

Kryterium ustawowe: wpływ Projektu na poprawę zdrowia obywateli, przy uwzględnieniu konieczności:

- a) ratowania życia i uzyskania pełnego wyzdrowienia i/ lub ratowania życia i uzyskania poprawy stanu zdrowia (0 - 4 pkt.);**
- b) zapobiegania przedwczesnemu zgonowi (0 - 2 pkt);**
- c) poprawiania jakości życia (0- 2 pkt).**

W ramach kryterium oceniany jest wpływ interwencji przewidzianej w ramach Niekomercyjnego Badania Klinicznego na poprawę zdrowia uczestników badania, a także oczekiwane korzyści zdrowotne z przeprowadzonego badania na docelową populację pacjentów.

Poszczególne elementy kryterium (a, b, c) oceniane są niezależnie. Aby uzyskać wymagany próg punktowy warunkujący pozytywną ocenę nie wszystkie poszczególne podpunkty kryterium muszą zostać spełnione. Podane poniżej przykłady nie stanowią wyczerpującej listy wszystkich możliwych punktów końcowych i efektów zadeklarowanych we wnioskach o dofinansowanie - należy je traktować jako informację pomocniczą co do aspektów ocenianych w ramach kryterium ustawowego nr 2 ułatwiającą jego interpretację zarówno Wnioskodawcom oraz Ekspertom dokonującym oceny merytorycznej.

W ramach oceny podpunktu a) powinny zostać uwzględniane następujące aspekty:

- a) ratowania życia i uzyskania pełnego wyzdrowienia i/ lub ratowania życia i uzyskania poprawy stanu zdrowia (0 - 4 pkt.);**

- czy zastosowanie badanych produktów leczniczych lub wstępne dane przedkliniczne i/lub kliniczne sugerują, że może prowadzić do: istotnego wydłużenia czasu całkowitego przeżycia (OS – overall survival), zmniejszenia ryzyka zgonu w ostrych stanach zagrożenia życia (np. sepsa, ostra niewydolność serca, nowotwory hematologiczne w fazie zaostrzenia), w porównaniu do terapii standardowej lub placebo przy jednoczesnym osiągnięciu braku objawów choroby (co odpowiada pełnemu wyleczeniu), braku potrzeby dalszego leczenia farmakologicznego, normalizacji parametrów laboratoryjnych i/lub obrazowych, powrotu do stanu funkcjonalnego sprzed zachorowania (pełna sprawność fizyczna i psychiczna), braku nawrotów w okresie obserwacyjnym,
- czy zastosowanie badanych produktów leczniczych lub wstępne dane przedkliniczne i/lub kliniczne sugerują, że może prowadzić do: istotnego wydłużenia OS , zmniejszenia ryzyka

zgonu w ostrych stanach zagrożenia życia (np. sepsa, ostra niewydolność serca, nowotwory hematologiczne w fazie zaostrenia), w porównaniu do terapii standardowej lub placebo przy jednoczesnym zwiększeniu przeżywalności bez progresji choroby (PFS), zwiększeniu prawdopodobieństwa wystąpienia odpowiedzi na leczenie, zmniejszeniu ryzyka zdarzeń niepożądanych, zmniejszenia nasilenia objawów chorobowych (wg skal klinicznych, np. NYHA, WHO, ECOG), redukcji potrzeby hospitalizacji, interwencji ratunkowych lub leczenia wspomagającego, wydłużenia okresów remisji, co odpowiada ratowania życia i uzyskania poprawy stanu zdrowia.

W ramach oceny podpunktu b będą uwzględniane następujące aspekty:

b) zapobiegania przedwczesnemu zgonowi (0 - 2 pkt);

- czy wynikiem zastosowania badanych produktów leczniczych będzie zmniejszenie ryzyka wystąpienia zgonu na podstawie odsetków pacjentów żyjących w danej jednostce czasu (np. półrocznym, rocznym, 5-letnim okresie) lub zmniejszenia innych zdarzeń klinicznych prowadzących do zgonu (dla których trzeba przedstawić dowody naukowe wskazujące na ich bezpośrednie powiązanie z OS w badanej jednostce chorobowej),
- czy populacja objęta badaniem narażona jest na przedwczesny zgon,
- czy uzyskana redukcja ryzyka zgonu będzie klinicznie istotna.

W ramach oceny podpunktu c będą uwzględniane następujące aspekty:

c) poprawiania jakości życia (0- 2 pkt).

- czy w wyniku zastosowania badanych produktów leczniczych nastąpi poprawa funkcjonowania w codziennym życiu pacjentów/badane produkty lecznicze mają potencjał przynieść istotną korzyść z punktu widzenia pacjenta, odzwierciedloną w pomiarach standaryzowanych, walidowanych narzędzi oceny QoL w danej jednostce chorobowej (brak progresji choroby jest definiowany jako poprawa jakości życia),
- jak biologicznie i klinicznie mechanizm działania badanych produktów leczniczych może przełożyć się na poprawę funkcjonowania pacjenta.