosowanych w chorobach onkologicznych w ramach programów lekowych, przekazanych do AOTMiT w latach 2012-2018.* Warszawa: AOTMiT, 2019. [Online] 07.02.2023. <https://power.aotm.gov.pl/static/Materialy/13.%20Analiza%20instrumentów%20dzielenia%20ryzyka%20proponowanych%20we%20wnioskach%20refundacyjnych.pdf>