

WYTYCZNE DO PROGRAMÓW PILOTAŻOWYCH – PRZYGOTOWANIE I EWALUACJA

WYTYCZNE AGENCJI OCENY TECHNOLOGII MEDYCZNYCH I TARYFIKACJI

Warszawa, 28 listopada 2023

Spis treści

1. Wstęp	5
1.1. Definicja pojęcia pilotażu	5
1.2. Program pilotażowy vs naukowe badania eksperymentalne vs rutynowa praktyka	5
1.3. Program pilotażowy – kiedy należy przeprowadzić?.....	6
1.4. Korzyści i potencjalne ryzyka programu pilotażowego z punktu widzenia systemu ochrony zdrowia	7
2. Cel programów pilotażowych i ich projektowanie.....	9
3. Schemat przebiegu procesu.....	10
4. Protokół programu pilotażowego	11
4.1. Zakres protokołu uwzględniający planowanie, monitorowanie, ewaluację	11
4.2. Analiza problemu zdrowotnego i decyzyjnego	12
4.2.1. Epidemiologia i patofizjologia	12
4.2.2. Aktualny schemat postępowania	12
4.2.4. Opis planowanej interwencji	12
4.3. Cel pilotażu	15
4.3.1. Cel główny	15
4.3.2. Cele szczegółowe.....	16
4.4. Model badawczy	16
4.4.1. Opis proponowanej interwencji	16
4.4.2. Czas trwania	16
4.4.3. Grupa badana.....	17
4.4.4. Grupa kontrolna	17
4.5. Gromadzenie i analiza danych	18
4.6. Monitorowanie przebiegu programu pilotażowego	19
4.7. Interesariusze	20
4.8. Lista działań i logistyka	22
4.9. Harmonogram.....	22
4.10. Opis zespołu przeprowadzającego pilotaż	23
4.11. Budżet i inne zasoby	23
4.12. Szkolenia i komunikacja	24
4.13. Zarządzanie ryzykiem i warianty działania.....	25
4.14. Otoczenie prawne i kwestie etyczne.....	25
4.15. Wymagana dokumentacja	26
5. Wynik badania pilotażowego i kryteria sukcesu	26
5.1. Ocena wyników pilotażu	26

5.1.1.	Definiowanie wskaźników	26
5.1.2.	Oczekiwana wartość progowa o podjęciu decyzji powszechnego wdrożenia technologii.....	29
5.1.3.	Analiza różnic pomiędzy planowanymi i osiągniętymi celami	30
5.2.	Ewaluacja	30
5.2.1.	Podmiot oceniający	31
5.3.	Raport.....	31
5.4.	Kryteria decyzji o wdrożeniu pilotażu	32
6.	Przepisy prawne.....	33
7.	Piśmiennictwo	35

Autorzy

Grupa robocza ds. opracowania wytycznych

[w opracowaniu]

Wkład *(w kolejności alfabetycznej)*

[w opracowaniu]

Recenzje *(w kolejności alfabetycznej)*

[w opracowaniu]

Merytoryczne i organizacyjno-administracyjne zaangażowanie ze strony Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji *(w kolejności alfabetycznej)*

[w opracowaniu]

1. Wstęp

1.1. Definicja pojęcia pilotażu

Celem niniejszych wytycznych jest standaryzacja procesu przygotowania i ewaluacji programów pilotażowych dotyczących technologii medycznych i rozwiązań organizacyjnych ocenianych pod kątem wprowadzenia do publicznego systemu ochrony zdrowia.

Program pilotażowy (*wdrożenie pilotażowe, pilotaż*), projekt mający na celu wprowadzenie (wdrożenie) nowej techniki, rozwiązania lub metody, w wyznaczonych wcześniej obszarach w celu sprawdzenia, czy zaplanowane działania przynoszą pożądany skutek oraz zmniejszenia ryzyka niepowodzenia projektu realizowanego w pełnej skali i uzyskania opinii użytkowników. Interwencję w programach pilotażowych mogą stanowić technologie medyczne (zarówno lekowe jak i nielekowe) oraz rozwiązania organizacyjne.

Programy pilotażowe mogą być finansowane ze środków publicznych zgodnie z ustawą z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych [Dz.U. z 2022 poz. 2561, z późn. zm.], zwana dalej „Ustawą”,. Program pilotażowy jest określony jako „zespół zaplanowanych działań z zakresu opieki zdrowotnej o charakterze testowym, dotyczących nowych warunków realizacji lub nowego sposobu finansowania świadczeń opieki zdrowotnej, poprzedzających wdrożenie rozwiązań systemowych” (art. 5 ust. 30a. ustawy).

1.2. Program pilotażowy vs naukowe badania eksperymentalne vs rutynowa praktyka

Program pilotażowy przeprowadzany jest przed wdrożeniem danej interwencji jako świadczenia gwarantowanego i ma na celu identyfikację podstawowych barier wdrożeniowych i określenie zasadności finansowania danej interwencji ze środków publicznych. Program pilotażowy nie jest typem badania klinicznego, mimo iż ma na celu weryfikację zdefiniowanych a priori założeń dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa zaplanowanych interwencji.

Badanie kliniczne to badanie naukowe, mające na celu odkrycie lub potwierdzenie klinicznych, farmakologicznych, w tym farmakodynamicznych skutków działania jednej lub wielu technologii medycznych (lekowych lub nielekowych). Badania kliniczne prowadzi się według ściśle określonych zasad, przy zapewnieniu bezpieczeństwa pacjentowi (uczestnikowi badania) i poszanowania jego praw. Badania kliniczne dzieli się na badania eksperymentalne, badania obserwacyjne z grupą kontrolną, badania opisowe.¹

W poniższej tabeli wskazano najważniejsze różnice pomiędzy badaniem klinicznym, programem pilotażowym a praktyką kliniczną.

¹ Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA, ang. *health technology assessment*). 3 ed. Warszawa: Wydawnictwo Lekarskie PZWL; 2016

Kryterium	Badanie kliniczne	Program pilotażowy	Praktyka kliniczna
Cel	Ocena skuteczności i bezpieczeństwa technologii medycznej	Weryfikacja praktycznej skuteczności i bezpieczeństwa technologii, której efektywność została potwierdzona w badaniach klinicznych. Ma na celu potwierdzenie zasadności finansowania danej interwencji na szeroką skalę	Zapewnienie dostępności do świadczeń gwarantowanych o potwierdzonej skuteczności i bezpieczeństwie dla określonej populacji w skali kraju
Model	<ul style="list-style-type: none"> Kontrolowana próba kliniczna z randomizacją (ang. randomised controlled trial, RCT), Kontrolowana próba kliniczna bez randomizacji (ang. clinical controlled trial, CCT) Badanie jednoramienne 	Model pilotażu bazujący na: <ul style="list-style-type: none"> Badaniu z jednoczasową grupą kontrolną – otrzymującą dotychczasowe postępowanie aktualnej praktyki klinicznej Badaniu z historyczną grupą kontrolną Badaniu jednoramiennym z uwzględnieniem porównań danych np. z rejestrów 	Wdrożenie świadczenia zdefiniowanego kryteriami klinicznymi, organizacyjnymi, wymaganiami personelu, sprzętu.
Finansowanie	Np. sponsorzy – firmy farmaceutyczne, koncerny wyrobów medycznych, jednostki naukowo-badawcze	Różne podmioty w tym publiczne np. Narodowy Fundusz Zdrowia, świadczeniodawcy	Finansowanie, jako świadczenie gwarantowane ze środków publicznych

1.3. Program pilotażowy – kiedy należy przeprowadzić?

Należy rozważyć przeprowadzenie programu pilotażowego dla interwencji skutecznych klinicznie i efektywnych kosztowo, w sytuacjach gdy rozważane jest wprowadzenie danej technologii jako standardu w ochronie zdrowia.

Program pilotażowy powinien być przeprowadzony w sytuacji gdy skuteczność i bezpieczeństwo danej interwencji potwierdzono w wysokiej jakości badaniach klinicznych oraz:

- interwencja stanowi element złożonego procesu, a jej łączny efekt kliniczny nie jest w pełni znany, lub
- wdrożenie interwencji wymaga przygotowania implementacji w systemie ochrony zdrowia (np. określenia warunków lokalowych, personelu, sprzętu), lub
- przed wdrożeniem interwencji na szeroką skalę wymagana jest ocena kosztów (zarówno ocenianej interwencji jak i interwencji towarzyszących) oraz zasobów.

Program pilotażowy pozwala na opracowanie rozwiązań wdrożeniowych oraz przetestowanie interwencji w sytuacjach, gdy zakres pełnego wdrożenia byłby wyzwaniem organizacyjnym i kosztowym. Program pilotażowy pozwala na szybką ocenę efektów w małej skali.

Programu pilotażowego nie należy przeprowadzać jeśli:

- technologia nie jest dopuszczona do obrotu na terenie Polski i nie spełnia wymagań formalnych do jej wykorzystania,
- skuteczność kliniczna i bezpieczeństwo interwencji nie zostało potwierdzone w wiarygodnych badaniach;
- nie ma uzasadnienia, że nowa interwencja wpłynie pozytywnie na:
 - organizację udzielania świadczeń lub
 - lepsze efekty zdrowotne niż dotychczasowe postępowanie
 - oszczędność kosztów w stosunku do dotychczasowego postępowanie
- interwencja nie jest rozważana do pełnoskalowego wprowadzenia jako standard w ochronie zdrowia.

1.4. Korzyści i potencjalne ryzyka programu pilotażowego z punktu widzenia systemu ochrony zdrowia

Korzyści

Program pilotażowy jest wiarygodnym narzędziem obiektywnej oceny interwencji w praktyce i jej skutecznego wdrożenia na szeroką skalę. Ocenę potencjalnych korzyści zawsze należy przeprowadzać w odniesieniu do istniejącej praktyki klinicznej oraz w miarę możliwości, w odniesieniu do technologii alternatywnych.

Program pilotażowy:

- 1) powinien pozwalać na obiektywną i wiarygodną ocenę testowanej interwencji i zasadności jej wdrożenia na szeroką skalę;
- 2) powinien pozwalać na ocenę wykonalności, kosztochłonności i czasochłonności wdrożenia interwencji na szeroką skalę;
- 3) umożliwia monitorowanie i weryfikację działań, tak aby dostarczyć informacji o najbardziej efektywnym rozwiązaniu (tj. rozwiązaniu pozwalającym na osiągnięcie najlepszych wyników zdrowotnych) oraz wskazać obszary, w których efektywność jest niepewna lub nieznaną;
- 4) pozwala na identyfikację potencjalnych ryzyk i przeszkód przed wdrożeniem na szeroką skalę i zaproponowanie rozwiązań tak, aby uniknąć niepowodzenia wdrażając interwencję do systemu opieki zdrowotnej;
- 5) dostarcza informacji o wymaganych zasobach i pozwala na przygotowanie systemu opieki zdrowotnej przed wdrożeniem na szeroką skalę np. wyszkolenie personelu, zakup sprzętu;
- 6) pozwala na wczesną identyfikację potencjalnych nieprawidłowości i wprowadzanie modyfikacji, a nawet na zaprzestanie realizacji pilotażu (lub jego części), co jest trudne i czasochłonne w sytuacji, gdy świadczenie opieki zdrowotnej jest finansowane ze środków publicznych na szeroką skalę.

Ryzyka

Realizacja programu pilotażowego wiąże się z pewnymi ryzykami i ich konsekwencjami, m.in.:

- brak możliwości osiągnięcia zakładanych celów lub pełnej oceny wyników z powodu zbyt małej skali programu pilotażowego (np. zbyt mała populacja, krótki czas trwania programu, wysokie koszty);
- brak wdrożenia interwencji w systemie opieki zdrowotnej pomimo wykazania pozytywnych efektów testowanego rozwiązania (pozytywne wyniki pilotażu nie gwarantują, że takie same wyniki będą osiągnięte po wdrożeniu na szeroką skalę).

2. Cel programów pilotażowych i ich projektowanie

Cel główny programu pilotażowego określa co realizator zamierza osiągnąć poprzez jego realizację. Ze względu na cel można wskazać dwa główne rodzaje pilotaży:

- ocena skuteczności stosowania technologii (przy braku pewności co do efektu w pełnoskalowej implementacji),
- ocena wykonalności (*feasibility study*).

Formułując cel należy mieć na uwadze późniejsze wdrażanie rozwiązań do systemu opieki zdrowotnej, w szczególności korzyści dla pacjentów i/lub systemu opieki zdrowotnej wynikające z pełnoskalowej implementacji testowanego rozwiązania. Cel powinien być formułowany w powiązaniu z rodzajem planowanego programu pilotażowego.

Celem programu pilotażowego nie może być sam fakt jego przeprowadzenia. Pracę nad programem pilotażowym należy poprzedzić analizą stanu obecnego, z której powinna wynikać potrzeba wdrożenia pilotażu.

Pytania pomocnicze do formułowania celów:

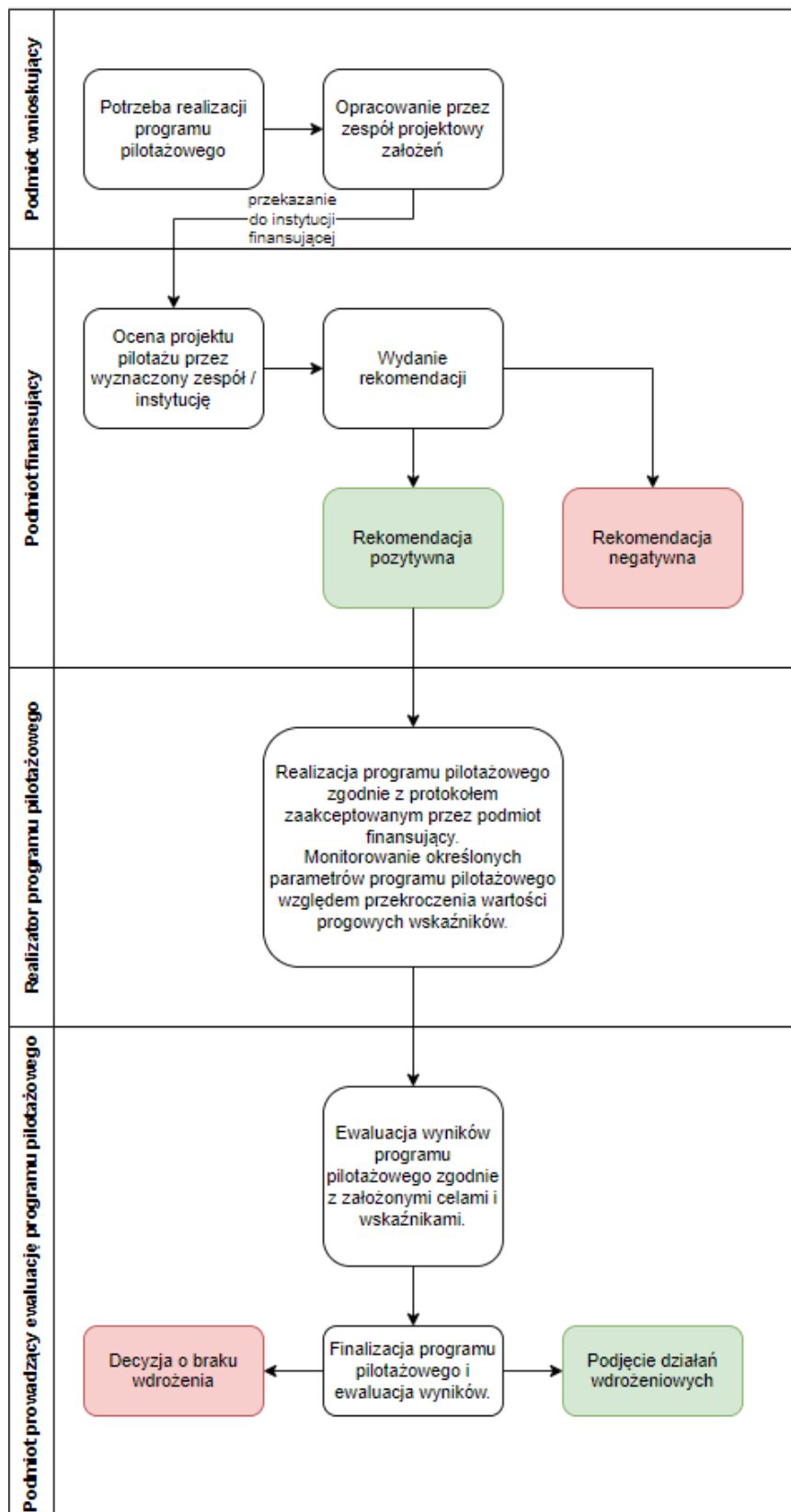
1. Dlaczego i w jakim celu należy przeprowadzić pilotaż interwencji medycznej, jakie problemy zostaną rozwiązane lub zniwelowane?
2. Co zamierzmy osiągnąć?
3. W jaki sposób chcemy osiągnąć zdefiniowany cel pilotażu?
4. Czy istnieją alternatywne sposoby osiągnięcia zaplanowanego celu?
5. W za pomocą jakich wskaźników osiągnięcie celu zostanie wykazane?
6. Jakie działania muszą zostać podjęte, aby przetestować zaplanowane interwencje w programie?
7. Dla kogo jest dedykowany pilotaż, kto jest głównym interesariuszem do osiągnięcia celu realizacji?

Opisując cele należy wziąć pod uwagę takie uzasadnienie pilotażu:

1. Ograniczenie ryzyka wprowadzenia nieefektywnego i kosztownego rozwiązania,
2. Walidacja teoretycznych rozwiązań,
3. Rozwój i ulepszenie ostatecznego rozwiązania,
4. Lepsze oszacowanie końcowych korzyści,
5. Zbudowanie relacji z interesariuszami, w tym identyfikacja ich oczekiwań,
6. Pozyskanie wiedzy o różnych aspektach wdrażania,
7. Określenie priorytetów.

3. Schemat przebiegu procesu

Rysunek 1. Realizacja programu pilotażowego



4. Protokół programu pilotażowego

Program pilotażowy należy poprzedzić przygotowaniem i zatwierdzeniem protokołu programu pilotażowego przez podmiot finansujący. Protokół jest dokumentem, który opisuje założenia oraz sposób przeprowadzenia pilotażu: tło, cele, metodykę, analizy statystyczne i kwestie organizacyjne jednocześnie gwarantując bezpieczeństwo zarówno pacjentów jak i danych. Protokół umożliwia wszystkim realizatorom programu przeprowadzenie pilotażu dokładnie w ten sam sposób, gwarantując tym samym możliwość połączenia zebranych przez nich danych i przeprowadzenie zbiorczej analizy.

4.1. Zakres protokołu uwzględniający planowanie, monitorowanie, ewaluację

Prawidłowo przygotowany protokół pilotażu powinien zawierać następujące elementy:

1. Uzasadnienie pilotażu, problem decyzyjny, problem zdrowotny,
2. Opis proponowanej interwencji oraz interwencji alternatywnych lub aktualnego schematu postępowania
3. Korzyści i potencjalne ryzyka programu pilotażowego
4. Cel programów pilotażowych i jego projektowanie
5. Model badawczy
6. Gromadzenie i analiza danych
7. Plan analizy statystycznej
8. Monitorowanie przebiegu programu pilotażowego (mierniki + wskaźniki)
9. Interesariusze
10. Lista działań i logistyka
11. Harmonogram
12. Opis zespołu przeprowadzającego pilotaż
13. Budżet i inne zasoby
14. Szkolenia i komunikacja
15. Zarządzanie ryzykiem i warianty działania
16. Otoczenie prawne i kwestie etyczne
17. Wymagana dokumentacja
18. Kryteria spełnienia celu programu pilotażowego i decyzji o wdrożeniu

4.2. Analiza problemu zdrowotnego i decyzyjnego

Opis problemu zdrowotnego powinien być zwięzły, zawierać podstawowe informacje, istotne dla proponowanej interwencji oraz być przygotowany w oparciu o wiarygodne źródła informacji (zgodnie z zaleceniami *Wytycznych oceny technologii medycznych*^{2,3}).

4.2.1. Epidemiologia i patofizjologia

Należy przedstawić opis i definicję jednostki chorobowej, skutki choroby/stanu zdrowia w zależności od podjętych działań oraz aktualne dane epidemiologiczne zebrane dla populacji polskiej (takie jak zachorowalność/chorobowość, umieralność/śmiertelność, utracone lata życia z powodu niepełnosprawności).

4.2.2. Aktualny schemat postępowania

Należy przedstawić opis aktualnej praktyki klinicznej w analizowanej jednostce chorobowej, który powinien obejmować następujące elementy:

- stosowane interwencje, technologie medyczne;
- liczba i zakres świadczeń;
- wykorzystane zasoby (finansowe, personel, inne).

4.2.3. Alternatywne interwencje (zaspokajanie potrzeb zdrowotnych – sposoby i analiza możliwości)

Należy przedstawić dane wskazujące na stopień niezaspokojenia potrzeby zdrowotnej lub odnoszące się do obszarów postępowania diagnostyczno-terapeutycznego, które powinny ulec zmianie, a także wskazać wielkość potencjalnego wpływu interwencji na zaspokojenie potrzeb.

Opis alternatywnych interwencji i aktualne postępowanie w problemie zdrowotnym powinno opierać się o dane co najmniej z następujących źródeł:

- systematyczny przegląd literatury;
- doświadczenia międzynarodowe.

4.2.4. Opis planowanej interwencji

Należy wskazać i udokumentować wybór technologii, stanowiących potencjalne rozwiązanie problemu, które będą przedmiotem pilotażu. Uzasadnienie wyboru technologii powinno zawierać wskazanie i objaśnienie sposobu w jaki wybrana technologia lub wybrane technologie będą odpowiadać problemowi zdrowotnemu.

Należy zweryfikować technologię pod kątem spełnienia m.in. następujących kryteriów:

- technologia jest dopuszczona do obrotu na terenie Polski i spełnia wszystkie wymagania formalne do jej wykorzystania,

² Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. *Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA, ang. health technology assessment)*. 3 ed. Warszawa: Wydawnictwo Lekarskie PZWL; 2016.

³ Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. *Wytyczne oceny technologii medycznych. Wyroby medyczne. Wyroby o zastosowaniu profilaktycznym i terapeutycznym. CZĘŚĆ I*. Warszawa 2021. Available from: <https://www.aotm.gov.pl/media/2021/08/Wytyczne-Oceny-Technologii-Medycznych.-Wyroby-medyczne-czesc-1.pdf>

- podstawy techniczne i teoretyczne oparte są o znane i opisane mechanizmy działania,
- posiada (na podstawie danych literaturowych) potwierdzoną w danych klinicznych skuteczność i bezpieczeństwo stosowania,
- posiada zdefiniowaną docelową populację, która stanowić będzie odbiorcę technologii,
- posiada jasno określone kompetencje względem personelu niezbędne do bezpiecznego i skutecznego stosowania technologii,
- istnieje możliwość bezpiecznego i wiarygodnego monitorowania skutków stosowania technologii,
- odpowiada na zidentyfikowany problem zdrowotny i zapewnia dodatnią wartość kliniczną dla pacjenta lub inną wartość dodatnią (również z perspektywy systemu, świadczeniodawców, płatnika lub innych interesariuszy),
- posiada określone ramy czasowe, pozwalające na ustalenie czasu uzyskania oczekiwanej wartości dodanej.

W przypadku istnienia wątpliwości w zakresie powyższych kryteriów – należy przeprowadzić rozszerzoną analizę. Gdy brak jest możliwości wyjaśnienia – należy rozważyć odstąpienie od przeprowadzenia programu pilotażowego do czasu uzupełnienia i spełnienia wymaganych kryteriów.

Opis dowodów naukowych

Opis dowodów naukowych powinien obejmować zgromadzenie kluczowych danych na podstawie **wyników systematyczny przeglądu literatury** (z uwzględnieniem jakości i wiarygodności zebranych danych naukowych). Zaleca się przeprowadzić **konsultacje przedmiotowe**, pozwalające na określenie naukowych podstaw programu, analizę potencjalnych korzyści, a także analizę możliwości wdrożenia programu (obejmującą opis elementów składowych oraz warunków realizacji)⁴.

W przypadku gdy wybrana interwencja obejmuje urządzenia, procedury diagnostyczne i terapeutyczne, **kluczowe jest, by nie planować pilotażu, gdy jej skuteczność eksperymentalna nie została jeszcze w pełni potwierdzona**. W opisie wymagane jest przedstawienie wyników badań klinicznych.

W przypadku pilotaży oceniających rozwiązania z zakresu organizacji sposobu udzielania świadczeń przy braku doniesień naukowych dopuszczalne jest uzasadnienie wniosku przedstawiając opinie ekspertów, opis rozwiązań stosowanych w innych krajach.

Ocena gotowości technologicznej i operacyjnej

W przypadku pilotaży, w których interwencją są technologie medyczne należy ocenić czy wybrane rozwiązanie osiągnęło gotowość technologiczną i operacyjną do oceny w warunkach rzeczywistej praktyki, uwzględniając aspekty techniczne oraz wymagania regulacyjne dla danej technologii medycznej.

⁴ Campbell M, Fitzpatrick R, Haines A, Kinmonth AL, Sandercock P, Spiegelhalter D, et al. Framework for design and evaluation of complex interventions to improve health. *BMJ*. 2000;321(7262):694-6.

W tym celu wnioskodawca musi złożyć oświadczenie, o posiadaniu możliwości zapewnienia ilości jednostek technologii wystarczającej do zaspokojenia potrzeb programu pilotażowego w trakcie jego trwania oraz załączyć dokumenty potwierdzające dopuszczenie do obrotu i zastosowania w analizowanym wskazaniu (w szczególności: rejestracja produktu leczniczego, wyrobu medycznego, w zależności od klasy wyrobu medycznego: deklarację zgodności lub certyfikat zdolności, a w przypadkach opisanych w art. 22 ust. 1 lub 3 rozporządzenia 2017/745 oświadczenie, o którym mowa w tych przepisach").

W przypadku pilotaży oceniających rozwiązania z zakresu rozwiązań organizacyjnych należy ocenić dojrzałość technologii, możliwość implementacji w systemie opieki zdrowotnej, w szczególności uwzględniając dostępne zasoby finansowe i ludzkie.

Opis kosztów interwencji

Opis kosztów interwencji obejmuje: koszty technologii medycznej testowanej w ramach programu pilotażowego, zarówno koszty samej technologii, koszty implementacji technologii, dodatkowych technologii/aparatury, jeśli są wymagane, aby testowana technologia mogła być wdrażana, koszty personelu i organizacji programu pilotażowego.

Ponadto, z punktu widzenia efektywności wydatkowania środków publicznych nie jest celowe przeprowadzanie licznych pilotaży dla tego samego problemu zdrowotnego. Należy wskazać inne technologie opcjonalne, dotychczas niefinansowane ze środków publicznych, które można zastosować jako rozwiązanie problemu zdrowotnego.

Ścieżka przebiegu procesu i wskazanie miejsca interwencji

Należy wskazać czy wnioskowana technologia zmienia przebieg postępowania diagnostycznego lub terapeutycznego i opieki nad pacjentem, w jakim zakresie i jakie jest jej umiejscowienie na ścieżce diagnostyczno-terapeutycznej pacjenta, jakie kryteria kliniczne będą decydowały o włączeniu pacjenta do pilotażu.

Rozpatrując zasadność implementacji nowych rozwiązań do systemu należy jednoznacznie określić miejsce technologii w systemie opieki zdrowotnej oraz określić jej wpływ na standard postępowania diagnostyczno-terapeutycznego i praktykę kliniczną. Preferowanym sposobem na określenie wpływu jest wpisanie technologii w graficzną reprezentację ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej, z uwzględnieniem wariantów bez jak i z proponowaną interwencją. Ocena wpływu na obecną praktykę kliniczną powinna zawierać odpowiedzi na następujące pytania:

- Jakie są planowane warunki organizacji świadczeń opieki zdrowotnej oraz warunki ich realizacji, w tym dotyczące personelu medycznego i wyposażenia w sprzęt i aparaturę medyczną?
- Jaki jest planowany sposób finansowania świadczeń w programie pilotażowym (np. stawka kapitałowa, ryczałt, fee for service, mix)?
- Jakie są planowane tryby opieki związane z realizacją pilotażu?
- Jak jest planowany tryb wyboru realizatora programu oraz kryteria realizacji programu pilotażowego?

W ramach pilotażu możliwe jest również testowanie technologii, która nie jest zgodna z obowiązującymi założeniami organizacyjnymi, a jej wdrożenie na szeroką skalę będzie wymagało wprowadzenia zmian w systemie opieki zdrowotnej. W takiej sytuacji należy opisać jakie to będą zmiany i przeanalizować je pod względem mocnych i słabych stron oraz korzyści i zagrożeń. Należy również opisać potencjalne korzyści z ich wdrożenia oraz określić możliwości akceptacji przez środowisko medyczne i pacjentów.

Podczas analizy problemu zdrowotnego należy określić spodziewane rezultaty (zarówno zmiany ilościowe oraz jakościowe), a także oszacować długoterminowe skutki.

4.3. Cel pilotażu

Cele pilotażu powinny być skwantyfikowane, tj. opisane za pomocą wskaźników. Powinny one umożliwiać dokonanie pomiaru zmiany, która zaszła w wyniku realizacji zaplanowanych w programie interwencji. Definiowanie celów powinno być przeprowadzone zgodnie z koncepcją SMART, według której poprawnie sformułowany cel powinien być:

- swoisty (ang. *specific*) – jego zrozumienie nie powinno stanowić kłopotu, sformułowanie powinno być jednoznaczne i niepozostawiające miejsca na luźną interpretację,
- mierzalny (ang. *measurable*) – a więc tak sformułowany, by można było liczbowo wyrazić stopień realizacji celu, lub przynajmniej umożliwić jednoznaczną „sprawdzalność” jego realizacji,
- osiągalny (ang. *achievable*) – cel zbyt ambitny podkopuje wiarę w jego osiągnięcie i tym samym motywację do jego realizacji,
- istotny (ang. *relevant*) – cel powinien być ważnym krokiem naprzód, jednocześnie musi stanowić określoną wartość dla tego, kto będzie go realizował,
- określony w czasie (ang. *time-bound*) – cel powinien mieć dokładnie określony horyzont czasowy, w jakim zamierzamy go osiągnąć.⁵

4.3.1. Cel główny

Zdefiniowanie celu głównego powinno odnosić się do ocenianych, weryfikowanych lub porównywanych interwencji w programie pilotażowym, określonej populacji i ewentualnie miejsca realizacji programu pilotażowego. **Cel główny programu pilotażowego może dotyczyć między innymi:**

- zaspokojenia potrzeb zdrowotnych zdefiniowanej populacji (w określonym stanie/ z określoną jednostką chorobową);
- potwierdzenia rzeczywistej skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa interwencji w praktyce;
- oceny wykonalności realizacji danej interwencji w systemie opieki zdrowotnej (zdefiniowanie wymaganych zasobów).

⁵ Centralny Ośrodek Informatyki. Jak prawidłowo określić cele projektu? : Serwis Rzeczypospolitej Polskiej 2019 [dostęp: <https://www.gov.pl/web/popcwsparcie/jak-prawidlowo-okreslic-cele-projektu>].

4.3.2. Cele szczegółowe

Wśród celów szczegółowych pilotażu warto uwzględnić możliwość gromadzenia dodatkowych danych pozaklinicznych, takich jak dane: organizacyjne, administracyjne oraz operacyjne, a także zbiór praktyk i wdrożonych przez realizatora procedur. Mogą one stanowić podstawę do m.in. opracowania optymalnych warunków realizacji świadczenia w procesie legislacyjnym (np. wymagane kompetencje personelu, wymagany sprzęt i aparatura medyczna lub tryb i miejsce udzielania świadczeń) lub standardowych procedur operacyjnych dla świadczeniodawców.

4.4. Model badawczy

Wybór metodologii badawczej należy uzasadnić w odniesieniu do problemu zdrowotnego oraz celu pilotażu. W ramach opracowanej metodologii należy rozważyć możliwość pozyskiwania dodatkowych danych pozaklinicznych, zgodnie z założonymi szczegółowymi celami pilotażu. Należy zadbać, aby ww. pozyskiwanie danych nie miało negatywnego wpływu na możliwość realizacji celu głównego.

W badaniach klinicznych wiarygodność wyników jest uwarunkowana posiadaniem właściwej jasno określonej i powtarzalnej metodologii. Wybór właściwej metodologii zależy od czynników takich jak hipoteza badawcza, cele badania, natura problemu zdrowotnego, populacja badana i inne zmienne wpływające na wyniki. Typ badania powinien być powiązany z hipotezą badawczą.

4.4.1. Opis proponowanej interwencji

Należy opisać technologie medyczne testowane w ramach programu pilotażowego oraz, o ile przewidziano w metodologii badawczej, technologię stosowaną w grupie kontrolnej. Opis interwencji powinien jednoznacznie identyfikować produkt lub rozwiązanie, producenta lub dostawcę (o ile dotyczy) oraz zasady jego stosowania w ramach programu pilotażowego. W przypadku testowania produktów dostępnych w różnych wersjach, np. różniących się opakowaniami należy opisać opakowania i etykiety produktów stosowanych w ramach programu pilotażowego oraz zasady wydawania pacjentom (o ile dotyczy, np. gdy wydanie konkretnego opakowania uzależnione jest od stanu klinicznego).

4.4.2. Czas trwania

Czas trwania programu pilotażowego należy zaplanować a priori. Należy określić definicję daty zakończenia programu (czy jest to data w której ostatni uczestnik został zbadany lub otrzymał interwencję w celu ostatecznego zebrania danych czy też określa się krótszy termin ostatecznego zbierania danych u pacjentów lub udzielenia interwencji a ostatni etap programu zaplanowany jest na ewaluację).

W uzasadnionych przypadkach, gdy rozpoczęcie stosowania danego rozwiązania wiąże się z istotną modyfikacją warunków udzielania świadczeń (np. przeprowadzeniem instruktarzy personelu medycznego, dostosowaniem infrastruktury), należy w czasie pilotażu przewidzieć okres przejściowy. Dla jakości wnioskowania jest istotne, aby nie porównywać danych zebranych w okresie przejściowym z aktualną, ugruntowaną praktyką kliniczną, gdyż wyniki te mogą nie być reprezentatywne w długim horyzoncie czasowym. Okres przejściowy powinien być możliwie najkrótszy a jego długość należy uzasadnić.

W sytuacji gdy osiągnięcie celu głównego w zaplanowanym czasie okazuje się niemożliwe (np. ze względu na wolniejsze niż zaplanowane włączanie pacjentów do programu), należy określić przyczyny niniejszego stanu oraz opcjonalnie zmodyfikować program dokonując jego przedłużenia. Przedłużenie programu pilotażowego powinno zostać uzasadnione i być realne w stosunku do założonego celu głównego.

4.4.3. Grupa badana

Docelowa liczebność populacji w badaniu musi być wystarczająca do zapewnienia odpowiedniej mocy statystycznej testu, tj. adekwatna do oczekiwanej istotnej statystycznie różnicy w efektach klinicznych pomiędzy grupami w zakresie punktu końcowego.

Należy opisać metodę podejścia do określenia wielkości populacji, która będzie objęta programem pilotażowym. W przypadku oszacowania wielkości populacji na podstawie wiedzy ekspertów należy wskazać dane eksperta wraz z podaniem jego afiliacji i doświadczenia w danej dziedzinie.

Moc statystyczna zależy bezpośrednio od 3 czynników:

- wielkości próby w badaniu,
- rzeczywistej wielkości efektu na tle losowej zmienności w populacji,
- przyjętego poziomu istotności α (w naukach biologicznych przyjęto wartość 0,05).

Kryteria włączenia, wykluczenia

W programie pilotażowym grupa docelowa powinna zostać opisana z uwzględnieniem co najmniej następujących kryteriów:

- wiek,
- płeć,
- rozpoznanie,
- dotychczasowe leczenie lub inne zmienne, opisujące stan kliniczny pacjenta.

Kryteria te muszą być zgodne z populacją docelową pacjentów, tj. grupą odbiorców interwencji objętej programem pilotażowym. Należy także określić działania, mające na celu identyfikację, selekcję oraz włączenie pacjentów w program pilotażowy.

4.4.4. Grupa kontrolna

Co do zasady należy w pilotażu przewidzieć grupę kontrolną. W zależności od wybranego rodzaju prowadzonego badania, należy określić liczbę oraz charakterystykę grup kontrolnych. W pilotażach zawierających próbę kontrolną zgodnie z metodologią prowadzenia badań można rozważyć następujące typy komparatorów:

- inna aktywna interwencja, tj. porównanie ocenianej interwencji z inną technologią medyczną, istniejącym standardem opieki medycznej (preferowane porównanie),
- najlepsze leczenie wspomagające (ang. *Best Supportive Care* - BSC) tj. interwencje, skupiające się na opanowaniu objawów i utrzymaniu zdrowia w jak najlepszym stanie. Ten typ komparatora można wykorzystać w przypadku, gdy nie jest dostępne aktywne leczenie.

- ta sama technologia o zmodyfikowanym sposobie stosowania. Ten typ komparatora może posłużyć do oceny wpływu modyfikacji sposobu stosowania technologii medycznej, przykładowo reżimu stosowania, częstości, dawki, metody podania itp.,

Porównanie może być prowadzone z użyciem jednoczasowej lub historycznej próby kontrolnej. W przypadku historycznej grupy kontrolnej wykorzystywane jest zewnętrzne źródło danych porównawczych, np. wcześniejsze badania, rejestry medyczne, dane sprawozdawcze. Przy zastosowaniu historycznej grupy kontrolnej wygenerowanie próby o dużej liczebności może być utrudnione, np. w chorobach rzadkich. Ograniczenia związane z historyczną grupą kontrolną obejmują brak możliwości randomizacji i zaślepienia oraz różnice w charakterystyce pacjentów między porównywanymi grupami⁶. W przypadku uwzględnienia historycznej grupy kontrolnej w programie pilotażowym, konieczne jest wykazanie, że dostępne są wystarczające dane: zgodne pod względem wskazania docelowego, parametrów demograficznych, stosowanych interwencji, kompletne, wystarczająco dojrzałe w czasie.

4.5. Gromadzenie i analiza danych

Zakres zbieranych danych należy określić na etapie formułowania protokołu programu pilotażowego. Zmienne powinny odzwierciedlać cele i pozwolić na oszacowanie wskaźników, które zostały zdefiniowane na etapie projektowania protokołu programu.

Należy określić częstotliwość zbierania danych oraz poziom szczegółowości. Jeśli wykonywane są kilkukrotne pomiary tego samego parametru, należy zdefiniować czy w bazie danych powinny zostać umieszczone wyniki pojedynczych, kolejnych pomiarów, czy tylko wyniki początkowy i końcowy.

Wybór wskaźników powinien uwzględniać możliwość porównania ich z grupą kontrolną/porównawczą tj. nieuczestniczącą w programie pilotażowym.

Gromadzone zmienne powinny uwzględniać mierniki i wskaźniki (zarówno efektu jak i procesu) oraz źródła danych.
--

System sprawozdawczy

System sprawozdawania danych powinien zostać zaplanowany w sposób umożliwiający weryfikację i ocenę danych w trakcie trwania programu pilotażowego. W sytuacji łączenia danych z różnych źródeł (np. indywidualna dokumentacja medyczna pacjenta, dane administracyjne zbierane w celach rozliczeniowych, dane gromadzone rutynowo przez świadczeniodawców), należy dodatkowo zaplanować możliwość wykonania tych analiz i ocenę kompletności zbieranych danych. Dla zdefiniowanych wskaźników, które będą służyć ocenie osiągnięcia celów pilotażu, powinny zostać określone wartości docelowe/progowe, na podstawie, których będzie możliwe podjęcie decyzji o zasadności wdrożenia pilotażu na szeroką skalę.

Poufność i bezpieczeństwo danych

Planowanie zakresu danych, gromadzonych w ramach programu pilotażowego, powinno obejmować informację w jaki sposób i za pomocą jakiego systemu będą raportowane i zbierane

⁶ Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA, ang. health technology assessment). 3 ed. Warszawa: Wydawnictwo Lekarskie PZWL; 2016

dane o pacjentach i realizowanych w ramach pilotażu interwencjach (np. czy zostanie opracowany nowy rejestr). Należy wskazać podmiot odpowiedzialny za system gromadzenia danych i ich bezpieczeństwo. Prawidłowość danych wprowadzonych do systemu powinna być systematycznie weryfikowana. Przed wdrożeniem systemu należy przeprowadzić walidację systemu⁷.

Plan analiz statystycznych

Analiza danych (wyników) powinna obejmować analizę jakościową oraz, o ile możliwe, analizę ilościową. Analiza jakościowa obejmuje ocenę przyczyn zjawisk i obserwowanych zjawisk. Analiza ilościowa obejmuje analizę statystyczną. Jej wyniki pozwalają określić istotność statystyczną różnic pomiędzy grupami lub zmian parametrów w czasie (analiza przed-po), korelacje pomiędzy danymi oraz na wyciągnięcie wniosków o efektach interwencji. Do analizy statystycznej należy zastosować odpowiednie nieparametryczne lub parametryczne testy statystyczne.

Wszystkie analizy powinny być wstępnie zdefiniowane przed rozpoczęciem programu pilotażowego. Szczegółowy plan analizy powinien uwzględniać typ zbieranych danych, liczebność populacji, rodzaj porównań (zmiana parametrów w czasie, porównania między grupami). W przypadku gdy cele szczegółowe pilotażu obejmują identyfikację grup pacjentów o najlepszych efektach zdrowotnych lub gdy oczekuje się, że efekty zdrowotne mogą być zróżnicowane, należy również zaplanować analizę w podgrupach. Analiza może obejmować również analizę wrażliwości tj. analizę zmienności wyników przy założeniu odchylenia wartości różnych zmiennych. Należy określić planowany poziom istotności statystycznej.

Wszelkie odchylenia od założonego planu analiz powinny zostać opisane i uzasadnione w raporcie końcowym.

4.6. Monitorowanie przebiegu programu pilotażowego

Monitorowanie pilotażu powinno obejmować systematyczne zbieranie informacji dotyczących charakterystyki pacjentów, stosowanych interwencji, zużytych zasobów i uzyskiwanych efektów. Niezbędne jest zebranie szczegółowych danych charakteryzujących min.:

- populację (dane demograficzne, dane kliniczne),
- interwencję (np. rodzaje operacji stosowanych w programie pilotażowym, częstość rehabilitacji),
- pozostałe parametry odnoszące się do organizacji interwencji (np. czas oczekiwania na interwencję, czas trwania interwencji, niezbędny personel, niezbędne zasoby sprzętowe),
- bezpieczeństwa interwencji oraz leczenie zdarzeń niepożądanych
- inne terapie w trakcie oraz po zastosowaniu interwencji.

Należy monitorować liczebność populacji w programie pilotażowym, w tym odsetek pacjentów utraconych w trakcie pilotażu (tzw. attrition bias tj. selektywna utrata pacjentów, którzy mogą w sposób systematyczny różnić się od tych, którzy pozostają w programie). Należy raportować

⁷ Mainz J. Developing evidence-based clinical indicators: a state of the art methods primer. International Journal for Quality in Health Care. 2003;15(90001):5i-11

przyczyny zaprzestania udziału pacjenta w programie (np. rezygnacja z udziału, rezygnacja z powodu działań niepożądanych, wykluczenie pacjenta z powodu nie spełniania kryteriów włączenia).

W celu zapewnienia poprawności pomiarów, stosownie do potrzeb i przy maksymalnym wykorzystaniu dostępnych danych wtórnych (zbieranych w celach innych niż pilotaż) należy zaplanować a priori sposób pomiaru i metody monitorowania przebiegu programu pilotażowego. W związku z powyższym należy zaplanować:

- kontrole wybranych podmiotów realizujących program,
- kontrolę terminów realizowanych zadań,
- okresowe analizy danych w celu oceny postępu realizacji programu i identyfikacji czynników ryzyka.

W ramach monitorowania należy rozważyć możliwość pozyskiwania dodatkowych danych pozaklinicznych, zgodnie z założonymi szczegółowymi celami pilotażu.

Monitorowanie to instrument zarządzania programem, który powinien spełniać następujące warunki:

1. Standard powinien charakteryzować się:
 - a) ustaloną, jedną i niezmienną metodą (skala, jednostka, relacja) pomiaru,
 - b) ustaloną sekwencją – interwały (1/rok, 1/kwartał).
2. Cykliczna analiza danych jakościowa/iłościowa.
3. Raport z monitoringu (np. kwartalny, półroczny, roczny), powinien być w każdym roku tak samo skonstruowany, a zestawienia i wykresy powinny być generowane w taki sam sposób, co umożliwi porównanie oraz agregację danych na potrzeby ewaluacji.
4. Monitorowanie powinno pozwolić na identyfikację ryzyk i nieprawidłowości i w razie potrzeby wdrożenie modyfikacji w protokole programu pilotażowego.

4.7. Interesariusze

Interesariusze projektu to wszystkie osoby lub grupy osób, na które określony projekt oddziałuje.

W programie pilotażowym należy zidentyfikować interesariuszy, którzy będą w nim uczestniczyć, mieć wpływ na jego realizację, lub na których działania przewidziane w programie mogą wpływać bezpośrednio lub pośrednio. Interesariusze projektu to wszystkie osoby lub grupy; na które określony projekt może oddziaływać podczas trwania lub po jego zakończeniu.

Interesariuszy można podzielić na:

- interesariuszy wewnętrznych projektu tj. osoby, wobec których odpowiedzialność za wykonanie projektu ponosi kierownik projektu,
- interesariuszy zewnętrznych, którymi mogą być pacjenci, dostawcy, pośrednicy, władze, media czy przedstawiciele zawodów, np. lekarze, ratownicy medyczni czy pielęgniarki.

Narzędziem służącym do określenia wpływu interesariuszy na projekt jest tzw. mapy interesariuszy.⁸

Aby wykonać mapę interesariuszy należy:

1. Dokonać identyfikacji interesariuszy poprzez przygotowanie odpowiedzi m.in. na następujące pytania:
 - Kto może wpłynąć na dany program pilotażowy?
 - Na kogo ma wpływ dany program pilotażowy?
 - Komu może zależeć na danym programie pilotażowym?
 - Kto może odrzucić dany program pilotażowy?
2. Dokonać identyfikacji potrzeb lub oczekiwań interesariuszy poprzez przygotowanie odpowiedzi m.in. na poniższe pytania:
 - Jakie są potrzeby danej grupy interesariuszy?
 - Jaka jest podstawa formalno-prawna (prawo krajowe i międzynarodowe) zaangażowania danego interesariusza?
 - Jaka jest podstawa ekonomiczna zaangażowania danego interesariusza?
 - Czy interesariusze mają wpływ aktywny lub bierny na program pilotażowy?
 - Czy i jak program pilotażowy może wpływać na interesariuszy?
 - Jakiego poziomu i sposobu komunikacji oczekują interesariusze?
3. Określić poziomy wpływu/zainteresowania interesariuszy w projekcie, poprzez przygotowanie siatki wpływu-zainteresowania, które polega ona przypisaniu kategorii dla każdej z grup interesariuszy według wzoru:
 - Wysoki wpływ i wysokie zainteresowanie
 - Wysoki wpływ i niskie zainteresowanie
 - Niski wpływ i wysokie zainteresowanie
 - Niski wpływ i niskie zainteresowanie⁹

Wśród interesariuszy projektu szczególną rolę odgrywa sponsor, który zapewnia zasoby niezbędne do realizacji danego projektu. Do zadań sponsora projektu należy podejmowanie decyzji kierunkowych w projekcie, zapewnienie odpowiednich zasobów, a także podejmowanie decyzji dotyczących finansowania programu pilotażowego. Sponsor, w założeniu nie jest członkiem zespołu projektowego, ale jego zadanie polega na wsparciu i usprawnieniu realizacji poszczególnych zadań w projekcie. Rolą sponsora jest również monitorowanie projektu oraz

⁸ Wachowiak, P. (2012). Jak prowadzić dialog z interesariuszami?. e-mentor, 43(1), 20-24.

⁹ B. Grucza, Zarządzanie interesariuszami projektu, PWE, Warszawa 2019, s. 237.

zarządzanie funduszami. Jest on ważnym elementem inicjacji projektu, a do jego zadań należy ustalenie m.in. zakresu niezbędnych prac, uzasadnienie wykonania czy studium wykonalności¹⁰

Sponsor jest interesariuszem, najbardziej zainteresowanym efektami projektu. Rola sponsora jest podkreślana w wielu metodykach zarządzania projektami, a jego uniwersalnym zadaniem jest wspieranie zespołów projektowych poprzez usprawnianie realizacji wyznaczonych zadań.

4.8. Lista działań i logistyka

W protokole programu pilotażowego należy uwzględnić i opisać listę planowanych działań, zarówno w zakresie inicjacji, organizacji, a także prowadzenia i ewaluacji. Należy opisać działania związane z logistyką prowadzenia programu pilotażowego, aby zapewnić ciągłość i skoordynowanie prowadzonych działań.

Jedną z metod planowania jest definiowanie potrzebnych działań i następnie ich uszczegóławianie przez określanie poddziałań, które muszą zostać wykonane, aby w pełni zrealizować dane działania. Planowana lista działań powinna być spójna z określonymi założeniami i celem programu pilotażowego, a także powinna być kompletna względem wszystkich wymaganych etapów i zakresów programu pilotażowego.

4.9. Harmonogram

Harmonogram w projekcie przygotowuje się aby przedstawić przebieg projektu oraz oszacować przewidywany czas jego trwania. Harmonogram jest narzędziem kontrolowania postępów realizacji zadań w projektach. Należy przygotować harmonogram programu pilotażowego na etapie aplikowania. Harmonogram można przedstawiać wizualnie jako diagram sieciowy, w przypadku kiedy celem jest wskazanie zależności pomiędzy aktywnościami. Możliwe jest jego przedstawienie w postaci wykresu uwzględniającego kamienie milowe (ang. milestone chart) lub jako wykres Gantta, który ilustruje prace ukończone w okresie czasu w stosunku do czasu zaplanowanego na pracę. Wykres Gantta może zawierać daty rozpoczęcia i zakończenia zadań, kamienie milowe, zależności między zadaniami, osoby przypisane.

¹⁰ M. Trocki, B. Gucza, Analiza interesariuszy, Bizarre, Warszawa 2004

Aby wykonać harmonogram projektu należy:

1. Określić listę czynności lub zadań podlegających planowaniu.
2. Podzielić projekt na etapy (z uwzględnieniem krzywej uczenia personelu).
3. Zidentyfikować czynności pozostające we wzajemnej relacji. Relacje czynności typu początek i koniec wymagają aby wcześniejsze zadanie zostało zakończone przed rozpoczęciem następnego (tzw. poprzedniki i następniki).
4. Oszacować czas realizacji poszczególnych zadań.
5. Wyznaczyć datę początkową realizacji projektu, a także daty wymagalności, zakresy czasowe.
6. Przyjąć system opisu i przydziału zadań na harmonogramie.
7. Oznaczyć na harmonogramie zadania krytyczne, rezerwy i kamienie milowe.
8. Określić informacje o dostępności zasobów - w jakim czasie oraz w jakiej ilości zasoby mogą być realizowane w projekcie.

4.10. Opis zespołu przeprowadzającego pilotaż

Role poszczególnych podmiotów oraz osób w programie pilotażowym powinny zostać jasno wskazane wraz z relacjami i zależnościami pomiędzy nimi. Należy wskazać:

1. Koordynatora lub koordynatorów programu pilotażowego.
2. Podmioty realizujące interwencje zaplanowane w programie (tj. świadczeniodawcy, warunki jakie muszą spełnić, aby uczestniczyć w programie, planowaną liczbę realizatorów, wskazanie czy możliwe są umowy o współpracę lub podwykonawstwo oraz określenie zasad tej współpracy).
3. Podmiot finansujący i/lub sponsora.
4. Podmiot nadzorujący i odpowiedzialny za przebieg programu.
5. Podmiot odpowiedzialny za przeprowadzenie ewaluacji programu.
6. Innych uczestników i interesariuszy programu pilotażowego

4.11. Budżet i inne zasoby

Program pilotażowy należy prowadzić w warunkach realnej praktyki klinicznej z wykorzystaniem istniejących zasobów opieki zdrowotnej oraz źródeł i poziomu finansowania świadczeń.

Przygotowując programy pilotażowe mające na celu zmiany organizacyjne dotyczące udzielania świadczeń lub zmiany mające wpływ na standard postępowania oraz praktykę kliniczną, należy dokonać oceny stanu finansowania rozwiązań obecnie istniejących z jednoczesną próbą przedstawienia modelu docelowego. Istotne jest aby projektowane i testowane w pilotażu rozwiązania dotyczące organizacji i sposobu finansowania, przedstawiały ich konsekwencje dla systemu.

Należy przedstawić oszacowanie całkowitego budżetu programu pilotażowego wraz z wyszczególnieniem kategorii kosztowych (np.: personel, infrastruktura, inne zasoby). Planowane wydatki w ramach pilotażu powinny być udokumentowane, a następnie monitorowane.

Sposób finansowania i jego zakres mają istotny wpływ na realizację zadań w programie pilotażowym. Przygotowując projekt pilotażu należy opisać proponowany sposób jego finansowania (np. stawka kapitacyjna, ryczałt, *fee for service*, mix) i rozliczania interwencji lub modelu organizacji udzielania świadczeń (adekwatny do obowiązujących zasad finansowania świadczeń gwarantowanych), a także wskazać podmiot zobowiązany do finansowania programu pilotażowego.

Proponowany sposób finansowania powinien być możliwy do wdrożenia w ramach obowiązujących przepisów prawa. W projekcie należy przedstawić koszty jego realizacji, na które składają się koszty poszczególnych składowych mających wpływ na budżet programu m.in. produktów rozliczeniowych, wynikających z zaproponowanego sposobu finansowania. W kalkulacji proponowanych produktów rozliczeniowych należy uwzględnić:

- koszty korzystania z infrastruktury (pomieszczeń, aparatury oraz innego sprzętu wraz z kosztami serwisu);
- koszty osobowe personelu zaangażowanego w udzielanie świadczeń;
- koszty niezbędnych produktów leczniczych, wyrobów medycznych oraz procedur diagnostycznych i leczniczych;
- koszty pośrednie związane z obsługą programu (np. stanowiska sekretarskie, pracowników rozliczających z NFZ zrealizowane świadczenia, pracowników administracji, wymaganych ubezpieczeń oraz wszelkie pozostałe koszty niebezpośrednio związane z interwencją), wskazując źródło cen jednostkowych przyjętych do kalkulacji.

Przy szacowaniu kosztów interwencji diagnostycznych lub terapeutycznych należy uwzględnić Rozporządzenie Ministra Zdrowia w sprawie zaleceń dotyczących standardu rachunku kosztów u świadczeniodawców.¹¹

4.12. Szkolenia i komunikacja

W protokole pilotażu należy określić zakres niezbędnych szkoleń personelu (medycznego i niemedycznego) na wszystkich etapach opracowania, realizacji oraz ewaluacji programu pilotażowego. Jeśli interwencja tego wymaga należy zaplanować stworzenie rejestru lub systemu sprawozdawczości dla którego należy opracować instrukcje lub standardową procedurę operacyjną.

Należy wskazać niezbędne narzędzia i zasady komunikacji tj. plan komunikacji pomiędzy osobami zaangażowanymi w proces. Podczas przygotowywania planu komunikacji w projekcie, należy ustalić, kto jest włączony w proces komunikacji, co jednocześnie pozwoli na identyfikację

¹¹ Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 26 października 2020 r. w sprawie zaleceń dotyczących standardu rachunku kosztów u świadczeniodawców

interesariuszy zewnętrznych i wewnętrznych projektu. Plan komunikacji wymienia i wyjaśnia podstawowe rodzaje komunikacji w projekcie oraz formę w jakiej jest ona realizowana. Plan komunikacji powinien ewoluować w trakcie trwania projektu.

4.13. Zarządzanie ryzykiem i warianty działania

W protokole pilotażu należy uwzględnić analizę ryzyka w zakresie potencjalnego wpływu interwencji na istotne klinicznie punkty końcowe oraz istotne dla systemu opieki zdrowotnej¹².

Opis analizy ryzyka powinien zawierać następujące elementy:

- identyfikację ryzyka – wykrywanie źródeł ryzyka oraz ich priorytetyzacja;
- szacowanie i ewaluację ryzyka – określenie wpływu, jaki wystąpienie danego ryzyka będzie miało na projekt oraz prawdopodobieństwo wystąpienia danego zagrożenia
- planowanie reakcji na ryzyko – opisanie możliwości i działań, które w przypadku wystąpienia ryzyka, zmniejszą (lub wzmocnią) je bądź wyeliminują¹³.

Wszelkie zmiany w projekcie, po rozpoczęciu realizacji pilotażu, w trakcie jego trwania lub podczas raportowania (np. w planie analizy statystycznej, dostosowania interwencji, obserwacji, zmiany w protokole dotyczące kryteriów włączenia lub wykluczenia) niosą ze sobą ryzyko wprowadzenia błędu systematycznego. Jednakże, jeżeli w trakcie monitorowania lub kontroli (audytu) zidentyfikowano ryzyko lub nieprawidłowości, które utrudniają osiągnięcie celów, dopuszcza się wprowadzenie modyfikacji do programu pilotażowego.

Każda zmiana w realizacji programu pilotażowego musi być uzasadniona i udokumentowana (np. zwiększenie liczby ośrodków realizujących pilotaż, poszerzenie zakresu świadczeń, zmiana sposobu kwalifikacji pacjentów, zmiana zasad raportowania danych) i opisana w raporcie z realizacji programu pilotażowego.

Podczas realizacji interwencji w szczególności o charakterze inwazyjnym (np. operacje chirurgiczne), które niosą za sobą potencjalne ryzyko działań niepożądanych, należy dokumentować występowanie powikłań i działań niepożądanych badanej interwencji. Należy monitorować również ich częstość i stopień ciężkości. Postępowanie z działaniami niepożądanymi powinno być zgodne z aktualną praktyką kliniczną.

4.14. Otoczenie prawne i kwestie etyczne

Protokół programu pilotażowego powinien uwzględniać aspekty prawne, etyczne oraz administracyjne. Aspekty etyczne i organizacyjne mają odzwierciedlenie w dokumentach prawnych, funkcjonującym w prawodawstwie wspólnotowym i krajowym, które pierwotnie dedykowane są także badaniom klinicznym. Należy zadbać, aby planowany program pilotażowy był zgodny z obowiązującymi przepisami prawa. Podejmując decyzję o opracowaniu protokołu programu pilotażowego należy wziąć pod uwagę aspekty etyczne i organizacyjne względem uczestników pilotażu.

¹² Campbell M, Fitzpatrick R, Haines A, Kinmonth AL, Sandercock P, Spiegelhalter D, et al. Framework for design and evaluation of complex interventions to improve health. *BMJ*. 2000;321(7262):694-6.

¹³ Spalek S, Trzeciak M. Zarządzanie ryzykiem w ramach metodyk tradycyjnych oraz zwinnych w zarządzaniu projektami. *Zeszyty Naukowe Politechniki Śląskiej, seria: Organizacja i Zarządzanie*. 2016;93:483-92.

Należy rozważyć czy decyzja o przeprowadzeniu programu pilotażowego może powodować wątpliwości społeczne, w szczególności czy może:

1. Negatywnie wpływać na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej.
2. Grozić niezaakceptowaniem postępowania przez poszczególnych uczestników.
3. Powodować stygmatyzację.
4. Wywoływać lęk
5. Powodować dylematy moralne.
6. Stwarzać problemy dotyczące dyskryminacji płci lub naruszające powszechnie przyjęte normy społeczne.

Przedstawiona powyżej lista zagadnień nie stanowi zamkniętego katalogu, ma za zadanie skłonić autorów projektowanego programu pilotażowego do przeprowadzenia analizy i próby odpowiedzi na pozycjonowanie pilotażu w kontekście aspektów moralnych i etycznych.

4.15. Wymagana dokumentacja

Wszystkie etapy projektowania, wdrażania i oceny programu pilotażowego wymagają przygotowania odpowiedniej dokumentacji, która ma za zadanie zapewnienie przejrzystości, systematyczności działań oraz dokonanie ewaluacji zrealizowanych działań.

Wymagana dokumentacja (poza protokołem programu pilotażowego):

1. Standardowe procedury operacyjne wdrażania programu pilotażowego, jednolite dla wszystkich realizatorów.
2. Instrukcja do sprawozdawczości.
3. Umowy o współpracę lub podwykonawstwo (jeśli jest realizowane).
4. Raport ewaluacji programu pilotażowego.
5. Plan i warunki niezbędne do wdrożenia interwencji testowanej w programie pilotażowym na szeroką skalę.
6. Raport końcowy z realizacji programu pilotażowego.

5. Wynik badania pilotażowego i kryteria sukcesu

5.1. Ocena wyników pilotażu

5.1.1. Definiowanie wskaźników

Należy zdefiniować i określić wskaźniki, służące ilościowej ocenie stopnia realizacji pilotażu. Wskaźnik służy ilościowej ocenie stopnia realizacji celu. Poszczególne wskaźniki definiowane mogą być w kontekście struktury, procesu oraz wyniku, przez co służą stworzeniu standardów w wybranych obszarach klinicznych, odnoszących się do postępowania z pacjentem. Wskaźniki jakości mogą służyć jako punkty odniesienia, dzięki którym podmioty świadczące opiekę

zdrowotną, płatnicy i decydenci mogą ocenić poziom jakości i zmienność udzielanych świadczeń. Innym pojęciem jest miernik, który stanowi narzędzie pomiarowe danej cechy lub zmiennej i wykorzystywany może być do obliczenia wskaźników.

Wskaźniki odnoszą się bezpośrednio do efektów interwencji i służą do pomiaru stopnia osiągnięcia założonego celu realizowanego programu pilotażowego.

Cechy wskaźników

Definicja wskaźnika obejmować powinna jego opis i uzasadnienie dla jego użycia, opis mierników będących podstawą jego wyliczenia, a także sposób ich obliczenia oraz wskazanie wartości lub przedziałów docelowych. Definiując wskaźniki należy zapewnić, że posiadają następujące cechy:

- odpowiadają na każdy wskazany cel pilotażu;
- posiadają wartość dodaną dla pacjenta lub dla analizowanego problemu w przypadku pilotaży dotyczących sposobu organizacji świadczeń;
- łatwość pomiaru przez klinicystę, obserwatora lub pacjenta;
- obiektywność i interpretowalność;
- możliwość walidacji i udokumentowaną wiarygodność.

Wybór i określenie wskaźników

Zaleca się, aby dla każdego wskaźnika przyjętego do monitorowania wskazane zostały dowody naukowe uzasadniające jego wybór.

Zrozumienie uwarunkowań danej technologii medycznej ma kluczowe znaczenie dla jej wdrożenia, dlatego wśród gromadzonych informacji zaleca się uwzględnienie wskaźników odnoszących się do:

- efektów klinicznych,
- efektów pozaklinicznych,
- efektów ekonomicznych i finansowych wdrożenia technologii,
- efektów organizacyjnych z perspektywy podmiotu leczniczego i systemu ochrony zdrowia.

Dla oceny technologii medycznej oraz jej kwalifikacji jako świadczenia gwarantowanego kluczowe znaczenie ma pozyskanie informacji dotyczących **efektów klinicznych**. Wskaźniki dotyczące efektów klinicznych powinny odnosić się do istotnych klinicznie zdarzeń związanych z zastosowaniem technologii, np. umieralności, przebiegu/nasilenia choroby, zależnej od zdrowia jakości życia oraz bezpieczeństwa. W przypadku technologii nielekowych możliwości zdefiniowania punktów końcowych dotyczących efektów klinicznych mogą być ograniczone, dlatego ~~można~~ należy rozważyć zastosowanie punktów zastępczych, tzw. surogatów.

Jeśli zastosowane zostały surogaty, powinny one dotyczyć parametrów klinicznych przebiegu choroby, przy czym, należy wykazać ich związek z klinicznie istotnymi punktami końcowymi. Walidacja wskaźników surogatowych powinna być dokonana w odniesieniu do rozpatrywanego problemu zdrowotnego.

Wskaźniki dotyczące **efektów (skutków) pozaklinicznych** wdrożenia technologii powinny odnosić się do wpływu na organizację opieki i praktykę kliniczną, w tym na wytyczne, procesy, standardy kliniczne lub realizację programu wdrożenia. Istotne jest, aby wybrane wskaźniki odnosiły się np. do:

- możliwości implementacji technologii do istniejących uwarunkowań i zasobów,
- optymalizacji procesu terapeutycznego,
- organizacji jej wdrożenia w systemie,
- zgodności zasad jej zastosowania z zaleceniami producenta.

Wskaźniki dotyczące **efektów finansowych** odnoszą się do kosztów oraz oszczędności wynikających ze zużycia technologii medycznych w procesie terapeutycznym. W ocenie efektów finansowych należy wziąć pod uwagę istotne i różniące się kategorie finansowe związane z zastosowaniem technologii, takie jak na przykład: koszty podania lub zastosowania technologii (bezpośrednie i pośrednie koszty związane z zastosowaną technologią szczegółowo opisane w rozdziale 1.13), koszty monitorowania i oceny skutków technologii, koszty zdarzeń niepożądanych, koszty innych zasobów opieki zdrowotnej zużywanych w analizowanym problemie zdrowotnym (np. leczenie uzupełniające, rehabilitacja).

Efekty finansowe mogą być również związane ze skutkami dla systemu opieki zdrowotnej, które wynikają pośrednio z zastosowania technologii, np. zmniejszenie liczby absencji chorobowych czy zmniejszone koszty organizacyjne udzielanych świadczeń związane z usprawnieniem dotychczasowych procesów.

W definicji wskaźnika finansowego należy określić perspektywę podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczenia, którego koszt jest sprawozdawany i rozliczany. Zaleca się co najmniej uwzględnienie perspektywy płatnika publicznego, perspektywę świadczeniobiorcy, perspektywę świadczeniodawcy oraz dla niektórych kategorii kosztów (np. kosztów pośrednich) perspektywę społeczną.

Wskaźniki dotyczące **organizacji podmiotu prowadzącego działalność leczniczą lub udzielania świadczenia** pozwalają na zrozumienie determinant kluczowych dla wdrożenia nowego świadczenia opieki zdrowotnej, odnosząc się do:

- możliwości dostosowania świadczenia do lokalnych potrzeb,
- możliwości stosowania technologii w życiu codziennym,
- zgodności technologii z normami i standardami, w tym ewentualnej możliwości ich dostosowania do technologii,
- dopasowania technologii do wartości i priorytetów, które mogą wpływać na implementację,
- trudności we wdrożeniu technologii lub jej komponentów,
- kosztów (względnych i bezwzględnych) wdrożenia.

Dokonując selekcji mierników i wskaźników należy zadbać, by pozwalały one na ocenę technologii i wyników pilotażu. Uzyskane w warunkach krajowej praktyki klinicznej dane mogą zostać wykorzystane w procesie kwalifikacji świadczeń opieki zdrowotnej jako świadczeń gwarantowanych, a także do innych procesów refundacyjnych^{14,15}.

5.1.2. Oczekiwana wartość progowa o podjęciu decyzji powszechnego wdrożenia technologii

Dla każdego wskaźnika należy określić **wartości docelowe**, będące wyznacznikiem prawidłowego przebiegu procesu lub pożądanych wyników. Zwłaszcza w przypadku ewaluacji wskaźników efektów w całości raportowanych przez pacjenta lub surogatów korzystne może być zdefiniowanie minimalnej istotnej klinicznie różnicy (ang. *minimum clinically important difference*), która reprezentuje najmniejszą zmianę wartości wskaźnika o realnym znaczeniu dla pacjenta¹⁶. Powyższe wartości należy uzasadnić.

Poza wartościami docelowymi zasadne jest zdefiniowanie **optymalnych wartości progowych** dla wskaźników, co pozwala na systematyczne ocenianie potencjalnych braków i potrzeb, wprowadzenie w odpowiednim czasie korekty (dopasowania) oraz modyfikacje pilotażu. Należy określić zasady postępowania w przypadku stwierdzenia nieprawidłowości w trakcie pilotażu:

1. Odstąpienie od pilotażu/wcześniejsze zakończenie programu, jeśli w czasie pilotażu wystąpiły istotne, niemożliwe do korekty odstępstwa w kluczowych obszarach takich jak skuteczność, efektywność, bezpieczeństwo.
2. Czasowe wstrzymanie programu – jest zalecane w przypadku wystąpienia zdarzenia o charakterze wypadku, gdy potrzebny jest czas na określenie konsekwencji zdarzenia lub poszukiwanie metod zabezpieczających przed jego ponownym wystąpieniem. Można rozważyć takie rozwiązanie w przypadku stwierdzenia odstępstw, które pozwalają na wprowadzenie działań naprawczych.
3. Bieżąca korekta założeń programu, jeśli w czasie programu wystąpiły mniejsze nieprawidłowości, które pozwalają na doraźne podjęcie działań naprawczych. Przy czym, wystąpienie takiej sytuacji wymaga powiadomienia interesariuszy.

Należy każdorazowo przeanalizować potencjalny wpływ działań naprawczych na wynik pilotażu. Wprowadzanie istotnych modyfikacji w pilotażu może wymagać powtórzenia któregoś z jego etapów.

Wyniki programu pilotażowego powinny dostarczyć decydentom i interesariuszom odpowiedzi na pytanie czy badana w pilotażu interwencja jest tańsza lub droższa oraz porównywalnie, bardziej lub mniej skuteczna.

¹⁴ Shepperd S, Iliffe S. The effectiveness of hospital at home compared with in-patient hospital care: a systematic review. *Journal of Public Health*. 1998;20(3):344-50.

¹⁵ Bauer MS, Damschroder L, Hagedorn H, Smith J, Kilbourne AM. An introduction to implementation science for the non-specialist. *BMC Psychology*. 2015;3(1).

¹⁶ Copay, A. G., Subach, B. R., Glassman, S. D., Polly, D. W., Jr, & Schuler, T. C. (2007). Understanding the minimum clinically important difference: a review of concepts and methods. *The spine journal : official journal of the North American Spine Society*, 7(5), 541–546. <https://doi.org/10.1016/j.spinee.2007.01.008>

5.1.3. Analiza różnic pomiędzy planowanymi i osiągniętymi celami

Pomiar wskaźników należy dokonywać w odniesieniu do zaplanowanych celów. Wyniki pilotażu powinny przedstawiać poziom osiągnięcia celów względem wartości zaplanowanych a priori w protokole.

Ocena pilotażu powinna zostać przeprowadzona w sposób szeroki, obejmując:

1. Analizę protokołu pilotażu – identyfikacja sukcesów i ryzyk.
2. Ocenę finansową pilotażu i identyfikacja kosztów.
3. Identyfikację dodatkowych czynników, mających wpływ na wynik pilotażu,
4. Ocenę jakościową zdefiniowanych ról i odpowiedzialności oraz zaangażowania uczestników.
5. Nabyte w ramach pilotażu umiejętności i wypracowane protokoły/standardy.
6. Ocenę zarządzania ryzykiem (w tym analiza problemów i wyzwań w trakcie trwania pilotażu).
7. Ocenę narzędzi pomiarowych (m.in. mierników i technologii zbierania danych).
8. Informację zwrotną od interesariuszy.
9. Analizę dodatkowych korzyści (nie przewidzianych w planie pilotażu).

5.2. Ewaluacja

Celem ewaluacji jest ocena efektywności, skuteczności oddziaływania, trwałości i zgodności projektu w kontekście założeń. Ewaluacja nie jest audytem, ani monitoringiem, są to odrębne procesy. Jednakże dane uzyskane na etapie monitorowania stanowią podstawę ewaluacji. Cele ewaluacji powinny odnosić się do pytań badawczych oraz oceny użyteczności, skuteczności, efektywności i bezpieczeństwa testowanych w programie pilotażowym rozwiązań.

Należy zdefiniować, na jakich etapach będzie prowadzona ewaluacja. Ewaluacja powinna być przeprowadzona, co najmniej, po zakończeniu realizacji pilotażu. Ewaluację można również prowadzić w czasie trwania programu/śródkresowo (ongoing lub interim).

Ewaluacja odnosi się do celów pilotażu zdefiniowanych a priori i określa poziom ich osiągnięcia. Ewaluacja powinna obejmować analizę zaplanowanych wskaźników wraz z ich interpretacją, a także opisem wybranych metod analiz (analiza danych zastanych, metody jakościowe, metody ilościowe). Ewaluacja powinna obejmować analizę kompletności oraz ewentualne ograniczenia danych (np. w sytuacji gdy nie są zbierane lub dostępne dane z pomiarów klinicznych ocena wykonalności i użyteczności wyników zbieranych np. samodzielnie przez pacjenta), ograniczenia analiz i zidentyfikowane ryzyka podczas realizacji programu. Ewaluacja powinna mieć formę raportu z realizacji programu.

Ewaluacja może być prowadzona w trakcie trwania programu (śródkresowo). Można rozważyć wprowadzenie działań programu na szerszą skalę jeśli wyniki ewaluacji wskazują, że cele osiągnięte są zgodnie z planem lub efekty testowanych interwencji osiągnięte są w czasie szybszym niż zaplanowany oraz przy braku występowania istotnych nieprawidłowości i ryzyk. W przypadku wykrycia nieprawidłowości lub gdy program nie osiąga założonych celów monitorowania śródkresowego możliwa jest realizacja działań naprawczych.

5.2.1. Podmiot oceniający

Ewaluacja to obiektywna ocena programu na wszystkich jego etapach, tj. planowania, realizacji i mierzenia rezultatów. Ponadto z punktu widzenia tego, kto przeprowadza ewaluację można ją podzielić na ewaluację wewnętrzną (samoewaluację) i zewnętrzną.

Ewaluacja powinna być prowadzona przez instytucję zewnętrzną, nie realizującą programu pilotażowego, lub zespół bez konfliktu interesów, w celu zapewnienia najwyższego poziomu obiektywizmu przeprowadzanych analiz i ocen programu.

W ramach ewaluacji programu pilotażowego, należy opracować:

- rekomendację wraz z mapą implementacji w pełnej skali (plan wdrożenia),
- aktualizację protokołu programu pilotażowego (jako wzorzec dla kolejnych pilotaży),
- docelowy model organizacyjny i finansowy (w tym nowa ścieżka diagnostyczno-terapeutyczna pacjenta).

Wynik programu pilotażowego powinny:

- stać się podstawą do opracowania niezbędnych norm, procedur, zaleceń/rekomendacji organizacyjnych, wymogów i zasad współpracy realizatorów (świadczeniodawców różnego poziomu), zestawu mierników i wskaźników, a także ścieżek pacjenta, co ułatwi przełożenie wyników pilotażu na systemowe rozwiązania;
- pozwolić na opracowanie koncepcji nowego świadczenia opieki zdrowotnej wraz z warunkami i metodami jego realizacji.

5.3. Raport

Ocenę realizacji programu pilotażowego należy przedstawić w postaci raportu cząstkowego (jeśli przeprowadzona była ewaluacja ongoing/interim) i raportu końcowego.

Elementy raportu z realizacji programu pilotażowego:

- 1) Cel i planowane wskaźniki efektów;
- 2) Oszacowanie wskaźników wskazujących poziom osiągnięcia celów;
- 3) Analizę poniesionych kosztów i porównanie z osiągniętymi efektami;
- 4) Charakterystykę opisową realizatorów programu pilotażowego;
- 5) Charakterystykę opisową populacji uczestniczącej w programie pilotażowym;
- 6) Analizę porównawczą z grupą pacjentów nieuczestniczącą w pilotażu lub grupą kontrolną w pilotażu;
- 7) Analizę w czasie przed i po interwencji;
- 8) Porównanie osiągniętych wskaźników z danymi literaturowymi;
- 9) Wskazanie ograniczeń wynikających z przeprowadzonej analizy i wniosków na przyszłość.

W raporcie końcowym obok zdefiniowanych wskaźników efektów należy uwzględnić również inne aspekty pozakliniczne m.in. organizacyjne, administracyjne, operacyjne, w tym doświadczenia,

praktyki czy wdrożone procedury przez realizatora pilotażu, które mogą stanowić istotny element w procesie tworzenia projektu świadczenia opieki zdrowotnej.

W raporcie końcowym należy przedstawiać jednoznaczne wnioski z realizacji programu (w tym analizę SWOT – *Strengths* – silne strony, *Weaknesses* – słabe strony, *Opportunities* – szanse, okazje i *Threats* – zagrożenia), odnieść się do wszystkich zaplanowanych analiz w protokole programu pilotażowego, a wszelkie wprowadzone modyfikacje i zmiany w programie, które zaszyły podczas jego trwania powinny zostać opisane i uzasadnione.

5.4. Kryteria decyzji o wdrożeniu pilotażu

Na etapie projektowania programu pilotażowego należy określić, jakie kryteria powinny zostać spełnione w celu wprowadzenia interwencji do finansowania ze środków publicznych. Kryteria te mogą obejmować spełnienie określonego uprzednio progu wskaźnika skuteczności klinicznej lub efektywności kosztowej, a także wpływ na ścieżkę diagnostyczno-terapeutyczną pacjenta lub inne swoiste dla danego problemu zdrowotnego elementy, podlegające ocenie w trakcie trwania programu pilotażowego.

6. Przepisy prawne

Do najważniejszych aktów prawnych, mających związek z prowadzeniem programu pilotażowego należą:

Prawo krajowe:

- Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. 2022 poz. 2561)
- Ustawa z dnia 9 marca 2023 r. o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi (Dz.U. 2023 poz. 605).
- Ustawa z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne. (Dz.U. 2001 nr 126 poz. 1381).
- Ustawa z dnia 5 grudnia 1996 r. o zawodach lekarza i lekarza dentystry (Dz.U. 1997 nr 28 poz. 152).
- Ustawa z dnia 7 kwietnia 2022 r. o wyrobach medycznych (Dz.U. 2022 poz. 974).
- Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 26 stycznia 2023 r. w sprawie komisji bioetycznej oraz Odwoławczej Komisji Bioetycznej (Dz. U. 2023 poz. 218).
- Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) nr 536/2014 z dnia 16 kwietnia 2014 r. w sprawie badań klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi oraz uchylenia dyrektywy 2001/20/WE (Tekst mający znaczenie dla EOG).
- Uchwała Nr 190 Rady Ministrów z dnia 29 października 2013 r. Regulamin Prac Rady Ministrów (Dz.U. z 2022 r. 348).
- Rozporządzenie Prezesa Rady Ministrów z dnia 20 czerwca 2002 r. w sprawie „Zasad techniki prawodawczej” (Dz. U. z 2016 r. poz. 283 ze zm.).

Prawo wspólnotowe:

- Dyrektywa 2001/20/We Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 4 kwietnia 2001 r. w sprawie zbliżania przepisów ustawowych, wykonawczych i administracyjnych Państw Członkowskich, odnoszących się do wdrożenia zasady dobrej praktyki klinicznej w prowadzeniu badań klinicznych produktów leczniczych przeznaczonych do stosowania przez człowieka.
- Dyrektywa Komisji 2003/94/WE z dnia 8 października 2003 r. ustanawiająca zasady i wytyczne dobrej praktyki wytwarzania w odniesieniu do produktów leczniczych stosowanych u ludzi oraz produktów leczniczych stosowanych u ludzi, znajdujących się w fazie badań.
- Dyrektywa Komisji 2005/28/WE z dnia 8 kwietnia 2005 r. ustalająca zasady oraz szczegółowe wytyczne dobrej praktyki klinicznej w odniesieniu do badanych produktów leczniczych przeznaczonych do stosowania u ludzi, a także wymogi zatwierdzania produkcji oraz przywozu takich produktów.
- Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2016/679 z dnia 27 kwietnia 2016 r. w sprawie ochrony osób fizycznych w związku z przetwarzaniem danych osobowych i w sprawie swobodnego przepływu takich danych oraz uchylenia dyrektywy 95/46/WE (ogólne rozporządzenie o ochronie danych - RODO) (Tekst mający znaczenie dla EOG).

- 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 uchylenia dyrektyw Rady 90/385/EWG i 93/42/EWG (Tekst mający znaczenie dla EOG).
- Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2017/746 z dnia 5 kwietnia 2017 r. w sprawie wyrobów medycznych do diagnostyki in vitro oraz uchylenia dyrektywy 98/79/WE i decyzji Komisji 2010/227/UE (Tekst mający znaczenie dla EOG).
- Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) NR 1901/2006 z dnia 12 grudnia 2006 r. w sprawie produktów leczniczych stosowanych w pediatrii oraz zmieniające rozporządzenie (EWG) nr 1768/92, dyrektywę 2001/20/WE, dyrektywę 2001/83/WE i rozporządzenie (WE) nr 726/2004

Inne dokumenty prawne i wytyczne:

- Deklaracja Helsińska Światowego Stowarzyszenia Lekarzy. Etyczne zasady prowadzenia badań medycznych z udziałem ludzi z 1964. http://nil.org.pl/uploaded_files/art_1585807090_deklaracja-helsinska-przyjeta-na-64-zo-wma-pazdziernik-2013-pelny-tekst.pdf
- Polskie tłumaczenie Zintegrowanego Dodatku ICH E6 (R2) GCP. Zasady Dobrej Praktyki Klinicznej E6(R2) Międzynarodowa Rada Harmonizacji Wymagań Technicznych dla Rejestracji Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (ICH). https://mercury.2kmm.net/dnn/DesktopModules/GCPPL_BookAdvertising/Files/ICH_GCP_E6_R2_wersja_polska_FINAL.pdf

7. Piśmiennictwo

1. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. *Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA, ang. health technology assessment)*. 3 ed. Warszawa: Wydawnictwo Lekarskie PZWL; 2016.
2. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. *Wytyczne oceny technologii medycznych. Wyroby medyczne. Wyroby o zastosowaniu profilaktycznym i terapeutycznym. CZĘŚĆ I*. Warszawa 2021. Available from: <https://www.aotm.gov.pl/media/2021/08/Wytyczne-Oceny-Technologii-Medycznych.-Wyroby-medyczne-czesc-1.pdf>
3. An, M. W., Duong, Q., Le-Rademacher, J., & Mandrekar, S. J. (2020). Principles of Good Clinical Trial Design. *Journal of thoracic oncology : official publication of the International Association for the Study of Lung Cancer*, 15(8), 1277–1280. <https://doi.org/10.1016/j.jtho.2020.05.005>
4. B. Grucza, Zarządzanie interesariuszami projektu, PWE, Warszawa 2019, s. 237.
5. Bauer MS, Damschroder L, Hagedorn H, Smith J, Kilbourne AM. An introduction to implementation science for the non-specialist. *BMC Psychology*. 2015;3(1).
6. Campbell M, Fitzpatrick R, Haines A, Kinmonth AL, Sandercock P, Spiegelhalter D, et al. Framework for design and evaluation of complex interventions to improve health. *BMJ*. 2000;321(7262):694-6.
7. Copay, A. G., Subach, B. R., Glassman, S. D., Polly, D. W., Jr, & Schuler, T. C. (2007). Understanding the minimum clinically important difference: a review of concepts and methods. *The spine journal :official journal of the North American Spine Society*, 7(5), 541–546. <https://doi.org/10.1016/j.spinee.2007.01.008>
8. Delgado, A., & Guddati, A. K. (2021). Clinical endpoints in oncology - a primer. *American journal of cancer research*, 11(4), 1121–1131.
9. EUnetHTA Joint Action 2, Work Package 8. HTA Core Model® version 3.0 (Pdf); 2016. Available from www.htacoremodel.info/BrowseModel.aspx.
10. Evans S. R. (2010). Fundamentals of clinical trial design. *Journal of experimental stroke & translational medicine*, 3(1), 19–27. <https://doi.org/10.6030/1939-067x-3.1.19>
11. Kiani, A. K., Naureen, Z., Pheby, D., Henahan, G., Brown, R., Sieving, P., Sykora, P., Marks, R., Falsini, B., Capodicasa, N., Miertus, S., Lorusso, L., Dondossola, D., Tartaglia, G. M., Ergoren, M. C., Dundar, M., Michelini, S., Malacarne, D., Bonetti, G., Donato, K., ... INTERNATIONAL BIOETHICS STUDY GROUP (2022). Methodology for clinical research. *Journal of preventive medicine and hygiene*, 63(2 Suppl 3), E267–E278. <https://doi.org/10.15167/2421-4248/jpmh2022.63.2S3.2769>
12. Koperny, M., Konieczna, M., Głowik, P., Siwiec, J., Dziurda, D., Sejbuk, K., & Wysoczański, W. Wytyczne oceny technologii medycznych. Wyroby medyczne (medical devices). *Przegląd aktualnego stanu wiedzy i rozwiązań*.
13. M. Trocki, B. Grucza, Analiza interesariuszy, Bizarre, Warszawa 2004
14. Mainz J. Developing evidence-based clinical indicators: a state of the art methods primer. *International Journal for Quality in Health Care*. 2003;15(90001):5i-11
15. Nair B. (2019). Clinical Trial Designs. *Indian dermatology online journal*, 10(2), 193–201. https://doi.org/10.4103/idoj.IDOJ_475_18
16. Pearson N, Naylor P-J, Ashe MC, Fernandez M, Yoong SL, Wolfenden L. Guidance for conducting feasibility and pilot studies for implementation trials. *Pilot and Feasibility Studies*. 2020;6(1).
17. Proctor E, Silmere H, Raghavan R, Hovmand P, Aarons G, Bunger A, et al. Outcomes for Implementation Research: Conceptual Distinctions, Measurement Challenges, and Research Agenda. *Administration and Policy in Mental Health and Mental Health Services Research*. 2011;38(2):65-76.
18. Shepperd S, Iliffe S. The effectiveness of hospital at home compared with in-patient hospital care: a systematic review. *Journal of Public Health*. 1998;20(3):344-50.

19. Spalek S, Trzeciak M. Zarządzanie ryzykiem w ramach metodyk tradycyjnych oraz zwinnych w zarządzaniu projektami. Zeszyty Naukowe Politechniki Śląskiej, seria: Organizacja i Zarządzanie. 2016;93:483-92.
20. Wachowiak, P. (2012). Jak prowadzić dialog z interesariuszami?. e-mentor, 43(1), 20-24.
21. World Health Organization. Beginning with the end in mind: planning pilot projects and other programmatic research for successful scaling up. Geneva: World Health Organization; 2011. Available from: <https://apps.who.int/iris/handle/10665/44708>