



Opinia Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr 59/2022 z 8 listopada 2022 r. o projekcie programu polityki zdrowotnej pn. „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania wad rozwojowych u noworodków i niemowląt – poprawa opieki perinatalnej na terenie Województwa Dolnośląskiego”

Po zapoznaniu się z opinią Rady Przejrzystości, pozytywnie opiniuję projekt programu polityki zdrowotnej pn. „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania wad rozwojowych u noworodków i niemowląt – poprawa opieki perinatalnej na terenie Województwa Dolnośląskiego”, pod warunkiem uwzględnienia poniższych uwag.

Uzasadnienie

Oceniany projekt programu dotyczy istotnego problemu zdrowotnego, jakim są wady rozwojowe u noworodków i niemowląt. Jest to zmodyfikowana wersja projektu województwa dolnośląskiego pn. „Badanie przesiewowe w kierunku wczesnego wykrywania wad rozwojowych w oparciu o wywiad i badanie zaburzeń rozwoju psychomotorycznego u niemowląt - program pilotażowy”, która uzyskała negatywną opinię Prezesa Agencji nr 31/2017 z 28 lutego 2017 r.¹ W ówczesnie wydanej opinii wskazano na konieczność dopracowania kluczowych składowych programu. W aktualnie ocenianym projekcie programu polityki zdrowotnej jedynie część uwag została uwzględniona. Choć nadal projekt w wielu miejscach wymaga doszczegółowienia lub przeformułowania zapisów, to korekty naniesione na wcześniej ocenioną wersję umożliwiły wydanie opinii warunkowo pozytywnej. Przed Aby możliwa była akceptacja projektu konieczne jest wprowadzenie do ocenianego obecnie projektu zmian opisanych w niniejszej opinii. Główne obszary wymagające dostosowania wskazano poniżej, zaś szczegółowe uwagi znajdują się w dalszej treści opinii.

Istotny wpływ na warunkowo pozytywne rozstrzygnięcie opinii miało także objęcie opieką dzieci przynależących do grup defaworyzowanych. Przeciwdziałanie wykluczeniu stanowi ważny problem społeczny. Jednocześnie projekt warto uzupełnić o przytoczenie danych statystycznych opisujących poziom niezaspokojenia potrzeby zdrowotnej w tej grupie pacjentów, rozumianych jako liczbę i rodzaj świadczeń opieki zdrowotnej. Należy także przededagować projekt przez wydzielenie interwencji i szczegółowe ich opisanie, m.in. przedstawienie ścieżek pacjenta, opis form dotarcia do rodzin dzieci z informacją o możliwości skorzystania ze świadczeń w programie. Ścieżki pacjenta powinny uwzględniać zalecenia wytycznych klinicznych i rekomendacji towarzystw naukowych. Niezbędne jest także

¹ <https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/oopz/2017/OP-0031-2017.pdf>

sformułowanie celów i mierników efektywności programu polityki zdrowotnej dedykowanych tej grupie świadczeniobiorców.

W pozostałej części projektu zasadnicze wątpliwości budzą opisy interwencji, z których nie wynika związek pomiędzy podjęciem danego działania a uzyskaniem efektów zdrowotnych u świadczeniobiorców. Jest to uwaga ogólna i dotyczy każdej zaplanowanych z interwencji. Przykładowo, choć projekt jasno opisuje zasady kwalifikacji do konsultacji konsylium specjalistów i ich efekt w postaci wydania zaleceń dalszego postępowania, to zarazem znacznym uchybieniem jest brak opisu korzyści, jakie wnosi ta interwencja dla ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej pacjenta, czyli noworodka lub niemowlęcia z wadami wrodzonymi. W sytuacji typowej, tj. w przypadku dziecka objętego opieką specjalistyczną w ramach świadczeń gwarantowanych, zysk dla pacjenta z objęcia taką interwencją nie jest oczywisty. Wskazane jest opisanie oczekiwanego wpływu na zmianę ścieżki pacjenta wraz z przedstawieniem danych sprawozdawczych z systemu opieki zdrowotnej jako uzasadnienie proponowanych rozwiązań. Niejasny pozostaje także związek pomiędzy finansowaniem ze środków programu polityki zdrowotnej organizacji konferencji dla specjalistów a osiąganymi efektami zdrowotnymi. Choć dążenie do rozwoju kompetencji personelu medycznego jest istotne, to wątpliwości może budzić jego kwalifikacja jako „działanie z zakresu opieki zdrowotnej”, gdyż bezpośrednio jego podmiotem nie są świadczeniobiorcy, a pośrednio jedynie w ograniczonym stopniu. Zaleca się uzupełnienie projektu o przedstawienie zakresów tematycznych każdego z działań przewidzianych do realizacji w programie oraz wskazanie związku pomiędzy każdym z działań a realizacją potrzeb zdrowotnych oraz poprawą stanu zdrowia docelowej grupy świadczeniobiorców. W szczególności w programie polityki zdrowotnej nie należy powielać świadczeń już dostępnych w ramach świadczeń opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.

Populacja docelowa została przedstawiona w sposób niespójny. Rozbieżności dotyczą m.in. mniejszej liczby planowanych konsultacji niż liczba pacjentów. Dodatkowo oszacowanie zapotrzebowania na świadczenia oparto o nieaktualne informacje, choć jednocześnie w projekcie prawidłowo wskazano na Polski Rejestr Wrodzonych Wad Rozwojowych (PRWWR) jako źródło danych. W efekcie nie jest jasnym jaka jest planowana liczba pacjentów, ile świadczeń zaplanowano oraz jakie świadczenia mają zostać zapewnione pacjentom. Projekt wymaga doszczegółowienia w tych zakresach w oparciu o aktualne informacje pozyskane m.in. z PRWWR.

Cele i mierniki efektywności zostały sformułowane nieprawidłowo, gdyż odnoszą się do podjęcia działań, a nie ich efektywności. Zapisy wymagają sformułowania na nowo, gdyż w przedstawionym brzmieniu nie odnoszą się do efektów działań i nie pełnią swojej funkcji. Następczo może pojawić się konieczność dostosowania zapisów innych części projektu, aby zachować jego spójność.

Projekt nie odnosi się do warunków realizacji dotyczących wyposażenia i warunków lokalowych, a w przypadku wymogów dotyczących personelu opis jest zdawkowy. Wskazane jest uzupełnienie treści o opis wymagań względem realizatora, które zapewnią prawidłową realizację programu.

W budżecie występują niespójności wymagające korekty, m.in. dotyczące liczby finansowanych konferencji.

Przedmiot opinii

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej województwa dolnośląskiego, dotyczący wad rozwojowych u noworodków i niemowląt. Zaplanowano przeprowadzenie konsultacji

z konsylium specjalistów, świadczenia diagnostyczne oraz działania edukacyjne, w tym konferencje dla specjalistów. Program ma być realizowany w latach 2023-2025, a jego koszt całkowity oszacowano na 3 066 000 zł.

Opinia Prezesa Agencji została przygotowana w oparciu o ocenę technologii medycznej programu polityki zdrowotnej zgodnie z kryteriami zawartymi w art. 31a ust. 1 i art. 48 ust. 4 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r. poz. 1285, z późn. zm.) wraz z oceną założeń projektu programu polityki zdrowotnej, które wspierają efektywność kliniczną i kosztową technologii medycznej planowanej w programie.

Ocena projektu programu polityki zdrowotnej

Znaczenie problemu zdrowotnego

Projekt odnosi się do istotnego problemu zdrowotnego, jakim są wrodzone są wady rozwojowe. Przytoczono etiologie, podziały i opisy wybranych wad rozwojowych.

Projekt zawiera referencje bibliograficzne, na podstawie których przygotowany został opis problemu zdrowotnego. Nie budzą one zastrzeżeń.

W opisie sytuacji epidemiologicznej przedstawiono informacje z Polskiego Rejestru Wrodzonych Wad Rozwojowych (PRWWR) za lata 1998-2008. Zgłaszanie wrodzonych wad rozwojowych do PRWWR jest obowiązkowe na podstawie rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 12 czerwca 2018 r. w sprawie Polskiego Rejestru Wrodzonych Wad Rozwojowych (Dz. U. z 2018 r. poz. 1196). Rejestr obejmuje m.in. rozpoznanie wrodzonej wady rozwojowej według ICD10 (kody Q00.0-Q99.9) oraz rozpoznanie według klasyfikacji ORPHANET. Mając na uwadze powyższe, źródło danych można uznać za rzetelne. Zastrzeżenia budzi jednak przedstawianie oszacowania w oparciu o liczbę urodzeń i współczynnik wyliczonych na podstawie nieaktualnych danych w miejsce skorzystania z dostępnych aktualnych danych rzeczywistych. Zasadnym jest uzupełnienie projektu o dane pozyskane z PRWWR dla województwa dolnośląskiego za każdy rok w okresie 2019-2022 oraz następnie zmodyfikowanie zapisów w innych częściach projektu.

W Mapie Potrzeb Zdrowotnych na lata 2022-2026 nie odniesiono się do przedmiotowego problemu zdrowotnego.

Cele i efekty programu

Jako cel główny zaproponowano zapis „Najważniejszym celem programu polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania wad rozwojowych u noworodków i niemowląt jest realna poprawa opieki perinatalnej na terenie Województwa Dolnośląskiego w zakresie wykrywalności wczesnych wad rozwojowych u noworodków i niemowląt oraz wprowadzenia kompleksowej, skoordynowanej i holistycznej opieki uwzględniającej zarówno medyczną opiekę wielospecjalistyczną (lekarze, pielęgniarki) skupioną na dziecku z wadą rozwojową, jak i opiekę psychologiczną nad całą rodziną pacjenta oraz wsparcie formalno-logistyczne dla rodziców dziecka z wadą rozwojową w jego pierwszym okresie życia (okres noworodkowo-niemowlęcy).”

Cel główny powinien być wyraźnie zdefiniowany, precyzyjnie sformułowany i wytyczony w czasie. Jego osiągnięcie powinno stanowić potwierdzenie skuteczności planowanych działań, czyli prowadzić do wykrywania i realizowania określonych potrzeb zdrowotnych oraz do poprawy stanu zdrowia określonej grupy świadczeniobiorców. Zapis przedstawiony w projekcie nie spełnia przytoczonych powyżej kryteriów. Jest to stwierdzenie sformułowane na wysokim poziomie ogólności, którego związek z poprawą stanu zdrowia uczestników programu polityki zdrowotnej pozostaje niejasny. Odnosi się do podjęcia działania, a nie do jego efektów, co jest podejściem niepoprawnym. Dodatkowo wymaga wskazania, że opieka perinatalna jest w kompleksowy sposób realizowana w ramach świadczeń gwarantowanych. Mimo to w projekcie nie wskazano obszaru wymagającego podjęcia działań naprawczych i tym samym dopełnienia rozwiązań obecnie finansowanych ze środków publicznych. Dla realizacji projektu niezbędne jest przedstawienie poprawnie sformułowanego celu głównego. Należy przedstawić uzasadnienie oraz odniesienie do rzeczywistych danych epidemiologicznych dla wartości docelowej, która zostanie zaproponowana.

W treści projektu programu polityki zdrowotnej jako cele szczegółowe zaproponowano następujące zapisy:

- (1) „skrócenie czasu do postawienia właściwego rozpoznania choroby przebiegającej z wadą rozwojową”;
- (2) „wsparcie rodziny dziecka w wieku noworodkowym i niemowlęcym, u którego stwierdzono wadę rozwojową, zaburzenie rozwoju stanowiące zagrożenie niepełnosprawnością poprzez skoordynowaną medyczną opiekę specjalistyczną, wsparcie psychologiczne i formalne”;
- (3) „zorganizowanie grupy specjalistów różnych dziedzin na terenie Dolnego Śląska wspierających lekarzy specjalistów pracujących na oddziałach noworodkowych i pediatrycznych oraz lekarzy podstawowej opieki zdrowotnej (POZ), którzy poprzez konsylia wielospecjalistyczne będą wspierali lekarzy prowadzących”;
- (4) „działania edukacyjne (konferencje) dedykowane pracownikom ochrony zdrowia pionu pediatrycznego dotyczące ustalenia rozpoznania, postępowania terapeutycznego, w tym rehabilitacyjnego i wsparcia dziecka z wadą rozwojową oraz jego rodziny, a także komunikacji personelu medycznego z rodzicami dziecka z wadą rozwojową i zagrożonego niepełnosprawnością”;
- (5) „działania edukacyjne dla rodziców i całych rodzin dziecka z wadą rozwojową, w zakresie zasad opieki nad dzieckiem w okresie niemowlęcym, priorytetów zdrowotnych dziecka i społecznych rodziny przez tworzenie krótkich poradników z praktycznymi informacjami o chorobie dziecka, o rozwoju dziecka i zagrożeniach w rozwoju dziecka z wadą rozwojową”;
- (6) „analiza danych statystycznych występowania wad rozwojowych, zaburzeń rozwoju noworodków i niemowląt określonych w grupie docelowej”;
- (7) „wprowadzenie przez Koordynatora Programu właściwego kodowania wad rozwojowych (kod ICD10 i kod ORPHA) w celu prowadzenia odpowiedniego monitoringu, które umożliwiają obiektywną i precyzyjną ocenę stopnia realizacji celów programu polityki zdrowotnej”;
- (8) „uzyskanie danych dotyczących zapotrzebowania na specjalistyczną opiekę medyczną, diagnostykę, terapię i rehabilitację dla dzieci z wadami wrodzonymi”;
- (9) „opracowanie rekomendacji diagnostycznych i terapeutycznych u dziecka z wadą rozwojową”.

Cele szczegółowe powinny odnosić się do skutków zastosowania interwencji, a ich osiągnięcie powinno być elementem warunkującym osiągnięcie celu głównego. Podobnie jak cel główny, powinny być mierzalne i możliwe do osiągnięcia w okresie realizacji programu polityki zdrowotnej. Zapisy zaproponowane jako cele szczegółowe nie odnoszą się do efektów interwencji i tym samym nie pełnią swojej funkcji w projekcie. Projekt wymaga przedstawienia co najmniej jednego prawidłowo sformułowanego celu szczegółowego dla każdej z interwencji. Wartości docelowe proponowane w celach szczegółowych powinny odnosić się do efektu zdrowotnego, który został uzyskany dzięki przeprowadzeniu danej interwencji. Cele szczegółowe powinny odnosić się wyłącznie do osób objętych daną interwencją.

W treści projektu programu polityki zdrowotnej jako mierniki efektywności interwencji zaproponowano następujące zapisy:

- (1) „liczba dzieci objętych programem z wadą rozwojową, czy zaburzeniem neurorozwojowym lub z podejrzeniem wady rozwojowej czy zaburzenia neurorozwojowego. Zakłada się, że rocznie będzie to około 1000 dzieci i ich rodzin”;
- (2) „współczynnik diagnostyczny (poziom wykrywalności przyczyny wad rozwojowych i zaburzenia rozwoju) w stosunku do liczby dzieci włączonych do programu. Liczba zdiagnozowanych poszczególnych wad rozwojowych będzie korelowana z liczbą wynikającą z danych statystycznych Kraju, Europy udostępnianych w literaturze medycznej, jak i w funkcjonujących rejestrach (Polski Rejestr Wrodzonych Wad Rozwojowych, EUROCAT i inne dostępne rejestry chorób rzadkich)”;

- (3) „określenie czasu do uzyskania diagnozy. Parametr ten będzie korelowany z danymi krajowymi i europejskimi związanymi z upływem czasu do postawienia właściwego rozpoznania wrodzonego zaburzenia rozwoju. Wyniki będą się również odnosiły do opracowania »Choroby rzadkie w Polsce. Stan obecny i perspektywy« autorstwa Marii Libury”;
- (4) „liczba wydanych kart informacyjnych z precyzyjnymi zaleceniami dla pacjenta i jego rodziny. Zakłada się wydanie 1000 kart informacyjnych (paszport pacjenta) rocznie. Miernik ten będzie korelowany z liczną przyjętych pacjentów i postawionych rozpoznań”;
- (5) „wynik ankiety rodziny pacjenta (ankieta satysfakcji), która zostanie przekazana każdej rodzinie dziecka z wadą rozwojową objętego opieką programu. Ankieta będzie wypełniana przez rodziców dziecka dwukrotnie: na początku trwania programu dla konkretnego dziecka oraz przy zakończeniu programu. Różnica czasowa dwóch ankiet to minimum 6 m-cy”;
- (6) „analiza statystyczna uzyskanych danych w porównaniu z danymi polskich i europejskich rejestrów wad rozwojowych i wrodzonych zaburzeń neurorozwoju, w tym z danymi PRWWR”;
- (7) „liczba opracowań statystycznych i medycznych, rekomendacji. Planowaną liczbę (pre-test) opracowań statystycznych i medycznych, rekomendacji ocenia się na 10 rocznie”;
- (8) „liczba konferencji dla specjalistów ochrony zdrowia (nie tylko lekarzy, ale i pielęgniarek, położnych, terapeutów) oraz dla społeczności rodziców dziecka z wadą rozwojową. Planuje się dwie konferencje tematyczne do lekarzy i personelu medycznego (pielęgniarki, położne, fizjoterapeuci, terapeuci) oraz jedną dla rodziców i opiekunów dziecka z zaburzeniem rozwoju”;
- (9) „liczba opracowań (broszur) edukacyjnych (dla rodziców. Planowaną liczbę (pre-test) opracowań, rekomendacji ocenia się na 10 rocznie”;
- (10) „powstanie ośrodka eksperckiego na terenie Dolnego Śląska dla wad rozwojowych, zaburzeń rozwoju i chorób rzadkich u dzieci. Planowanie wsparcie dotyczy powstania jednego ośrodka”.

Mierniki efektywności powinny umożliwiać obiektywną i precyzyjną ocenę stopnia realizacji wyznaczonych celów oraz powinny być istotnym odzwierciedleniem zdarzeń lub faktów występujących w programie, wyrażonych w odpowiednich jednostkach miary. Mierniki muszą dotyczyć rezultatów, nie zaś podjętych działań. Wartości mierników powinny być określane według stanu przed realizacją programu polityki zdrowotnej i po jego zakończeniu. W szczególności miernik efektywności jest sposobem przeliczenia danych dotyczących faktycznie obserwowanej skuteczności interwencji gromadzonych w ramach monitorowania realizacji programu na wartości liczbowe prezentujące rzeczywistą efektywność, które można odnieść do zadeklarowanych w celach wartości docelowych efektywności.

Zapisy zaproponowane jako mierniki efektywności nie odnoszą się do występujących w programie zdarzeń lub faktów, które dotyczą uzyskiwanych dzięki interwencjom efektów zdrowotnych. Projekt wymaga gruntownej zmiany w tym zakresie. Dla każdego z poprawionych celów należy przedstawić jeden, dedykowany mu miernik efektywności. Przedstawione zapisy mogą znaleźć zastosowanie w doprecyzowaniu części projektu poświęconej monitorowaniu jego przebiegu (nr 1, 4-5, 7-9) lub w opisie wpływu realizacji programu na sytuację zdrowotną w regionie w ewaluacji (nr 2-3, 6). Zapis nr 10 opisuje działanie. Interwencje do realizacji w programie powinny znaleźć się w stosownej części projektu.

Populacja docelowa

W programie można wyróżnić kilka grup osób, do których jest on skierowany. Diagnostyką wad wrodzonych objęte będą noworodki i niemowlęta do 12 miesiąca życia. Do ich rodziców skierowane będą działania edukacyjne. Dla specjalistów zostaną zorganizowane konferencje i szkolenia. W projekcie zaplanowano także szerokie działania edukacyjne, skierowane do ogółu społeczeństwa.

Interwencje diagnostyczne mają być skierowane w czasie realizacji programu w sumie do około 3 000 osób. Występuje jednak rozbieżność ww. interwencji z zapisami budżetu, w którym przeprowadzenie konsultacji lekarskich i badań obrazowych zaplanowano dla 1 500 osób (po 500 osób/rok), a konsultacji psychologicznych, pielęgniarskich i badań wzroku dla 2 400 osób

(po 800 osób/rok). Projekt wymaga ujednolicenia zapisów i w konsekwencji ewentualnej korekty budżetu.

Określono kryteria kwalifikacji dzieci do programu. Obejmują one noworodki (okres życia od 1 do 30 doby życia) z wadą rozwojową lub podejrzeniem zaburzenia rozwoju urodzone w szpitalu położniczym i hospitalizowane na oddziale noworodkowym na terenie Województwa Dolnośląskiego; niemowlęta (okres życia od 30 doby życia do 12 miesiąca życia) z wadą rozwojową lub podejrzeniem zaburzenia rozwoju hospitalizowane na oddziale noworodkowym, pediatrycznym, anestezjologii i intensywnej terapii dla noworodków i dzieci; niemowlęta (okres życia od 30 doby życia do 12 miesiąca życia) z wadą rozwojową lub podejrzeniem zaburzenia rozwoju pod opieką ambulatoryjną lekarza POZ; niemowlęta (okres życia od 30 doby życia do 12 miesiąca życia) z wadą rozwojową lub jej podejrzeniem lub z zaburzeniem rozwoju pod opieką ośrodków wczesnej interwencji, ośrodków rehabilitacyjnych dla dzieci czy neurologopedycznych. Wątpliwości budzi kwalifikacja do diagnostyki dzieci, u których diagnoza wad rozwojowych już została postawiona. Projekt wymaga weryfikacji zasadności opisanego podejścia. W szczególności należy jasno określić wartość dodaną, która ma zostać uzyskana dzięki realizacji programu polityki zdrowotnej w tak zdefiniowanej populacji docelowej i względem świadczeń gwarantowanych.

W projekcie nie przedstawiono kryteriów wykluczenia. Zaleca się uzupełnienie projektu o zapis, który dzieci pozostające pod opieką specjalistyczną udzielaną w ramach świadczeń gwarantowanych w związku z wykrytą wadą wrodzoną wyłączy z części programu poświęconej wykryciu wad wrodzonych i wydawaniu zaleceń dalszego postępowania (w programie nazywane „paszportem pacjenta” czy „wydaniem rekomendacji”).

Interwencja

W ocenianym projekcie zaplanowano przeprowadzenie konsultacji z konsylium specjalistów oraz diagnostyczne świadczenia zdrowotne dla noworodków i niemowląt. Działania diagnostyczne uzupełniać będzie edukacja rodziców, kampania informacyjna skierowana do ogółu społeczeństwa oraz organizacja konferencji dla personelu medycznego.

Konsultacje konsylium specjalistów

Dziecko do konsultacji w programie mogą zgłaszać: lekarz oddziałowy (pracujący na oddziale szpitalnym), lekarz prowadzący/lekarz specjalista z Poradni Specjalistycznej (neonatolog, pediatra, neurolog dziecięcy, kardiolog dziecięcy, chirurg dziecięcy, hematolog dziecięcy, nefrolog dziecięcy, endokrynolog dziecięcy, genetyk kliniczny i inni), lekarz POZ, pielęgniarka patronażowa, rehabilitant, neurologopeda oraz rodzice dziecka.

Pacjenci kwalifikowani do PPZ będą przypisywani do jednej z dwóch grup: noworodki/niemowlęta wymagające interwencji na oddziałach noworodkowych, oddziałach intensywnej terapii lub oddziałach o profilu pediatrycznym i wymagające długotrwałej hospitalizacji; oraz noworodki/niemowlęta wypisane po urodzeniu do domu pozostające pod opieką ambulatoryjną lekarza POZ, lekarza specjalisty/terapeuty w Poradni Specjalistycznej. Dla każdej z grup przewidziano ścieżkę diagnostyczną.

Konsylium przeprowadzi konsultacje, których celem będzie ustalenie procedur diagnostycznych oraz właściwego postępowania. Spotkania zespołu mają odbywać się raz w tygodniu. Na jednym spotkaniu omawiana będzie sytuacja średnio pięciu pacjentów. Dla każdego pacjenta wydawane będzie pisemne podsumowanie zaleceń oraz rekomendacji diagnostyczno-terapeutycznych konsylium, które nazywane jest w projekcie „kartą informacyjną” lub „paszportem pacjenta”. Obejmuje ono główne zalecenia, listę rekomendowanych konsultacji, rodzaj badań diagnostycznych, terapii oraz terminy pierwszych wizyt w poradni specjalistycznej. Zadaniem konsylium będzie wydanie sugestii lekarzowi zgłaszającemu/prowadzącemu oraz przekazanie informacji rodzicom/opiekunom pacjenta. W projekcie nie wskazano jakie dodatkowe korzyści dla procesu diagnostyczno-terapeutycznego ma wnieść realizacja programu, tj. w jakim zakresie interwencja pozwoli na uzyskanie efektów, które nie są uzyskiwane w ramach świadczeń gwarantowanych. Zawarty w ocenianym projekcie opis interwencji wskazuje na ryzyko realizacji świadczeń, które w istocie będą powielaty świadczenia gwarantowane.

Diagnostyka

Zaplanowano przeprowadzenie diagnostyki dzieci będących pod opieką ambulatoryjną z „grup defaworyzowanych” oraz dla dzieci „wymagających pilnych badań dodatkowych”. To ostatnie określenie jest nieprecyzyjne i wymaga skorygowania

Dla interwencji przedstawiono dodatkowe kryteria kwalifikacji, tj.: osoby z ubogiej rodziny będącej pod opieką terenowego Ośrodka Opieki Społecznej, zamieszkanie daleko od medycznych centrów specjalistycznych, niepełnosprawność u jednego z rodziców dziecka oraz przynależność do określonej grupy etnicznej, np. uchodźcy z Ukrainy, rodziny romskie. Jednocześnie zgodnie z treścią projektu badania diagnostyczne będą skierowane wyłącznie do dzieci z „grup defaworyzowanych”. Dodatkowo biorąc pod uwagę kryteria włączenia do PPZ, badaniom zostaną poddane osoby z rozpoznaną wadą rozwojową lub podejrzeniem zaburzenia rozwoju. Rozbieżności wymagają skorygowania.

Wskazano na przeprowadzenie następujących badań: USG serca, USG przeziemiączkowe, USG bioder, USG jamy brzusznej, specjalistyczne badanie okulistyczne oraz konsultacje specjalistyczne według zaleceń konsylium. W projekcie nie przedstawiono szczegółowych informacji o zaplanowanych badaniach diagnostycznych. Dostęp do każdego z wymienionych w projekcie świadczeń jest możliwy w ramach świadczeń gwarantowanych. W projekcie nie przedstawiono korzyści uzyskanych dzięki realizacji badań w programie dzięki opisanej interwencji, co wymaga uzupełnienia.

Konsultacje specjalistyczne

Po konsultacji i konkluzji konsylium w projekcie przewidziano konsultacje dla dzieci z rozpoznaniem wrodzonego zaburzenia neurorozwojowego: konsultację pielęgniarską, konsultację i diagnozę terapeutyczną po postawieniu rozpoznania lub równoległe do prowadzenia postępowania diagnostycznego oraz konsultacje psychologiczne w trakcie trwania procesu diagnostycznego i po postawieniu rozpoznania.

Działania edukacyjne

W programie mają być prowadzone działania edukacyjne: dla rodzin dzieci objętych diagnostyką, ogółu społeczeństwa oraz pracowników ochrony zdrowia. W projekcie nie odniesiono się do szczegółowego zakresu tematycznego działań edukacyjnych.

Dla specjalistów przewidziano dodatkowo organizację konferencji naukowych, w czasie których ma odbyć się m.in. szkolenie dotyczące komunikacji między personelem ochrony zdrowia a rodziną pacjenta. Zaplanowano sześć wykładów specjalistycznych (45 min/wykład), w tym wykład o charakterze warsztatu z komunikacji między personelem medycznym a rodzicami/opiekunami dziecka z wadą wrodzoną/zaburzeniem neurorozwoju. Po każdym wykładzie zarezerwowano 15 minut na dyskusję.

W budżecie wskazano także na konferencję zorganizowaną dla rodziców i opiekunów. Podobnie jak w przypadku konferencji dla specjalistów, zaplanowano sześć wykładów specjalistycznych (45 min/wykład) oraz po każdym wykładzie 15 minutową dyskusję.

Monitorowanie i ewaluacja

Monitorowanie jest procesem gromadzenia danych o realizacji programu i uzyskiwanych efektach. Ewaluacja przeprowadzana jest po zakończeniu programu i odnosi się do stopnia realizacji celów.

W projekcie założono monitorowanie zgłaszalności. Jest to podejście poprawne, wymagające jednak rozszerzenia o informacje na temat efektów interwencji (gromadzenie, weryfikacja, analiza).

Przewidziano ocenę jakości świadczeń z wykorzystaniem ankiety satysfakcji. Jest to rozwiązanie poprawne.

Ewaluacja programu powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu, co zostało uwzględnione. Z uwagi na konieczność wprowadzenia zmian w projekcie w zakresie celów i mierników efektywności niezbędne może okazać się następcze dostosowanie zapisów opisujących monitorowanie i ewaluację.

Warunki realizacji

Projekt zawiera opis etapów i podejmowanych w nich działań. Ogólny opis etapów nie budzi zastrzeżeń, ale wymaga zmiany i uszczegółowienia, ponieważ opisy niektórych etapów budzą zastrzeżenia.

Odniesiono się do warunków realizacji dotyczących personelu. Zapisy są ogólne i nie pozwalają na jednoznaczne przypisanie roli w konkretnej interwencji. Zidentyfikowano także rozbieżności w zapisach, tj. choć wskazano na konieczność zapewnienia wsparcia psychologa dla kobiety ciężarnej z rozpoznaniem wady rozwojowej płodu, to w innych częściach projektu nie odniesiono się do tej kwestii. Nie przedstawiono wymogów dotyczących wyposażenia i warunków lokalowych. Omawiana część projektu wymaga dopracowania. W szczególności należy przedstawić jasne kryteria, na podstawie których przygotowany zostanie konkurs ofert na realizatora programu. Dodatkowego komentarza w projekcie wymaga także zaangażowanie konsultantów wojewódzkich oraz zasad, na jakich będą współpracowali z wyłonionym realizatorem programu.

Realizator ma zostać wyłoniony w drodze konkursu ofert, co pozostaje w zgodzie z przepisami ustawy. Jednocześnie w innych częściach projektu wskazano, że w trybie konkursowym zostanie wybrany ośrodek koordynujący oraz koordynator programu. Zapisy ocenianego projektu nie wyjaśniają z jakiego powodu koordynator programu ma zostać wybrany niezależnie od realizatora, którym jest ośrodek koordynujący. Podobnie jak w przypadku warunków realizacji, wskazane jest dopracowanie omawianej części projektu.

Zaplanowano przeprowadzenie promocji programu w szpitalach, poradniach specjalistycznych oraz poradniach rehabilitacyjnych. Poza uwzględnieniem kosztów w budżecie, nie przedstawiono żadnych dalszych informacji. Z uwagi na brak informacji o planowanych formach komunikacji, ocena podejścia nie była możliwa. Projekt należy uzupełnić o opis sposobu dotarcia z komunikatem do szerokiego grona odbiorców.

W projekcie programu przedstawiono następujące koszty: badanie USG kardiologiczne – 150 zł, badanie USG przezciężarkowe – 120 zł, badanie USG bioder – 100 zł, badanie USG jamy brzusznej – 120 zł, badanie wzroku – 150 zł, konsultacja lekarska – 150 zł, konsultacja pielęgniarska – 100 zł, konsultacja psychologiczna – 150 zł, konsylium specjalistów – 500 zł/specjalista, wynagrodzenie dla koordynatora – 4 000 zł brutto/msc, organizacja konferencji – 20 000 zł/konferencja, szkolenie realizatorów programu – 18 000 zł, strona internetowa – 10 000 zł, materiały informacyjne dla placówek medycznych – 10 zł/szt., materiały informacyjne dla rodziców – 9,6 zł/szt., przygotowanie ankiety satysfakcji i paszportu pacjenta – 0,2 zł/szt., ewaluacja – 4 000 zł oraz administracja – 10 000 zł.

W projekcie programu należy doprecyzować, czy ww. koszty są kosztami jednostkowymi.

Ponadto, w budżecie w kosztach jednostkowych wskazano na przeprowadzenie trzech konferencji, zaś w kosztach całkowitych jedynie dwóch konferencji. Rozbieżność wymaga skorygowania.

Całkowity koszt programu oszacowano na 3 066 000 zł.

Program będzie finansowany ze środków budżetu województwa dolnośląskiego.

Wnioski z oceny technologii medycznej przeprowadzonej przez Agencję

Problem zdrowotny

Termin wrodzona wada rozwojowa obejmuje powstającą w okresie życia wewnątrzmacicznego i obecną przy urodzeniu, wewnętrzną lub zewnętrzną nieprawidłowość morfologiczną. Termin ten stosowany jest niezależnie od etiologii wady, jej patogenezy, jak również momentu rozpoznania. Dotyczy więc to także nieprawidłowości morfologicznych obecnych przy urodzeniu, nawet jeśli w tym okresie nie są one wykrywalne.

Alternatywne świadczenia

Świadczenia dotyczące profilaktyki dysplazji stawu biodrowego stanowią część gwarantowanych świadczeń lekarza podstawowej opieki zdrowotnej (POZ), kontraktowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia. Świadczenia te określone są w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 24 września 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej (Dz. U. z 2021 r. poz. 540 z późn. zm.), dotyczących warunków realizacji porad patronażowych oraz badań bilansowych, w tym badań przesiewowych. Zgodnie z ww. dokumentem w POZ możliwe jest wykonanie u noworodka podczas porady patronażowej w 1-4 tygodniu życia badania podmiotowego i przedmiotowego, z uwzględnieniem rozwoju fizycznego, pomiaru i monitorowania obwodu głowy, oceny żółtaczki, podstawowej oceny stanu neurologicznego oraz badania przedmiotowego w kierunku wykrywania wrodzonej dysplazji stawów biodrowych. Ponadto w 2-6 miesiącu życia również w ramach porady patronażowej i badania bilansowego w tym badania przesiewowego, przewidziane jest badanie przedmiotowe w kierunku wykrywania wrodzonej dysplazji stawów biodrowych.

W ambulatoryjnej opiece specjalistycznej oraz leczeniu szpitalnym świadczenia gwarantowane obejmują procedury: echokardiografii (88.721), USG stawów biodrowych (88.797), USG przeziemiączkowego (88.718) oraz USG brzucha i przestrzeni zaotrzewnowej (88.761).

W Polsce realizowany jest program polityki zdrowotnej pn. „Rządowy program badań przesiewowych noworodków w Rzeczypospolitej Polskiej na lata 2019-2022”. Jest skierowany do wszystkich dzieci urodzonych w Rzeczypospolitej Polskiej, bez względu na narodowość opiekunów prawnych oraz status ubezpieczenia. Wykonywane są badania przesiewowe w kierunku wybranych chorób genetycznych.

Ocena technologii medycznej

- Wszystkie noworodki, niezależnie od obecności czynników ryzyka, muszą być objęte programem badań przesiewowych w kierunku rozwojowej dysplazji stawu biodrowego, który przewiduje wykonanie badania USG bioder między 4 a 6 tygodniem życia (Agostiniani 2020).
- Badanie USG jest zalecane w wieku od 4 tygodni do 6 miesięcy (ACR 2019, ASUM 2019, RACGP 2021, AAOS 2015).
- W jednym z badań stwierdzono, że ultrasonografia uniwersalna w porównaniu z samym badaniem klinicznym nie spowodowała istotnego zmniejszenia późno zdiagnozowanej rozwojowej dysplazji stawu biodrowego (RR 0,54 [95% CI: (0,19;1,59)]) lub zabiegu chirurgicznego (RR 0,22 [95% CI: (0,01;4,52)]), ale była związana z istotnym wzrostem leczenia (RR 1,88 [95% CI: (1,41;2,51)]; RD 0,01 [95% CI: (0,01;0,02)]; NNT100) (Shorter 2011).
- Wytyczne Polskiego Towarzystwa Okulistycznego i Polskiego Towarzystwa Pediatrycznego (PTO/PTP 2020) wskazują na zasadność wykonywania badań przesiewowych u dzieci związanych z wiekiem. W 6-9 tygodniu życia zalecane jest wykonanie badań: ocena zewnętrzna powiek oraz gałek ocznych, test czerwonych odblasków z dna oka, ocena drożności dróg łzowych, ocena zdolności fiksacji, ocena reakcji źrenic na światło. W 6-9 miesiącu życia: test refleksów świetlnych Hirschberga, test czerwonych odblasków z dna oka, ocena drożności dróg łzowych, ocena zdolności fiksacji, ocena reakcji źrenic na światło.
- *UK National Screening Committee* rekomenduje przeprowadzanie systematycznych badań przesiewowych w kierunku wad wzroku wśród dzieci w wieku 4-5 lat (UK NSC 2019).
- Wyniki przeglądu systematycznego z metaanalizą (33 badania, n= 7859) wskazują na stosunkowo niski odsetek dzieci i młodzieży przestrzegających noszenia okularów przepisanych z powodu wykrycia wady refrakcji wzroku. Zgodność z zaleceniami dotyczącymi noszenia okularów wyniosła 40,14% [95% CI (32,78-47,50)]. Zgodność wahała się od 9,84% [(95% CI (2,36-17,31))] do 78,57% [(95% CI (68,96-88,18))]. Zgodność uzyskana w analizie wrażliwości wyniosła 40,09%. Wydaje się, że problem ten można rozwiązać poprzez behawioralną motywację dzieci, rodziców i społeczeństwa (Dhirar 2020).

- Wyniki uzyskane w badaniu typu RCT z udziałem 1 243 dzieci w wieku 3-5 lat wskazują, że rozszerzona edukacja rodziców dzieci lub/i ich opiekunów przedszkolnych podczas badania przesiewowego może zwiększyć odsetek dzieci uczestniczących w wizytach kontrolnych. Odsetek obserwacji po wykonaniu pełnego badania wzroku wyniósł 75,3% (438/582) w grupie otrzymującej edukację rozszerzoną w porównaniu z 65,1% (430/661) w grupie otrzymującej opiekę standardową (OR 1,63 [95% CI (1,28-2,09)], P <0.001) (Merhavarani 2018).

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, opiniuję, jak na wstępie.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r. poz. 1285, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.431.63.2022 „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania wad rozwojowych u noworodków i niemowląt – poprawa opieki perinatalnej na terenie Województwa Dolnośląskiego” realizowany przez: województwo dolnośląskie, data ukończenia: listopad 2022; aneksu do raportów szczegółowych „Programy profilaktyki następstw dysplazji stawu biodrowego – wspólne podstawy oceny” z lipca 2021 r.; aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r., raportem nr OT.431.110.2021 z grudnia 2021 r. oraz opinii Rady Przejrzystości nr 160/2022 z dnia 7 listopada 2022 roku o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania wad rozwojowych u noworodków i niemowląt – poprawa opieki perinatalnej na terenie Województwa Dolnośląskiego”.