

## ONCOINDEX - metodologia, wrzesień 2021

### ZAŁOŻENIA:

1. Oncoindex (OI) jest badaniem mającym na celu ocenę zakresu refundacji leków onkologicznych zarejestrowanych w EMA (*European Medicines Agency*) w ciągu ostatnich 15 lat i zalecanych przez ESMO (*Europejskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej*).
2. Wynik OI może przyjąć wartość w zakresie od 0 do 100. Uzyskanie wartości zero oznacza, że pacjenci nie mają dostępu do żadnego z rekomendowanych leków. Natomiast uzyskanie wartości 100 odpowiada sytuacji, w której każdy pacjent może być leczony zgodnie z aktualną wiedzą medyczną.
3. Ocenie poddawane są obszary terapeutyczne – guzy lite i choroby hematoonkologiczne – będące najczęstszymi przyczynami zgonów pacjentów onkologicznych w Europie.
4. Procedura wyznaczania wartości OI składa się z następujących etapów:
  - a. Wybór obszarów terapeutycznych (WOT).
  - b. Wybór cząsteczek zarejestrowanych w EMA dla wybranych obszarów terapeutycznych (WEMA).
  - c. Wybór rekomendacji ESMO dotyczących wybranych obszarów terapeutycznych (WESMO), a w konsekwencji listy cząsteczek rekomendowanych.
  - d. Ocena zakresu refundacji w analizowanym kraju cząsteczek uzyskanych w trakcie wcześniejszych etapów procedury (OREF).
  - e. Wyznaczenie wyniku suboncoindexów (SOI) dla poszczególnych typów nowotworów oraz OI (WOI) w analizowanym kraju.

Szczegółowy opis etapów przedstawiony jest w kolejnych podrozdziałach. Etapy WEMA i WESMO realizowane są równolegle.

5. Częstotliwość obliczania wartości OI dla poszczególnych krajów przedstawiony został w Tabeli A.
6. Źródła danych wyszczególnione zostały w Tabeli B. Przedstawione zostały również ich charakterystyki dotyczące: wykorzystania w etapie analizy, częstotliwości aktualizacji oraz wartości maksymalnego oddalenia czasowego od daty wyznaczenia wartości OI.

### **OBSZARY TERAPEUTYCZNE/ŹRÓDŁA DANYCH - Wybór obszarów terapeutycznych (etap WOT):**

1. Analizie podlega maksymalnie: 10 guzów litych i 10 chorób hematoonkologicznych, które powodują największą liczbę zgonów z powodu chorób nowotworowych w Europie.

2. Dane na temat liczby zgonów, a tym samym wybór obszarów terapeutycznych, następuje na podstawie raportów publikowanych przez GHDx (<http://ghdx.healthdata.org/gbd-results-tool>). Obliczenia Oncoindexu jest prowadzone w kategoriach obszarów terapeutycznych zgodnych z tymi określonymi przez GHDx.
3. W ramach analizy pomija się kategorie zbiorcze obszarów terapeutycznych zdefiniowane w GHDx, gdyż stanowią one jedynie dopełnienie zbioru wskazań nie uwzględnionych w innych obszarach terapeutycznych, obejmując bardzo dużą liczbę różnych wskazań o małym udziale każdego z nich w łącznej liczbie zgonów z powodu chorób nowotworowych.
4. Obszary terapeutyczne przedstawione przez GHDx można łączyć w jeden obszar poddawany obliczeniom OI w przypadku, gdy odnalezione rekomendacje ESMO (na etapie WESMO) dotyczą takiego połączonego obszaru terapeutycznego.
5. Dane aktualizowane są raz w roku. Aktualizacja następuje przy realizacji pierwszego wyliczenia OI w danym roku.
6. Procedura aktualizacji obejmuje:
  - a. Pobranie danych dotyczących liczby zgonów z powodu choroby nowotworowej w Europie, ze źródła przedstawionego w punkcie 2.
  - b. Ustalenie na podstawie powyższych danych listy 10 grup terapeutycznych nowotworów guzów litych oraz listy 10 grup terapeutycznych nowotworów hematologicznych.

### **EMA - WYBÓR CZĄSTECZEK (etap WEMA):**

1. Wybór cząsteczek zarejestrowanych w EMA wymaga by spełnione były łącznie następujące warunki:
  - a. Analizowane cząsteczki posiadały kod ATC zaczynający się na literę „L” (Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące) i mające wskazanie w leczeniu nowotworów.
  - b. Analizowane cząsteczki były zarejestrowane w EMA oraz ich pierwsza rejestracja dla danego analizowanego obszaru terapeutycznego OI (wyznaczonego kategoriami terapeutycznymi danych GHDx dotyczących zgonów z powodu nowotworu) miała miejsce w ciągu ostatnich 15 lat. Dane aktualizowane są raz w roku. Aktualizacja następuje przy realizacji pierwszego wyliczenia OI w danym roku (n) wg stanu na dzień 1 stycznia tego roku (n-15).
  - c. Aktualizacja wyboru cząsteczek była wykonana zgodnie z ograniczeniami czasowymi przedstawionymi w Tabeli B.
2. Uzyskana lista cząsteczek musi uwzględniać zgromadzenie danych o nazwach ich substancji czynnej, informacji o zarejestrowanych wskazaniach OI (lub ich braku) wraz z datami ich pierwszej rejestracji EMA, statusie rekomendacji EMA, informacji o tym czy cząsteczka dotyczy terapii sierocej, czy jest lekiem biopodobnym, wartości kodu ATC

oraz adresach URL do Charakterystyki Produktu Leczniczego - CHPL (wszystkie dane w następujących wersjach językowych: angielskiej oraz wersji językowej kraju, dla którego przygotowana jest analiza OI).

### **ESMO - WYBÓR REKOMENDACJI I CZĄSTECZEK (etap WESMO):**

1. Wybór rekomendacji opublikowanych przez ESMO wymaga by spełnione były łącznie następujące warunki:
  - a. Analizowane wytyczne kliniczne ESMO dotyczyły wybranych obszarów terapeutycznych uzyskanych w ramach WOT.
  - b. Analizowane wytyczne kliniczne ESMO dotyczyły populacji Europejskiej.
  - c. Aktualizacja wytycznych ESMO była wykonana zgodnie z ograniczeniami czasowymi przedstawionymi w Tabeli B.
2. Wybór cząsteczek rekomendowanych przez ESMO wymaga by:
  - a. Analizowana lista cząsteczek uzyskana była na podstawie wytycznych uzyskanych w kroku wyboru rekomendacji opublikowanych przez ESMO.
  - b. Lista rekomendacji uwzględnionych w analizie obejmowała te, które uzyskały ocenę siły rekomendacji (GOR) na poziomie A, B lub C (oceny od silnej rekomendacji, poprzez generalną rekomendację do opcjonalnej).
  - a. Każdorazowa aktualizacja wyboru rekomendacji, wymaga również odpowiedniej aktualizacji wyboru cząsteczek rekomendowanych przez ESMO.

### **OCENA ZAKRESU REFUNDACJI W KRAJU (etap OREF):**

1. Ocena zakresu refundacji w kraju wymaga:
  - a. Zgromadzenia odpowiednich danych dotyczących refundacji leków wykorzystywanych w leczeniu wybranych obszarów terapeutycznych wyznaczonych w ramach pierwszego etapu analizy (WOT).
  - b. Analizy dostępnych danych w zakresie przypisania kryteriów włączenia i wykluczenia dla poszczególnych obszarów terapeutycznych i cząsteczek uzyskanych w etapach WEMA i WESMO, pozwalających na ocenę zgodności tych kryteriów z odpowiadającymi im rekomendacjami opublikowanymi w wytycznych klinicznych ESMO.
  - c. Czas aktualizacji danych dla zakresu refundacji musi gwarantować jego aktualność na przewidywaną datę publikacji wyników OI, w szczególności muszą być spełnione ograniczenia czasowe przedstawione w Tabeli B.
2. Uzyskany uporządkowany zbiór danych powinien pozwolić na przeprowadzenie etapu wyliczenia wartości OI.

## WYLICZENIE ONCOINDEXU - WYZNACZENIE WYNIKU OI (etap WOI):

1. Wyliczenie wartości OI następuje w następujących krokach:
  - a. Określamy czy lek, zarejestrowany w danym wskazaniu przez EMA, jest refundowany w tym wskazaniu zgodnie z wytycznymi publikowanymi przez ESMO:
    - i. **Refundacja bez ograniczeń** - leczenie danym lekiem w danym wskazaniu może być finansowane ze środków publicznych dla wszystkich pacjentów w pełni zgodnie z wytycznymi ESMO - bez żadnych ograniczeń - przyznajemy 1 punkt.
    - ii. **Refundacja z ograniczeniami** - leczenie danym lekiem w danym wskazaniu może być finansowane ze środków publicznych jednak istnieją ograniczenia populacyjne, terytorialne, proceduralne, formalne lub czasowe związane z rozpoczęciem lub kontynuacją takiej terapii - przyznajemy 0,5 punktu.
    - iii. **Brak refundacji** - leczenie danym lekiem w danym wskazaniu nie może być finansowane ze środków publicznych lub finansowanie takie obejmuje marginalnie wąską grupę pacjentów spośród tych, którzy kwalifikują się do takiego leczenia zgodnie z wytycznymi ESMO lub finansowanie takie nie opiera się o jednolite i przejrzyste kryteria włączenia - przyznajemy 0 punktów.
  - b. Dla każdego rodzaju choroby sumujemy punkty wynikające z zapewnienia dostępu do leków i dzielimy je przez maksymalną liczbę punktów do uzyskania, (np. w raku „x” jest to 6/18). Wynik mnożymy razy 100 ( $6/18 \times 100 = 33,33$ ). W ten sposób powstaje SOI dla danego obszaru terapeutycznego.
  - c. Po wyliczeniu SOI dla wszystkich obszarów terapeutycznych wyliczamy główny OI, który stanowi średnią ważoną SOI, gdzie wagami jest liczba zgonów w poszczególnych obszarach terapeutycznych dla analizowanego kraju na podstawie raportów publikowanych przez GHDx. W ten sposób powstaje wartość OI, który jest widoczny na portalu.
2. Na portalu publikujemy wartości:
  - a. OI głównego,
  - b. SOI dla poszczególnych obszarów terapeutycznych,
  - c. Pozostałe dane

Tabela A

<b>Kraj</b>	<b>Instytucja odpowiadająca za refundację leków ze środków publicznych</b>	<b>Częstotliwość aktualizacji warunków refundacyjnych</b>	<b>Częstotliwość wyznaczania wartości Oncoindeksu</b>
<b>Polska</b>	<i>Ministerstwo Zdrowia RP</i>	<i>Co 2 miesiące od 1 stycznia 2021</i>	<i>Co 4 miesiące od 1 stycznia 2021</i>
<i>Hiszpania</i>	<i>Ministerstwo Zdrowia i Spraw Konsumenckich Hiszpanii</i>		<i>Co 4 miesiące od 1 września 2021</i>

Tabela B

<b>Lp.</b>	<b>Nazwa</b>	<b>Uwagi</b>	<b>Źródło - nazwa Instytucji</b>	<b>Etap</b>	<b>Maksymalne Oddalenie od daty przewidywanej publikacji OI</b>
<b>1</b>	<i>Dane o liczbie zgonów z powodu chorób nowotworowych</i>	<i>Oceniane wraz z obliczeniami pierwszego OI w danym roku kalendarzowym</i>	GDHx	WOT	<i>aktualizowane 1 listopada roku poprzedzającego, raz zaktualizowane wykorzystywane przez cały kolejny rok kalendarzowy (tj. aktualizacja 1 listopada 2019 wykorzystywana przez cały rok 2020)</i>
<b>2</b>	<i>Dane o zarejestrowanych w EMA cząsteczkach których kod ATC zaczyna się od litery „L”</i>		EMA	WEMA	12 m-cy
<b>3</b>	<i>Dane o opublikowanych w ESMO rekomendacjach Europejskich dla wybranych obszarów terapeutycznych</i>		ESMO	WESMO	1 miesiąc
<b>4</b>	<i>Dane refundacyjne dla analizowanego kraju</i>		Tabela A	OREF	<i>0 dni (aktualne na dzień przewidywanej publikacji OI)</i>