



**Opinia Prezesa**  
**Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji**  
**nr 75/2024 z dnia 25 października 2024 r.**  
**o projekcie programu polityki zdrowotnej**  
**„Program polityki zdrowotnej wczesnej diagnostyki zaburzeń**  
**neurorozwojowych w populacji dzieci w wieku 0-7 lat w pieczy**  
**zastępczej w województwie lubuskim”**

Po zapoznaniu się z opinią Rady Przejrzystości **negatywnie** opiniuję projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej wczesnej diagnostyki zaburzeń neurorozwojowych w populacji dzieci w wieku 0-7 lat w pieczy zastępczej w województwie lubuskim”.

**Uzasadnienie**

Pomimo istotności problemu zdrowotnego będącego przedmiotem projektu programu oraz zgodności zaplanowanych interwencji z wytycznymi klinicznymi, opiniowany projekt programu zawiera szereg braków, a wiele elementów programu wymaga istotnego uzupełnienia i doprecyzowania, w związku z czym nie jest możliwa jego pozytywna ocena.

Nie przedstawiono poprawnie sformułowanego żadnego celu oraz miernika efektywności odnoszącego się do celów programu, co uniemożliwia poprawną ocenę efektów programu.

W projekcie programu zaplanowano kompleksową diagnostykę w kierunku zaburzeń neurorozwojowych realizowaną w pięciu etapach. Część wskazanych narzędzi diagnostycznych jest powielana na różnych poziomach, bez określenia uzasadnienia dla powtórnego wykonania badań. Ponadto nie określono zasad dostępności konsultacji opcjonalnych w ramach III etapu.

Przedstawiono kryteria włączenia i wyłączenia, jednak nie uwzględniono w nich wcześniejszej diagnozy zaburzeń neurorozwojowych oraz nie odniesiono się do sposobu weryfikacji kryteriów kwalifikacji do udziału w programie.

Dodatkowo w projekcie nie uwzględniono m.in. akcji informacyjnej w etapach realizacji programu i wymagań względem części personelu realizującego konsultacje. Pozostałe uwagi zostały zawarte w dalszej części opinii.

Reasumując, opiniowany projekt zawiera szereg nieprawidłowości oraz brak w nim istotnych elementów, które nie pozwolą na realizację programu o możliwie najwyższej jakości.

## Przedmiot opinii

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej w zakresie diagnostyki zaburzeń neurorozwojowych wśród dzieci w pieczy zastępczej z województwa lubuskiego. Program ma być realizowany w latach 2025-2027. Koszt całkowity realizacji programu wynosi 5 088 534 zł.

Opinia Prezesa Agencji została przygotowana w oparciu o ocenę technologii medycznej proponowanej w ramach 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 2024 r. poz. 146, 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

Oceniany projekt odnosi się do istotnego problemu zdrowotnego jakim są zaburzenia neurorozwojowe, w tym zaburzenia ze spektrum autyzmu (ASD, ang. *autism spectrum disorders*), czy spektrum płodowych zaburzeń alkoholowych (FASD, ang. *fetal alcohol spectrum disorders*).

W treści projektu przedstawiono światowe, ogólnopolskie oraz regionalne dane epidemiologiczne korespondujące z wybranym problemem zdrowotnym.

Odniesiono się do Mapy Potrzeb Zdrowotnych na lata 2022-2026 wskazując, że: „w 2022 roku 6 267 dzieci w wieku 0-12 lat zostało objęte opieką psychiatryczną i leczeniem uzależnień, w tym 1 362 korzystało z pomocy specjalistów w placówkach dla dorosłych”.

Zgodnie z informacjami zawartymi w MPZ wśród rekomendowanych kierunków działań dla województwa lubuskiego wskazano m.in. „poprawę jakości i dostępności do usług z zakresu leczenia psychiatrycznego dla dzieci i młodzieży poprzez realizację wytycznych zawartych w Narodowym Programie Ochrony Zdrowia Psychicznego oraz standardów opieki psychiatrycznej dla dzieci i młodzieży w ramach trzech poziomów referencyjnych”.

### Cele i efekty programu

Celem głównym programu jest „kompleksowa diagnostyka zaburzeń neurorozwojowych u minimum 978 dzieci w wieku 0-7 lat przebywających w pieczy zastępczej w województwie lubuskim w okresie realizacji Programu”. Cel główny został sformułowany w postaci działania, co nie jest podejściem prawidłowym. Ponadto diagnoza zaburzeń neurorozwojowych nie jest równoznaczna z uzyskaniem efektu zdrowotnego.

W treści projektu programu zaproponowano następujące cele szczegółowe:

(1) „uzyskanie indywidualnej, kompleksowej diagnozy neurorozwojowej u 80% dzieci z pieczy zastępczej podczas trwania Programu”;

(2) „zwiększenie o co najmniej 5% identyfikacji dzieci z pieczy zastępczej w wieku 0-7 z ryzykiem rozwoju zaburzeń neurorozwojowych oraz prewencja rozwoju powikłań”;

(3) „zwiększenie szans na niwelację niedoborów i dysfunkcji neurorozwojowych dzieci z pieczy zastępczej poprzez opracowanie dla każdego zdiagnozowanego dziecka zindywidualizowanej ścieżki dalszego postępowania/leczenia – minimum 80% dzieci”;

(4) „wzrost wiedzy na temat ścieżki dalszego postępowania/leczenia i opieki nad dzieckiem z zaburzeniami neurorozwojowymi oraz wzrost umiejętności poruszania się między instytucjami systemu ochrony zdrowia wśród rodziców/opiekunów prawnych dzieci z diagnozą – minimum 80% rodziców/opiekunów prawnych”.

Cele szczegółowe powinny odnosić się do skutków zastosowania interwencji, stanowić uzupełnienie celu głównego, zaś 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. Każdy z celów powinien zawierać wartość docelową, do osiągnięcia której dąży realizacja programu, a w treści projektu powinno znaleźć się uzasadnienie dla przyjętych wartości.

Cel szczegółowy nr 1 wskazuje na działanie, tym samym nie został sformułowany prawidłowo. Ponadto stanowi powielenie celu głównego i nie odnosi się do oczekiwanego efektu zdrowotnego. Cel nr 2 składa się z dwóch odrębnych założeń, z czego pierwsze wskazujące na zwiększenie identyfikacji dzieci z ryzykiem zaburzeń neurorozwojowych co nie stanowi efektu zdrowotnego, natomiast drugie założenie wskazuje na działanie. Cel szczegółowy nr 3 również nie odnosi się do efektu zdrowotnego. Cel nr 4 został także nieprawidłowo sformułowany – składa się z dwóch odrębnych założeń. Wzrost wiedzy i umiejętności rodziców wydaje się możliwy do osiągnięcia poprzez zaplanowane w projekcie działania edukacyjne. Niemniej prawidłowo zaplanowana akcja edukacyjna powinna zakończyć się wzrostem lub utrzymaniem wysokiego poziomu wiedzy u wszystkich osób uczestniczących w działaniach edukacyjnych oraz pomiaru tego wzrostu za pomocą pre- i post-testów, których nie zaplanowano w projekcie. Należałoby również zdefiniować pożądaną wartość wzrostu wiedzy/umiejętności uczestników (np. o 30%) oraz poziom zdawalności testu wiedzy (np. 75% poprawnych odpowiedzi). Ponadto, nie doprecyzowano w projekcie „wzrostu umiejętności”. Mając na względzie powyższe, ten element programu wymaga uzupełnienia i doprecyzowania.

W treści projektu programu zaproponowano następujące mierniki efektywności:

- (1) „odsetek dzieci w wieku 0-7 lat z pieczy zastępczej, które dzięki konsultacjom założonym w Programie uzyskały indywidualną, kompleksową diagnostykę zaburzeń neurorozwojowych lub ich braku – liczba kompleksowych diagnoz”;
- (2) „zdiagnozowanie wady/wad neurorozwojowych u co najmniej 5% przebadanych dzieci z pieczy zastępczej – liczba diagnoz potwierdzających wady neurorozwojowe w stosunku do liczby dzieci objętych wsparciem”;
- (3) „liczba opracowanych na podstawie diagnoz zindywidualizowanych ścieżek dalszego postępowania/leczenia w ramach NFZ – załącznik nr 4”;
- (4) „liczba rodziców/opiekunów prawnych przeszkolonych w zakresie zindywidualizowanej ścieżki dalszego postępowania/leczenia dziecka z zaburzeniami neurorozwojowymi oraz posiadających umiejętności poruszania się między instytucjami systemu ochrony zdrowia po zakończeniu udziału w Programie – załącznik nr 5”.

Mierniki efektywności powinny umożliwiać obiektywną i precyzyjną ocenę stopnia realizacji wyznaczonych celów oraz powinny być istotnym odzwierciedleniem zdarzeń lub faktów występujących w danym programie, wyrażonych w odpowiednich jednostkach miary. Mierniki muszą dotyczyć rezultatów, nie zaś podjętych działań.

Przedstawione mierniki zostały sformułowane nieprawidłowo, nie spełniając swojej funkcji. Niemniej miernik nr 1 może zostać wykorzystany podczas monitorowania zgłaszalności, a mierniki nr 2 i 3 mogą stanowić wskaźniki ewaluacji. Miernik nr 4 w części dotyczącej liczby rodziców/opiekunów prawnych, którzy zostali przeszkoleni mógłby zostać wykorzystany w ramach monitorowania zgłaszalności. Należy jednak zaznaczyć, że w projekcie nie zaplanowano pomiaru umiejętności posiadanych przez rodziców/opiekunów dzieci uczestniczących w programie. W związku z powyższym zapisy dotyczące mierników należy zweryfikować i skorygować.

#### Populacja docelowa

Działania realizowane w ramach programu skierowane będą do dzieci w wieku od 0. do 7 r.ż., objętych pieczą zastępczą (zarówno instytucjonalną jak i rodzinną) i mieszkających na terenie województwa

lubuskiego oraz do ich opiekunów prawnych (rodzice zastępczy i adopcyjni oraz opiekunowie z pieczy instytucjonalnej – w zakresie działań edukacyjnych).

W programie interwencją zostanie objętych minimum 978 dzieci w 3-letnim okresie jego realizacji. Należy jednak wskazać, że dzieci poddane diagnostyce w danym roku, nie musiałyby być diagnozowane ponownie w kolejnym latach, tym samym wskazana liczba dzieci może być przeszacowana. Ponadto nie odniesiono się do liczby opiekunów, którzy zostaną objęci działaniami edukacyjnymi, co wymaga uzupełnienia.

W projekcie przedstawiono kryteria włączenia i wyłączenia, jednak nie uwzględniono wcześniejszej diagnozy zaburzeń neurorozwojowych. Ponadto, w projekcie nie odniesiono się do sposobów weryfikacji ww. kryteriów, z wyłączeniem kryterium miejsca zamieszkania.

### Interwencja

W ramach programu planowane jest przeprowadzenie pięciu etapów.

#### *I etap - Kwalifikacja do programu*

Zgodnie z treścią projektu, kwalifikację dzieci do programu przeprowadzać będzie „opiekun medyczny”, do zadań którego należeć będzie również m.in. uczestnictwo w pozostałych etapach programu, uczestnictwo w konsyliach i prowadzenie dokumentacji uczestnika, w tym wypełnianie „Karty przebiegu dziecka w Programie”.

W projekcie nie przedstawiono szczegółowych informacji w zakresie kompetencji ww. opiekuna. Wskazano jedynie, że będzie on lekarzem medycyny „posiadającym specjalistyczną wiedzę”.

#### *II etap – Konsultacje psychologiczno-pedagogiczne*

W II etapie zaplanowano:

- konsultacje psychologiczne (diagnostyka w kierunku czynników ryzyka wad neurorozwojowych),
- konsultacje z terapeutą terapii sensorycznej (diagnostyka zaburzeń sensorycznych),
- konsultacje neurologopedyczne (diagnoza neurologopedyczna),
- konsylium podsumowujące II etap (z udziałem trzech ww. specjalistów);

Podczas konsultacji psychologicznych zostaną wykorzystane narzędzia diagnostyczne (z wyjątkiem MFDR), które są wydawane przez Pracownię Testów Psychologicznych Polskiego Towarzystwa Psychologicznego lub Pracownię Testów Psychologicznych i Pedagogicznych.

W ramach konsultacji przeprowadzona zostanie szczegółowa diagnostyka zaburzeń sensorycznych w zakresie kluczowych aspektów integracji sensorycznej. Wskazano również metody diagnostyczne możliwe do zastosowania podczas konsultacji w zakresie terapii sensorycznej, niemniej nie sprecyzowano rodzajów testów i skal, które pomagają zmierzyć i ocenić funkcjonowanie integracji sensorycznej pacjenta. Powyższa kwestia wymaga uzupełnienia.

Konsultacje neurologopedyczne obejmować będą badania sprawności aparatu artykulacyjnego oraz przebiegu funkcji fizjologicznych w jego obrębie.

Na zakończenie II etapu przeprowadzone zostanie konsylium podsumowujące, w ramach którego specjaliści zdecydują o kwalifikacji uczestnika do diagnostyki specjalistycznej (w ramach kolejnego etapu programu) lub o braku konieczności kierowania dziecka do dalszej diagnozy i zakończeniu jego uczestnictwa w programie.

#### *III etap – Konsultacje medyczne*

W ramach III etapu zaplanowano:

- konsultacje psychiatryczną wstępną oraz konsultację psychiatryczną podsumowującą wyniki badań,
- konsultacje neurologiczną,
- konsultacje neuropsychologiczną,
- konsultacje opcjonalne (dietetyczna i fizjoterapeutyczna).

Należy podkreślić, że część narzędzi diagnostycznych w ramach konsultacji neuropsychologicznej została wcześniej wskazana podczas konsultacji psychologicznej w II etapie (tj. badanie ADOS-2, ustrukturyzowany wywiad ADI-R oraz MFDR). Nie przedstawiono uzasadnienia dla powtórnego wykonania ww. badań.

W projekcie nie określono zasad dostępności konsultacji opcjonalnych, tj. dietetycznej i fizjoterapeutycznej, co wymaga doprecyzowania.

#### *IV etap – Konsylium końcowe*

W ramach IV etapu zaplanowano przeprowadzenie konsylium końcowego z udziałem specjalistów zaangażowanych w realizację III etapu programu oraz postawienie ostatecznej diagnozy i opracowanie zindywidualizowanej ścieżki dalszego postępowania/leczenia w formie zaleceń dla rodziców/opiekunów prawnych.

#### *V etap – Działania edukacyjne*

W V etapie programu zaplanowano działania edukacyjne skierowane do opiekunów prawnych dzieci (rodziców zastępczych, adopcyjnych i opiekunów z pieczy instytucjonalnej) w formie indywidualnych konsultacji ze „specjalistą zaangażowanym w realizację II etapu programu”. Zgodnie z treścią projektu, w ramach ww. konsultacji opiekunom przedstawione zostaną dostępne oraz zgodne z wypracowaną ścieżką leczenia metody terapii, a także omówione zostaną ich założenia teoretyczne, skuteczność oraz dostępność.

#### Monitorowanie i ewaluacja

Monitorowanie i ewaluacja są istotnymi elementami programu, które umożliwiają bieżącą ocenę jego przebiegu oraz określenie wpływu programu na sytuację społeczną i zdrowotną w perspektywie wieloletniej. Monitorowanie jest procesem zbierania danych o realizacji programu i służy kontrolowaniu ich przebiegu i postępu.

Ocena zgłaszalności do programu prowadzona będzie na podstawie wskaźników: „*liczby dzieci, które wzięły udział w Programie*” oraz „*liczby uczestników, którzy rozpoczęli udział w Programie, lecz go nie ukończyli wraz z podaniem przyczyny tej sytuacji*”. Należy zaznaczyć, że przedstawione wskaźniki zostały zaprojektowane prawidłowo.

Ocena jakości świadczeń w programie dokonana zostanie na podstawie analizy wyników ankiet satysfakcji skierowanych do rodziców/opiekunów dzieci uczestniczących w programie oraz analizy pisemnych uwag i opinii rodziców/opiekunów dotyczących realizacji programu. Do projektu programu załączone wzór ankiety, do którego nie ma zastrzeżeń.

Ocena efektywności programu będzie dokonywana na podstawie przedstawionych w projekcie mierników efektywności. Niemniej jedynie wskaźnik w zakresie „*liczby opracowanych na podstawie diagnoz zindywidualizowanych ścieżek dalszego postępowania/leczenia w ramach NFZ – załącznik nr 4*” może zostać wykorzystany w ramach ewaluacji. Ponadto, w przypadku wskaźnika dotyczącego „*zdiagnozowania wady/wad neurorozwojowych u co najmniej 5% przebadanych dzieci z pieczy zastępczej – liczba diagnoz potwierdzających wady neurorozwojowe w stosunku do liczby dzieci objętych wsparciem*” – część dotycząca liczby diagnoz potwierdzających wady neurorozwojowe w stosunku do liczby dzieci objętych wsparciem może również zostać wykorzystana w ramach

wskaźników ewaluacji. Tym samym kwestia mierników efektywności wymaga uzupełnienia. Należy zaznaczyć, że ewaluacja programu powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu, co zostało uwzględnione w projekcie programu.

#### Warunki realizacji

Projekt zawiera opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu, niemniej nie uwzględnia akcji informacyjnej. Przedstawiono informacje dotyczące personelu, wyposażenia i warunków lokalowych.

Realizatorem programu będzie podmiot, wyłoniony w drodze konkursu ofert, co pozostaje w zgodzie z zapisami ustawowymi.

Przedstawiono opis sposobu informowania o możliwości uczestnictwa w programie.

Program finansowany będzie ze środków Unii Europejskiej oraz z dofinansowania ze środków Budżetu Państwa, a także z wkładu własnego Województwa Lubuskiego. Koszty całkowite oszacowano na 5 088 534 zł.

### **Wnioski z oceny technologii medycznej przeprowadzonej przez Agencję**

#### Problem zdrowotny

Pojęcie zaburzeń neurorozwojowych odnosi się do nieprawidłowej czynności mózgu pojawiającej się już we wczesnym okresie życia człowieka i może dotyczyć zarówno komórek nerwowych, synaps, obwodów neuronalnych, a nawet całych sieci w obrębie ośrodkowego układu nerwowego (OUN). Pierwsze objawy ujawniają się zwykle w pierwszych latach życia, natomiast znaczenia klinicznego nabierają dopiero, gdy pojawiają się wyzwania rozwojowe, którym należy sprostać. Zgodnie z aktualną klasyfikacją Diagnostic and Statistical Manual of Mental Disorders (DSM-V) przyjętą przez Amerykańskie Towarzystwo Psychiatryczne, do zaburzeń neurorozwojowych zalicza się niepełnosprawność intelektualną, zaburzenia ze spektrum autyzmu (z ang. *Autism Spectrum Disorders*, ASD), zespół nadruchości, specyficzne zaburzenia umiejętności szkolnych i zaburzenia tikowe.

#### *Zaburzenia ze spektrum autyzmu (ASD)*

Objawy i etiologia danego zaburzenia są zróżnicowane. Wskazuje się, że ASD ma mocne podłoże genetyczne, ale nie wyklucza się również wpływu czynników biologicznych i środowiskowych. Istnieje wiele teorii opisujących mechanizmy kształtowania się zaburzeń autystycznych.

Wśród głównych czynników ryzyka wymienia się: płeć męską, historię ASD w rodzinie, zaawansowany wiek ojca (powyżej 40 roku życia), zaawansowany wiek matki (powyżej 35 r.ż., natomiast granica ta z roku na rok ulega przesunięciu), poród przedwczesny, niska masa urodzeniowa, narażenie wewnątrzmaciczne na sól semisodową kwasu walproinowego.

W spektrum zaburzeń autystycznych (ASD) objawy są bardzo zróżnicowane i u potencjalnego chorego manifestują się w indywidualny sposób. Należy podkreślić, że mają tendencję do nasilania się w pewnych sytuacjach, ale wraz z wiekiem mogą się zmieniać.

#### *Spektrum płodowych zaburzeń alkoholowych (FASD)*

Spektrum płodowych zaburzeń alkoholowych (FASD, ang. *fetal alcohol spectrum disorders*) opisuje fizyczne i umysłowe wady wrodzone, będące wynikiem działania alkoholu etylowego na rozwijające się w łonie matki dziecko (tzw. prenatalna ekspozycja na alkohol, ang. *prenatal alcohol exposure* – PAE).

W piśmiennictwie występuje wiele zróżnicowanych jednostek diagnostycznych, które zalicza się do FASD. Są to np.: płodowy zespół alkoholowy (ang. *fetal alcohol syndrome* – FAS), częściowy płodowy zespół alkoholowy (ang. *partial fetal alcohol syndrome* – pFAS), zaburzenia neurorozwojowe związane z prenatalną ekspozycją na alkohol (ang. *alcohol-related neurodevelopmental disorder* – ARND),

poalkoholowe defekty urodzeniowe (ang. *alcohol-related birth defects* – ARBD), wady wrodzone związane z prenatalnym narażeniem na alkohol.

W Polsce, zespół działający przy Państwowej Agencji Rozwiązywania Problemów Alkoholowych (PARPA) w ramach FASD wyróżnia:

- FAS (Q86.0 zgodnie z klasyfikacją ICD-10),
- zaburzenia neurorozwojowe związane z prenatalną ekspozycją na alkohol (ang. *neuro-developmental disorders associated with prenatal alcohol exposure* – ND-PAE) (G96.8 zgodnie z ICD-10).

#### Alternatywne świadczenia

Zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 19 czerwca 2019 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu opieki psychiatrycznej i leczenia uzależnień (Dz.U. 2019 poz. 1285 z późn. zm.), świadczenia gwarantowane udzielane są dzieciom i młodzieży w warunkach stacjonarnych, dziennych, ambulatoryjnych, a także w ramach poziomów referencyjnych (I poziom: zespół środowiskowej opieki psychologicznej i psychoterapeutycznej dla dzieci i młodzieży oraz ośrodki środowiskowej opieki psychologicznej i psychoterapeutycznej dla dzieci i młodzieży; II poziom: centrum zdrowia psychicznego dla dzieci i młodzieży – poradnia zdrowia psychicznego; III poziom – ośrodek wysokospecjalistycznej całodobowej opieki psychiatrycznej).

Warto zaznaczyć, że zgodnie z zapisami ww. rozporządzenia w Polsce realizowane są turnusy rehabilitacyjne, nie częściej niż raz na rok, w ramach m.in. świadczeń gwarantowanych psychiatrycznych ambulatoryjnych dla dorosłych oraz dzieci i młodzieży, leczenia nerwic oraz świadczeń gwarantowanych dla osób z autyzmem dziecięcym lub innymi całościowymi zaburzeniami rozwoju, realizowanych w warunkach ambulatoryjnych psychiatrycznych i leczenia środowiskowego (domowego).

Ponadto zgodnie z zapisami Rozporządzenia MZ w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej, w Polsce realizowane są porady patronażowe i badania bilansowe (w tym przesiewowe), dla dzieci do 2 roku życia celem podstawowej oceny stanu neurologicznego, fizycznego i psychomotorycznego, jak również przeprowadzenia testu rozwoju reakcji słuchowych oraz oceny rozwoju mowy.

#### Ocena technologii medycznej

##### *Podsumowanie odnalezionych dowodów naukowych/ wytycznych*

#### **Zaburzenia ze spektrum autyzmu (ASD)**

##### Narzędzie przesiewowe/diagnostyczne w kierunku ASD:

- Zarówno narzędzia M-CHAT, jak i M-CHAT-R/F, przy uwzględnieniu całej procedury przeprowadzenia wywiadu, wykazały dodatnią wartość predykcyjną rzędu 50% w ramach praktyki dla dzieci od 16 do 30 miesiąca życia. Wczesne interwencje z zastosowaniem danych kwestionariuszy podkreślały znaczącą poprawę wyników w zakresie funkcji poznawczych i językowych dzieci z ASD w stosunku do standardowego leczenia. Nie znaleziono jednak żadnych badań, które bezpośrednio porównują długoterminowe wyniki dzieci poddanych badaniu przesiewowemu i dzieci nie uwzględnionych w przesiewie. Potrzebne są dalsze badania w celu określenia korzyści i szkód w zakresie badania ogólnej populacji (McPheeters 2016).

##### Trening umiejętności kluczowych (PRT) oraz trening JAML:

- Wyniki pochodzące ze schematów eksperymentalnych z wykorzystaniem pomiaru kilku poziomów wyjściowych zachowania (*multiple baseline design*) wskazywały na poprawę w zakresie społecznego zaangażowania i zachowań komunikacyjnych dzieci (niemowląt) zaraz po zastosowanej interwencji PRT oraz JAML (Bradshaw 2014).

- Modele behawioralne w pełniejszym stopniu niż ustrukturalizowane wspierają komunikacyjno-społeczne aspekty rozwoju. Trening PRT jest dość skuteczną interwencją w uczeniu się zróżnicowanych zachowań przez dzieci z ASD (Bozkus-Genc 2016).

Interwencje wspomagane przez rówieśników (PMI) lub przez rodzeństwo:

- Stwierdzono, że uczestnicy interwencji PMI wzbogacają swoje umiejętności społeczne zaraz po jej zastosowaniu. PMI powinno być wdrażane w szkołach, gdyż w tego typu warunkach może osiągnąć znaczące korzyści dla danej populacji w zakresie społecznych interakcji i komunikacji. Wielkość badanych efektów terapeutycznych była różna w zależności od oczekiwanego wyniku społecznego i wahała się od  $d=0,23$  do  $d=0,74$ . PMI w zakresie zmian w świadomości społecznej miała najmniejszy efekt terapeutyczny, natomiast największy dotyczył ogólnych umiejętności społecznych dzieci z ASD. Interwencje za pośrednictwem rówieśników są jedną z najbardziej obiecujących metod interwencji mających na celu rozwiązywanie problemów w kierunku umiejętności społecznych (Chang 2016).
- Wyniki przeglądu Shivers 2014 wskazują, że interwencje indywidualne z rodzeństwem dzieci z ASD uwzględniających rolę rodzeństwa jako modelu lub instruktora, mogą prowadzić do pozytywnych wyników w zakresie różnych umiejętności pacjentów z ASD, np. wzrostu liczby pożądaných odpowiedzi na zabawę, zainteresowania grą czy współpracą, ale i spontanicznych wypowiedzi dzieci z ASD, czy też zwiększenia reakcji i odpowiedzi w interakcjach społecznych oraz poprawę uwagi i zachowań.

Interwencje behawioralne i rozwojowe wpływające na komunikację werbalną:

- Zgodnie z przeglądem Hampton 2016, wczesna interwencja w kierunku komunikacji werbalnej dzieci z ASD w porównaniu ze zwykłym leczeniem, wpływa na poprawę wyników w zakresie wykorzystywania języka mówionego i wykazuje średnią wielkość efektu  $g=0,26$ , natomiast największy efekt odnotowano dla interwencji wdrażanych we współpracy klinicystów z rodzicami dzieci ( $g=0,42$ ).

Wczesna, intensywna interwencja behawioralna (EIBI) oraz metoda Lovaasa:

- Badania dotyczące metody Lovaas oraz wczesnych interwencji behawioralnych wykazały pewien wpływ na funkcje poznawcze, umiejętności językowe oraz adaptacji behawioralnej u młodszych dzieci z autyzmem, dowody są jednak ograniczone metodologicznie (Warren 2011a, 2011b). Istnieją dowody, że EIBI jest skuteczną terapią behawioralną dla niektórych dzieci z ASD, ale również konieczne są dalsze badania z randomizacją (Reichow 2012).
- Terapia wczesnej interwencji, wykorzystująca społeczno-rozwojowe podejście, może być uznawana za efektywną w populacji dzieci z ASD (bardziej skuteczną niż wczesna interwencja prowadzona przez rodziców pacjentów z ASD; Doughty 2004, Oono 2013).

Interwencje behawioralne (terapia behawioralna, poznawczo-behawioralna, działania terapeutyczne oparte na analizie behawioralnej - ABA):

- Wyniki analizy Camargo 2016 wskazują, że zastosowanie terapii behawioralnej powoduje blisko 88% wzrost umiejętności społecznych u osób z ASD. Największe efekty odnotowywano w populacji od 2 do 10 roku życia, a jeśli dodatkowo zastosowano technikę wzmocnienia oraz modelowanie, efekty terapii były większe.
- Terapia poznawczo-behawioralna ma silny, pozytywny wpływ na poprawę funkcjonowania społecznego dzieci z ASD nieupośledzonych umysłowo (Lang 2011).
- Analiza Wong 2015 przedstawia blisko 27 interwencji w kierunku ASD, które są oparte na dowodach, sygnalizując tym samym, że ponad połowa z nich wywodzi się z analizy behawioralnej lub też opiera się na jej założeniach teoretycznych: wysiłek fizyczny (exercise), terapia poznawczo-behawioralna (cognitive behavioral intervention), interwencja wprowadzana przez rodziców (parent-implemented intervention), instrukcje i interwencje wprowadzane za pośrednictwem



rówieśników (peer-mediated instruction and intervention, PMII), trening umiejętności społecznych (social skills training, SST), trening komunikacji funkcjonalnej (functional communication training, FCT), ustrukturyzowane grupy zabawy (structured play group, SPG), interwencje w naturalnym środowisku (naturalistic intervention, NI), interwencje wspomagane technologicznie (technology – aided instruction and intervention, TAI), pomoce wizualne (visual support, VS) i wideo-modelowanie, scenariusze (scripting, SC), trening samodzielnego zarządzania (self-management, SM), narracje społeczne (social narratives, SN), wzmacnianie (reinforcement, R+), podpowiedzi (prompting, PP), wygaszanie (extinction) oraz modelowanie, PECS (Picture Exchange Communication System), trening umiejętności kluczowych (pivotal response training, PRT), wzmacnianie różnicujące zachowań alternatywnych, niekompatybilnych i innych (differential reinforcement of alternative, incompatible, or other behavior DRA/I/O), metoda wyodrębnionych prób (discrete trial teaching, DTT), interwencje oparte na bodźcach poprzedzających (antecedent based intervention, ABI), analiza funkcjonalna zachowań (functional behavior assessment, FBA), analiza zadania (task-analysis, TA), opóźnianie (time delay, TD), przerywanie reakcji i przekierowywanie (response interruption and redirection, RIR).

Inne:

- Na skuteczność terapii u dzieci/młodzieży z ASD znaczący wpływ mogą mieć: wiek pacjenta (im wcześniej rozpoczęta terapia, tym szybsza i większa poprawa), osoba terapeuty (jego doświadczenie) oraz stan wyjściowy dziecka - umiejętności językowe, komunikacyjne i społeczne (Warren 2011b).

**Spektrum płodowych zaburzeń alkoholowych (FASD)**

- Aby zmniejszyć ryzyko szkód dla nienarodzonego dziecka, kobiety w ciąży lub planujące ciążę nie powinny pić alkoholu. W przypadku kobiet karmiących piersią najbezpieczniejsza dla dziecka jest całkowita abstynencja (SoAM/CCS/UoS 2021, AAFP 2017).
- Istotnym i kluczowym rozwiązaniem pozostaje całkowite porzucenie picia alkoholu przed, w trakcie i po zakończeniu ciąży (WFSBP/IAWMH 2019).
- Przesiew w kierunku spożycia alkoholu wśród wszystkich pacjentek znajdujących się w wieku umożliwiającym zajście w ciążę, powinien załączać w sobie także element edukacyjny oparty o wytyczne w zakresie obniżenia ryzyka spożywania alkoholu podczas ciąży (BCMh/BCCSU 2020).
- Działania informacyjno-edukacyjne powinny być kierowane zarówno do kobiet w ciąży, jak i do populacji ogólnej, w celu zwiększenia świadomości i wiedzy nt. szkód związanych ze spożywaniem alkoholu w trakcie ciąży (oraz innych substancji psychoaktywnych) (WFSBP/IAWMH 2019).
- Diagnoza FASD to zadanie interdyscyplinarnego zespołu współpracującego z ośrodkiem wysokospecjalistycznym, w którym istnieje możliwość przeprowadzenia diagnostyki różnicowej i funkcjonalnej. W skład zespołu mogą wchodzić m.in: pediatra, psycholog, logopeda oraz terapeuta zajęciowy (PARPA 2020, AGDoH 2020, SIGN 2019, CFASDN 2016, NIAA/CIFASD/CoFASP 2016, RCoGP/RCoP 2014).

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

Z upoważnienia Prezesa

ZASTĘPCA PREZESA

**Anna Kowalczuk**

*/dokument podpisany elektronicznie/*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.66.2024 „Program polityki zdrowotnej wczesnej diagnostyki zaburzeń neurorozwojowych w populacji dzieci w wieku 0-7 lat w pieczy zastępczej w województwie lubuskim”; data ukończenia: października 2024, Aneksu do raportów szczegółowych „Wczesna diagnostyka i terapia zaburzeń ze spektrum autyzmu (ASD) – wspólne podstawy oceny”, kwiecień 2017 r., Raportu AOTMiT nr: OT.431.81.2023 dot. programu polityki zdrowotnej pn. „Program Polityki Zdrowotnej pn. „Kompleksowa diagnostyka w zakresie spektrum płodowego zespołu alkoholowego na terenie Województwa Dolnośląskiego” z grudnia 2023 r. oraz opinii Rady Przejrzystości nr 169/2024 z dnia 21 października 2024 roku o projekcie „Program polityki zdrowotnej wczesnej diagnostyki zaburzeń neurorozwojowych w populacji dzieci w wieku 0- 7 lat w pieczy zastępczej w województwie lubuskim”.