



Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
www.aotmit.gov.pl

Elementarz analizy weryfikacyjnej

WYDZIAŁ OCENY TECHNOLOGII MEDYCZNYCH

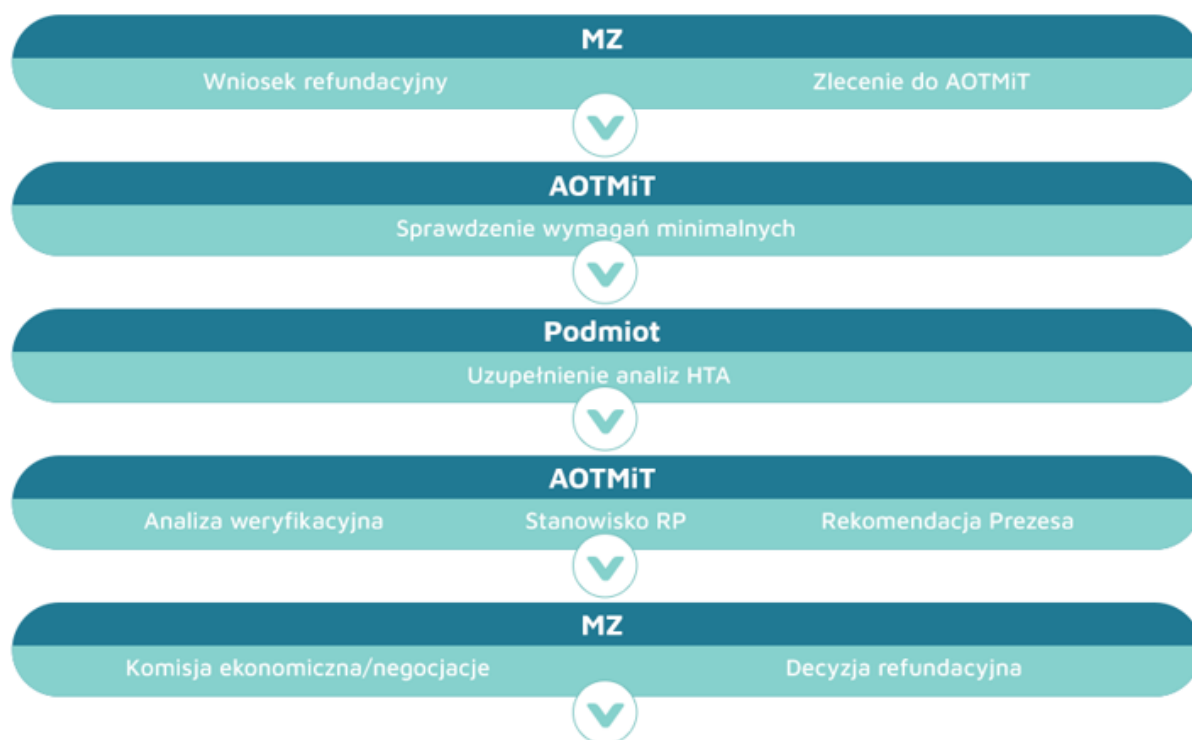
Data ukończenia: 24.10.2024 r.

1. Wprowadzenie

Pierwszym etapem procesu objęcia refundacją danego leku w Polsce jest złożenie tzw. wniosku refundacyjnego do Ministra Zdrowia np. przez firmę farmaceutyczną odpowiedzialną za dany produkt leczniczy. Jeżeli wniosek spełni kryteria formalne (m.in. ma załączone wymagane analizy tj. analizę kliniczną, analizę ekonomiczną, analizę wpływu na budżet), trafia do weryfikacji Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT).

AOTMiT jest jednostką opiniodawczo-doradczą m.in. w zakresie refundacji leków podlegającą Ministrowi Zdrowia (MZ). MZ wydając decyzję, czy dany produkt leczniczy będzie refundowany, bierze pod uwagę rekomendację Prezesa Agencji. Podstawą do wydania tej rekomendacji jest tak zwana analiza weryfikacyjna, a także stanowisko Rady Przejrzystości (RP).

W ramach prowadzonej oceny Agencja weryfikuje dokumentację dołączoną do wniosku refundacyjnego.



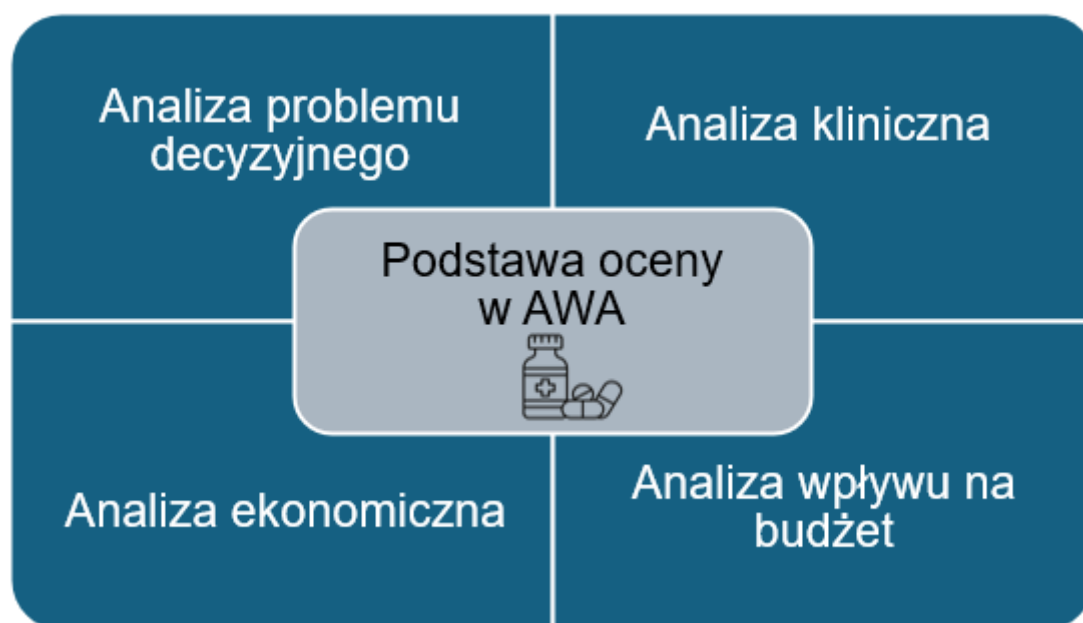
Rysunek 1. Proces oceny leku w zakresie objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu
Schemat pochodzi z: strona internetowa AOTMiT

2. Co to jest AWA?

Analiza weryfikacyjna Agencji to raport, którego celem jest ocena dowodów dla wnioskowanego leku (skuteczności, bezpieczeństwa) i kosztów związanych z jego stosowaniem w porównaniu do obecnie dostępnych terapii przedstawionych w analizach, które firma farmaceutyczna dołączyła do wniosku.

3. Elementy składowe

Analiza weryfikacyjna składa się z analizy problemu decyzyjnego, analizy klinicznej, analizy ekonomicznej i analizy wpływu na budżet NFZ.



Rysunek 2. Elementy składowe analizy weryfikacyjnej AOTMiT

4. Analiza problemu decyzyjnego



Czy odpowiednio zdefiniowano kontekst kliniczny?

Analiza problemu decyzyjnego stanowi **punkt wyjścia dla kolejnych analiz**. Jasno określa kontekst kliniczny, w jakim przeprowadzona zostanie ocena danego leku. Opis kluczowych zagadnień wykonuje się według tzw. schematu **PICOS** uwzględniającego:

- **populację (P)**, czyli pacjentów w określonej sytuacji klinicznej, u których oceniany lek będzie stosowany w przypadku decyzji o refundacji (wskazanie zgodne z wnioskiem refundacyjnym);
- **interwencję (I)**, czyli charakterystykę ocenianego leku;
- **komparator (C)**, czyli wszystkie interwencje (np. leki, zabiegi operacyjne) obecnie stosowane w analizowanej grupie chorych;
- **efekty zdrowotne (O)**, które mają znaczenie w danej jednostce chorobowej;
- **rodzaj badań (S)** włączanych do analizy skuteczności i bezpieczeństwa wnioskowanego leku.

Populacja

Populacja, w której Agencja ocenia wnioskowany lek określona jest we wniosku refundacyjnym. Najczęściej jest to **dokładnie sprecyzowana podgrupa (subpopulacja) pacjentów z rozpoznaniem danej jednostki chorobowej** (np. wyróżnionej ze względu na obecność konkretnej mutacji genowej, niepowodzenie poprzedniej terapii).

W tak wyodrębnionej populacji oceniana jest skuteczność i bezpieczeństwo danego leku.



Rysunek 3. Etapy zawężania populacji od ogólnej do docelowej

Populacja, w której oceniamy zasadność refundacji danego leku, często nie jest tożsama z populacją uwzględnioną w badaniach klinicznych. Warunkiem uczestnictwa

w badaniu jest na ogół spełnienie szczegółowo zdefiniowanych kryteriów tzw. kryteriów włączenia do badania (np. wiek, płeć, pochodzenie etniczne, rodzaj i stadium choroby oraz historia leczenia). Co ważne, **dobór pacjentów w badaniu ma wpływ na reprezentatywność uzyskanych wyników**, tzn. czy wnioski wyciągnięte na podstawie wyników badania można uogólnić dla polskich pacjentów z danym schorzeniem, którzy w przyszłości będą leczeni ocenianym lekiem w warunkach rutynowej praktyki klinicznej.

Przyczyną rozbieżności uzyskiwanych wyników może być np. uczestnictwo w badaniu przeważającej liczby pacjentów z grupy etnicznej cechującej się odmienną zachorowalnością na niektóre schorzenia oraz różnymi efektami farmakoterapii.

Interwencja

Lek będący przedmiotem wniosku refundacyjnego **stanowi interwencję ocenianą w analizach**. Nieodłącznym elementem charakterystyki interwencji oprócz substancji czynnej jest postać leku, dawka oraz schemat stosowania.

Charakterystyka interwencji uwzględnia również jej cenę, kategorię dostępności refundacyjnej (w aptece na receptę, w ramach programu lekowego lub katalogu chemioterapii) i poziom odpłatności.

Znaczenie danej interwencji w ścieżce terapeutycznej określa się na podstawie aktualnych wytycznych klinicznych oraz opinii eksperckich.

Celem pełnej oceny, analizowany jest również status refundacyjny interwencji m.in. w oparciu o rekomendacje refundacyjne wydane w Polsce i w innych krajach.

Komparator

Ocena korzyści klinicznych związanych z wprowadzeniem nowego leku do refundacji dokonywana jest poprzez **porównanie wyników zdrowotnych i kosztów ocenianego leku z terapiami, które są obecnie stosowane w przedmiotowej populacji** (zwłaszcza te finansowane ze środków publicznych w Polsce). Interwencje opcjonalne, których skuteczność, bezpieczeństwo i koszt stanowią punkt odniesienia w ocenie nowej technologii, nazywa się komparatorami. Porównanie ma odpowiedzieć na pytanie, czy oceniana interwencja niesie dodaną wartość terapeutyczną lub ekonomiczną.

Komparatorem może być każda procedura medyczna/technologia medyczna, którą można zastąpić ocenianym lekiem, w tym np. lek, wyrób medyczny, procedura medyczna lub interwencja psychologiczna, radioterapia, fizjoterapia, zabieg chirurgiczny, a także porada (np. w zakresie rzucania palenia) a także naturalny przebieg choroby (brak aktywnego leczenia).

Efekty zdrowotne

Efekty zdrowotne wynikające z zastosowania interwencji będące przedmiotem pomiaru w badaniach klinicznych określane są mianem **punktów końcowych** (określonych zmian stanu zdrowia).

Punkty końcowe możemy podzielić na:

- **klinicznie istotne** – określające skutki zdrowotne ważne dla pacjentów (np. zgon, zawał serca, jakość życia);

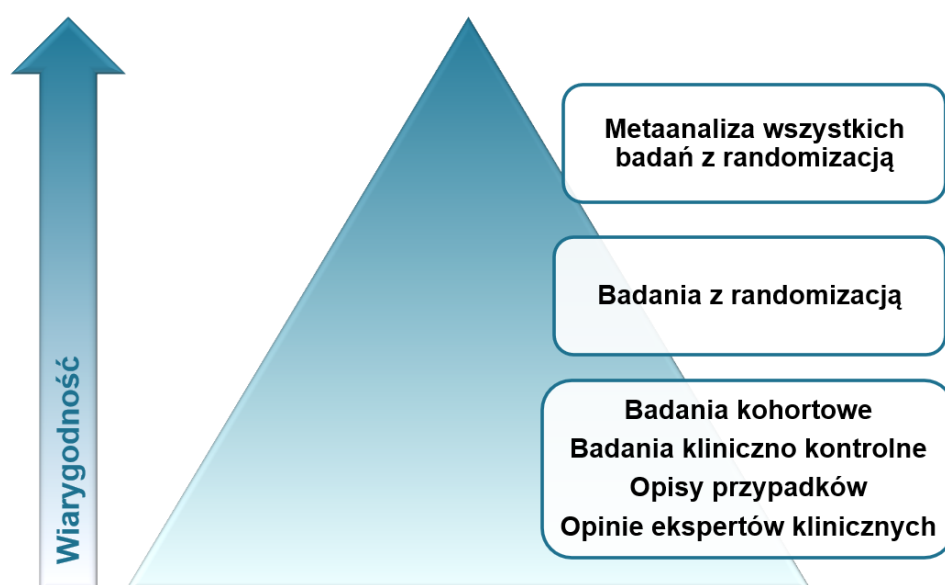
- **zastępcze** (inaczej surogatowe) – parametry laboratoryjne lub fizjologiczne (np. ciśnienie tętnicze, stężenie cholesterolu w osoczu, gęstość mineralna kości), które prawdopodobnie są powiązane z klinicznie istotnymi punktami końcowymi (np. z udarem mózgu, zawałem serca, złamaniami kości).

Rodzaj badań

Podstawą oceny skuteczności i bezpieczeństwa leku są prawidłowo wyselekcjonowane dowody naukowe, których wnioski można odnieść do analizowanej populacji.

W zależności od metodologii, doniesienia naukowe różnią się wiarygodnością i jakością.

Przy wyborze właściwych badań wykorzystuje się **tzw. hierarchię dowodów naukowych**, czyli swoistą skalę wiarygodności informacji naukowych.



Rysunek 4. Hierarchia badań naukowych

Najwyżej w hierarchii dowodów naukowych możemy wyróżnić metaanalizy oraz przeglądy systematyczne. W przeglądach systematycznych analizowane są wyniki badań dotyczących tego samego pytania klinicznego, zagadnienia (podobna badana populacja, interwencja, punkty końcowe). Metaanaliza, czyli ilościowa kumulacja wyników wszystkich badań może stanowić element przeglądu systematycznego.

Niżej w hierarchii danych naukowych znajdują się badania kliniczne z randomizacją oraz próbą kontrolną (tzw. badania RCT).

Randomizacja to losowy przydział pacjentów do grupy badanej oraz grupy kontrolnej. Ma ona celu uzyskanie podobnej charakterystyki początkowej pacjentów w porównywanych grupach. Dzięki temu, różne terapie można porównywać w równorzędnych grupach, co pozwala dostrzegać różnice pomiędzy skutecznością tych terapii.

Porównanie z **grupą kontrolną** dostarcza informacji, czy na pewno na poprawę stanu zdrowia wpłynął oceniany lek a nie doszło do niej np. samoistnie lub pod wpływem innych czynników.

Kolejnym elementem wpływającym na rzetelność badania jest jego „**zaślepienie**”. Oznacza to, że pacjenci nie są informowani o tym, czy przyjmują badany lek czy terapię opcjonalną. Jeśli badacze/lekarze prowadzący badanie także nie wiedzą, jaki rodzaj leczenia otrzymują pacjenci, mówimy wówczas o „badaniu podwójnie zaślepionym”. Ma to zapobiec stronniczości i tworzeniu własnych założeń przez badaczy.

Najniżej w hierarchii znajdują się badania kohortowe, badania kliniczno-kontrolne oraz opisy leczenia pojedynczych pacjentów.

Dopełnienie wyników dostępnych z badań naukowych mogą stanowić opinie ekspertów.



Zwróć uwagę na:

- Oceniane **wskazanie refundacyjne obejmuje najczęściej dokładnie sprecyzowaną podgrupę pacjentów** z rozpoznaniem danej jednostki chorobowej (np. wyróżnionej ze względu na obecność konkretnej mutacji genowej, niepowodzenie uprzedniej terapii etc.).
- Oprócz substancji czynnej, nieodłącznym elementem charakterystyki interwencji jest postać leku, dawka oraz schemat stosowania, w jakich ma być refundowana.
- Interwencje opcjonalne, których skuteczność, bezpieczeństwo i koszt stanowią punkt odniesienia w ocenie np. nowego leku, nazywa się **komparatorami**. Porównanie interwencji z komparatorami ma odpowiedzieć na pytanie, czy oceniany lek niesie dodatkową wartość terapeutyczną lub ekonomiczną.
- Punkty końcowe, czyli **efekty zdrowotne** oceniane w badaniu klinicznym możemy podzielić na: **istotne klinicznie**, czyli takie, które mają istotne znaczenie dla pacjenta i **zastępcze, inaczej surogaty** (np. parametry laboratoryjne).
- Podstawą klinicznej oceny leku są wyniki prawidłowo wyselekcjonowanych, **dowodów naukowych**, których wyniki można odnieść do analizowanej populacji. Doniesienia naukowe różnią się wiarygodnością i jakością.

5. Analiza kliniczna



Czy produkt wniesie dodatkową korzyść zdrowotną?

Celem analizy klinicznej jest przedstawienie dowodów dotyczących **skuteczności i bezpieczeństwa ocenianej interwencji w porównaniu z aktualnie stosowanym leczeniem**.

Dowody włączone do analizy klinicznej **wyszukiwane są w sposób systematyczny** z wykorzystaniem przejrzystej, powtarzalnej strategii. Wyszukiwanie takie przeprowadzane jest w bazach gromadzących publikacje naukowe, np. MEDLINE (Pubmed), EMBASE (Ovid), Cochrane Library, a jego celem jest odnalezienie wszystkich publikacji, które mogą mieć znaczenie w procesie oceny. Efektem wyszukiwania zazwyczaj są setki publikacji, dlatego ważnym etapem jest **selekcja odnalezionych dowodów**. Do kolejnego etapu włączane są tylko te dowody, które są zgodne z ustalonymi kryteriami PICOS. Zarówno proces wyszukiwania, jak i selekcji, muszą zostać odpowiednio udokumentowane, aby cały proces był transparentny i możliwy do odtworzenia.

Odnalezione dowody naukowe poddawane są następnie **ocenę jakościowej**. Pod uwagę bierze się metodykę przeprowadzania poszczególnych badań, ryzyko błędu systematycznego, spójność pomiędzy wynikami poszczególnych badań włączonych do przeglądu oraz możliwość uogólnienia wyników uzyskanych w badaniu na ocenianą populację.

Podsumowując, do analizy klinicznej włączane są tylko starannie wybrane, najbardziej wiarygodne dowody, które dotyczą ocenianego wniosku refundacyjnego.

Ważne jest, aby w analizie weryfikacyjnej przedstawić te wyniki, które mają kluczowe znaczenie w leczeniu danej choroby, a także, aby porównać skuteczność i bezpieczeństwo ocenianej interwencji ze wszystkimi innymi terapiami, które są obecnie refundowane dla pacjentów w Polsce.

Warto podkreślić, że skuteczność i bezpieczeństwo leku oceniono już na etapie rejestracji, ale komparatory w badaniu rejestracyjnym nie muszą odpowiadać komparatorom przyjętym w PICOS dla wniosku refundacyjnego.

Częstą sytuacją jest brak dostępnych badań bezpośrednio porównujących oceniany lek z częścią komparatorów. Wówczas można podjąć próbę porównania pośredniego ocenianych leków wykorzystując dane z różnych badań, w przeciwieństwie do porównania bezpośredniego, wykorzystującego dane z jednego badania.

Zdarza się również, że dostępnych jest kilka randomizowanych badań klinicznych i są one porównywalne pod względem populacji, interwencji i przyjętych punktów końcowych. Wówczas można przeprowadzić **metaanalizę**. W uproszczeniu, metaanalizy raportują jeden „zbiorczy” wynik dotyczący danego punktu końcowego, uzyskany na podstawie kumulacji wyników wielu badań. Rozważenie i przeanalizowanie wszystkich badań łącznie może pozwolić na uzyskanie

wiarygodnej odpowiedzi na postawione pytanie kliniczne, szczególnie w przypadku braku wystarczająco dużych badań lub istnienie badań raportujących sprzeczne wyniki.

W jaki sposób interpretuje się wyniki analizy klinicznej?

Wyniki przedstawiane są tak, aby móc porównać efekty zdrowotne uzyskane za pomocą interwencji i danego komparatora. W zależności od tego, na jakie pytanie mają odpowiedzieć, stosowane są różne parametry.

Skróty, które się często pojawiają w AWA podczas przedstawiania wyników:

- **RR** (relative risk – ryzyko względne); **RD** (risk difference – różnica ryzyka); **OR** (odds ratio – iloraz szans); **HR** (hazard ratio – iloraz hazardów); **MD** (mean difference – różnica średnich); **CI** (confidence interval – przedział ufności); **wartość p** (p value – wartość p).

Poniżej przedstawiono przykład opisu wyników w analizie klinicznej oraz jego interpretację.

Tabela 1. Przykładowe wyniki analizy klinicznej

Punkt końcowy	Lek 1 n (N)	Lek 2 n (N)	RR (95%CI) wartość p	OR (95%CI) wartość p
Liczba pacjentów, u których w trakcie badania wystąpił zawał serca	64 (100)	11 (100)	5,8 (3,27; 10,35) p<0,0001	5,8 (2,89; 11,68) p<0,0001
Liczba pacjentów, u których w trakcie badania wystąpiło zapalenie płuc	29 (100)	22 (100)	1,31 (0,81; 2,13) p=0,259	1,31 (0,71; 2,45) p=0,382

Zawał serca wystąpił u 64 pacjentów (na 100 włączonych) z grupy otrzymującej lek 1 oraz u 11 pacjentów (na 100 włączonych) z grupy otrzymującej lek 2. Oszacowany współczynnik RR wyniósł 5,8, co oznacza, że ryzyko wystąpienia zawału serca jest blisko 6-krotnie wyższe w grupie otrzymującej lek 1, niż w grupie otrzymującej lek 2. Przedział ufności wskazuje, że różnica w wynikach dla obu grup była istotna statystycznie.

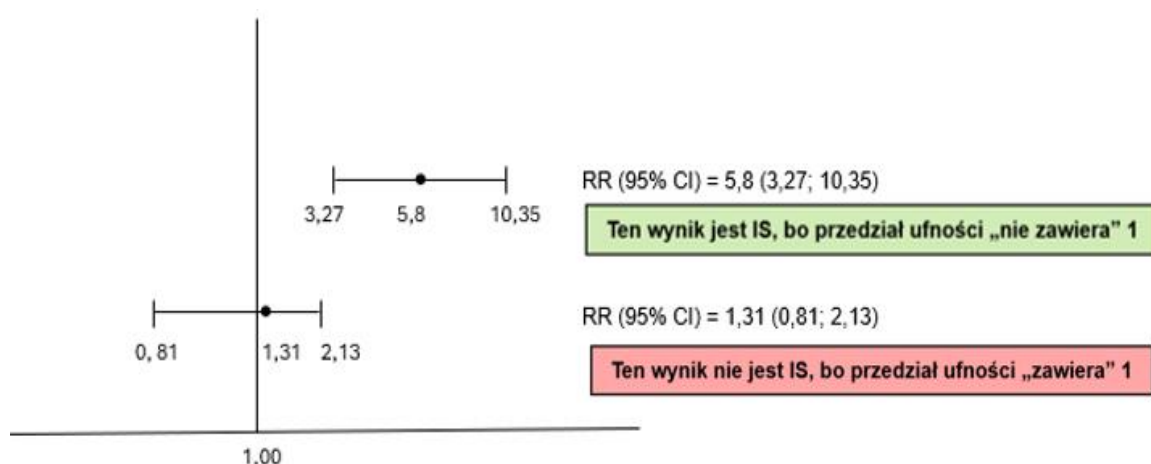
Zapalenie płuc wystąpiło u 29 pacjentów (na 100 włączonych) z grupy otrzymującej lek 1 oraz u 22 pacjentów (na 100 włączonych) z grupy otrzymującej lek 2. Oszacowany współczynnik RR wskazuje na zbliżone ryzyko wystąpienia zapalenia płuc w obu grupach, a przedział ufności, że różnice w wynikach nie są istotne statystycznie.

Kiedy lek 1 jest istotnie statystycznie lepszy niż lek 2?

Wynik porównania obu grup jest istotny statystycznie (IS), gdy oznaczony przedział ufności dla:

- RR, OR, RD i HR – **nie zawiera** wartości „1”
- MD – **nie zawiera** wartości: „0”

Dodatkowo wynik jest istotny statystycznie, gdy **wartość $p < 0,05$** .



Rysunek 5. Interpretacja przedziału ufności

Istotność statystyczna a istotność kliniczna

Istotność kliniczna to subiektywna ocena zdolności wyniku do potwierdzenia prawidłowości postępowania medycznego. Od metod statystycznych odróżnia ją to, że zamiast opierać się na ocenie zmiany na podstawie arbitralnie ustalonych wskaźników, uwzględnia funkcjonowanie pacjentów w kontekście społecznym oraz praktyczne znaczenie zmiany jako efektu interwencji.

- Wynik może być istotny statystycznie, ale nieistotny klinicznie, gdy obserwowana różnica jest niewielka pod względem wpływu na zdrowie pacjenta.
- Wynik może być nieistotny statystycznie, ale istotny klinicznie, gdy potwierdza brak różnic między opcjonalnymi interwencjami.



Zwróć uwagę na:

- Oceniany lek powinien być porównany **ze wszystkimi** refundowanymi komparatorami.
- Nawet jeśli różnica w wynikach jest istotna statystycznie, może być **nieistotna klinicznie**, czyli nie mieć realnego wpływu na przebieg choroby.
- Mogą istnieć **inne ważne aspekty** leczenia, które nie zostały ocenione w analizie klinicznej, a które mają znaczenie dla pacjenta (np. częstość podawania leku, łatwość jego stosowania).

6. Analiza ekonomiczna



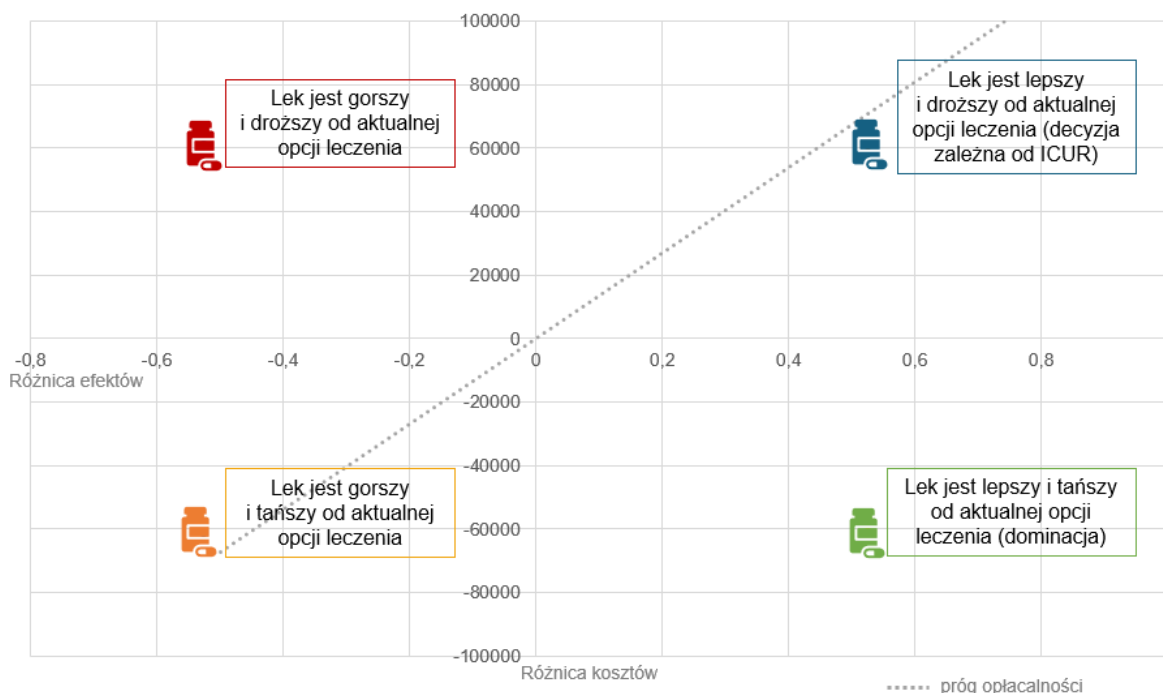
Czy zyskamy na objęciu refundacją ocenianego leku?

Analiza ekonomiczna ma za zadanie odpowiedzieć na pytanie, czy objęcie refundacją danego leku pozwoli uzyskać lepsze czy gorsze efekty zdrowotne w całym systemie przy ustalonych wydatkach. Inaczej mówiąc, **czy „opłaca” się zainwestować publiczne środki w oceniany lek.**

ICUR (ang. Incremental Cost Utility Ratio) jest stosunkiem kosztów do efektów – wartość poniżej progu opłacalności oznacza, że zyskamy efekty zdrowotne po objęciu refundacją leku, a powyżej, że je utracimy. **Próg opłacalności** to wartość, po której obecnie uzyskujemy czy kupujemy efekty zdrowotne (w uproszczeniu przyjęto, że wynosi trzykrotność PKB na osobę w Polsce). Można powiedzieć, że lek z ICUR poniżej progu opłacalności oferuje niższą niż dotychczasowa cenę za efekty zdrowotne.

Efekty zdrowotne wyrażane są najczęściej jako lata życia w pełnym zdrowiu, które oprócz długości życia biorą pod uwagę użyteczność danego stanu zdrowia. Wyższa użyteczność może oznaczać brak bólu albo lepszą samoopiekę pacjenta. Użyteczność 1 oznacza najlepszy wyobrażalny stan zdrowia, a 0 to śmierć. Lata życia pomnożone przez użyteczność dają liczbę lat życia w pełnym zdrowiu (ang. Quality-Adjusted Life Years, **QALY**).

Obliczamy różnicę w kosztach między ocenianym lekiem i komparatorem oraz analogiczną różnicę w QALY. Podzielenie różnicy w kosztach (inkrementalny koszt) przez różnicę w QALY (inkrementalny efekt) pozwala obliczyć ICUR. Z uwagi na wykorzystanie użyteczności mówimy o użyteczności kosztowej leku lub jej braku.



Rysunek 6. Płaszczyzna użyteczności kosztów

Wpływ wszystkich parametrów użytych do obliczeń należy przetestować w ramach **analizy wrażliwości**, tj. zmieniać wartości tych parametrów i obserwować zmianę wyników. Możliwe są sytuacje, w których lek jest użyteczny kosztowo w analizie podstawowej, ale wynik jest bardzo wrażliwy na zmianę parametrów – wyniki analizy nie są stabilne.



Zwróć uwagę na:

- Poddany ocenie **lek jest „opłacalny”**, jeśli:
 - jest lepszy i tańszy od aktualnych opcji leczenia (dominacja),
 - jest lepszy i droższy a koszt uzyskania dodatkowego QALY przy jej zastosowaniu zamiast aktualnej opcji leczenia nie przekracza progu opłacalności (3 x PKB per capita),
 - jest równie dobry jak aktualna opcja leczenia i tańszy.
- **„Opłacalność” leku nie oznacza oszczędności** – wpływ na budżet NFZ bada analiza wpływu na budżet. Najczęściej objęcie refundacją leku użytecznego kosztowo oznacza wzrost wydatków NFZ.
- Celem analizy ekonomicznej jest **optymalna alokacja środków publicznych**, nie poszukiwanie oszczędności czy ograniczanie dostępu do leków.

7. Analiza wpływu na budżet



Czy płatnika (NFZ) na to stać?

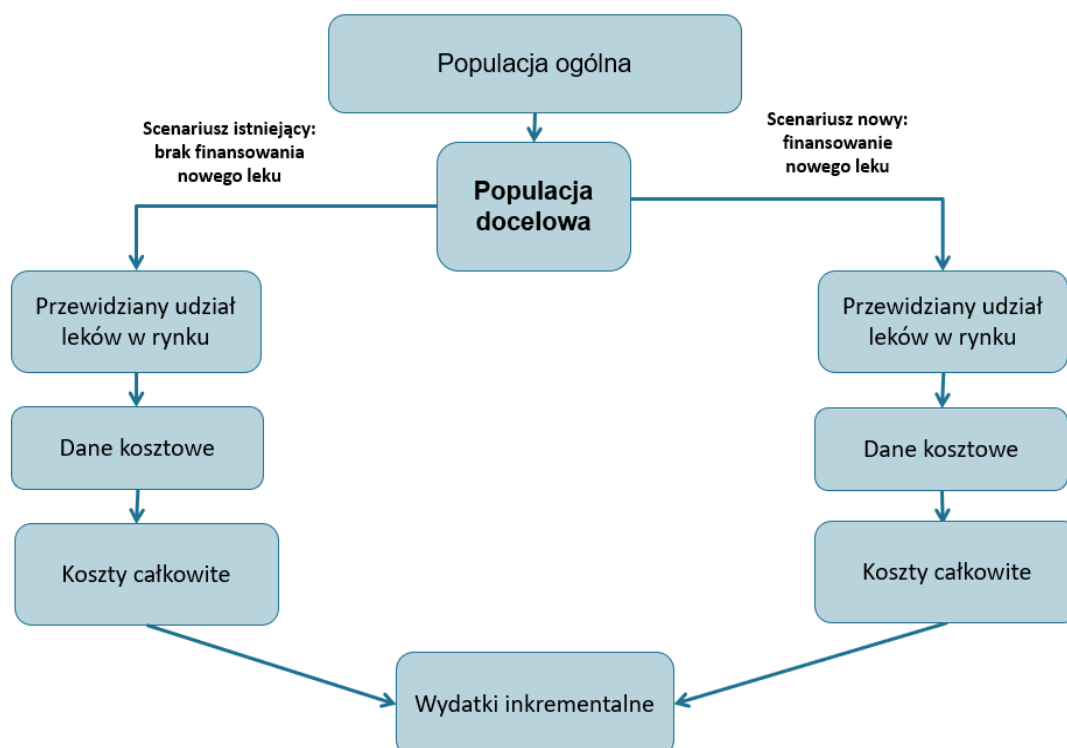
Analiza wpływu na budżet pozwala oszacować, ile **kosztowałoby zrefundowanie danego leku we wnioskowanej populacji**. Wynikiem jest wysokość oszczędności lub dodatkowych wydatków, które byłyby poniesione w przypadku zrefundowania ocenianej interwencji.

Analizę standardowo przeprowadza się z perspektywy NFZ, można też uwzględnić wydatki pacjentów, wówczas mówimy o perspektywie wspólnej. Oceniana jest różnica pomiędzy scenariuszem istniejącym a scenariuszem nowym, a wynikiem analizy jest **koszt inkrementalny** w danym horyzoncie czasowym analizy (co najmniej 2 lata).

Scenariusz istniejący to aktualne wydatki w populacji docelowej, a **scenariusz nowy** to scenariusz przewidywany po wprowadzeniu nowej technologii w populacji docelowej.



Rysunek 7. Oszacowanie wydatków inkrementalnych – schemat



Rysunek 8. Analiza wpływu na budżet – schemat



Zwróć uwagę na:

- Sfinansowanie leku „opłacalnego” według analizy ekonomicznej może przekraczać możliwości płatnika (NFZ).
- Pomimo, stosunkowo niskich wydatków w ocenianym horyzoncie czasowym, mogą one rosnąć w późniejszym czasie, szczególnie w przypadku, gdy choroba ma charakter przewlekły.
- Kluczowym elementem wpływającym na wyniki analizy wpływu na budżet jest **liczebność populacji**.
- Każdy **wynik analizy wpływu na budżet wiąże się z niepewnością**, dlatego ważna jest **analiza wrażliwości**:
 - oceniany jest rozrzut wyników – analiza wrażliwości może prowadzić do niższych bądź wyższych wydatków niż wyznaczone w wariancie podstawowym analizy;
 - wysoka niepewność ogranicza wiarygodne określenie oraz zaplanowanie budżetu NFZ;
 - im dłuższy horyzont czasowy tym większa niepewność.

8. Możliwość zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej

Do opublikowanych analiz weryfikacyjnych można zgłaszać uwagi w terminie 7 dni od daty ich publikacji. Osoby, które zgłaszają uwagi mają obowiązek przedstawić je na formularzu, którego integralną częścią jest wypełnienie Deklaracji o Powiązaniach Branżowych (DPB). Zgłoszone uwagi są rozpatrywane przez AOTMiT i zamieszczane w Biuletynie Informacji Publicznej razem z wypełnioną DPB.

Odpowiednie dokumenty znajdują się w ww. Biuletynie Informacji Publicznej AOTMiT: <https://bip.aotm.gov.pl/uwagi-do-analiz>

9. Dodatkowe źródła informacji

W ramach uzyskania dodatkowych, szczegółowych informacji na temat poszczególnych części analizy weryfikacyjnej oraz innych dokumentów Agencji warto zajrzeć na główną stronę instytucji oraz do Biuletynu Informacji Publicznej. Poniżej znajdują się odpowiednie linki:

- Ogólne informacje dot. wniosków refundacyjnych: <https://www.aotm.gov.pl/produkty-lecznicze/wnioski-refundacyjne/>
- Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA): <https://www.aotm.gov.pl/wytyczne-oceny-technologii-medycznych/wytyczne-oceny-produktow-leczniczych/>
- BIP AOTMiT (dostęp do wszystkich analiz Agencji, stanowisk Rady Przejrzystości i rekomendacji Prezesa Agencji): <https://bip.aotm.gov.pl/>
- Filmy edukacyjne AOTMiT, w tym filmy dotyczące refundacji leków, w ramach projektu POWER: <https://power.aotm.gov.pl/filmyedu.php>
- Materiały edukacyjne AOTMiT, w ramach projektu POWER: <https://power.aotm.gov.pl/matedu.php>

10. Wykaz wybranych skrótów

AE	analiza ekonomiczna – jedna z analiz załączanych do wniosku refundacyjnego
AKL	analiza kliniczna – jedna z analiz załączanych do wniosku refundacyjnego
AOTMiT	Agencja Oceny technologii Medycznych i Taryfikacji – jednostka opiniotawczo-doradcza nadzorowana przez Ministra Zdrowia
APD	analiza problemu decyzyjnego – jedna z analiz załączanych do wniosku refundacyjnego
AWA	analiza weryfikacyjna Agencji – raport podsumowujący ocenę analiz dołączonych do wniosku refundacyjnego
AWB	analiza wpływu na budżet – jedna z analiz załączanych do wniosku refundacyjnego
CI	przedział ufności (ang. confidence interval)
DPB	Deklaracja Powiązań Branżowych – dokument badający ewentualny konflikt interesów osób opiniujących dane zawarte w analizie weryfikacyjnej Agencji
HR	iloraz hazardów (ang. hazard ratio) – parametr do oceny wyników w analizie klinicznej
HTA	ocena technologii medycznych (ang. health technology assesment) – podsumowanie informacji dotyczących medycznych, społecznych oraz ekonomicznych i etycznych aspektów stosowania danej technologii medycznej
ICUR	inkrementalny współczynnik kosztów użyteczności (ang. incremental cost utility ratio) – wynik analizy ekonomicznej mówiący, jaki jest koszt dodatkowego roku w pełnym zdrowiu w przypadku zastąpienia dotychczasowego leczenia wnioskowanym
IS	istotność statystyczna – różnica w wynikach określona z wykorzystaniem metod statystycznych
MD	różnica średnich (ang. mean difference) – parametr do oceny wyników w analizie klinicznej
MZ	Ministerstwo Zdrowia – urząd odpowiedzialny za politykę lekową, m.in. w zakresie refundacji leków, wyrobów medycznych i środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia – jednostka nadzorowana przez Ministra Zdrowia zajmująca się m.in. rozliczaniem kosztów leczenia
OR	iloraz szans (ang. odds ratio) – parametr do oceny wyników w analizie klinicznej
PKB	produkt krajowy brutto
QALY	lata życia skorygowane o jakość (ang. quality adjusted life years) – uniwersalny współczynnik do pomiaru efektów zdrowotnych pozwalający porównywać ze sobą różne choroby
RCT	badanie kliniczne z randomizacją (ang. randomized clinical trial) – jeden z rodzajów badań klinicznych
RD	różnica ryzyka (ang. risk difference) – parametr do oceny wyników w analizie klinicznej
RP	Rada Przejrzystości – zespół ekspertów powoływany przez Ministra Zdrowia opiniujący m.in. zasadność refundacji leków
RR	ryzyko względne (ang. relative risk) – parametr do oceny wyników w analizie klinicznej
URPL	Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych