

**Opinia**  
**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych**  
**nr 117/2013 z dnia 29 kwietnia 2013 r.**  
**o projekcie programu „Ośrodek Chorób Rzadkich Szpitala**  
**Uniwersyteckiego w Krakowie”**

Po zapoznaniu się z opinią Rady Przejrzystości wydaję negatywną opinię o projekcie programu „Ośrodek Chorób Rzadkich Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie”.

**Uzasadnienie**

Choroby rzadkie stanowią nierozwiązany dotąd problem polskiego systemu ochrony zdrowia. Zawansowane są prace nad Narodowym Planem dla Chorób Rzadkich, który ma zostać przedstawiony w kwietniu 2014 r. Ośrodek Chorób Rzadkich Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie powinien zostać elementem takiego programu. Przedstawiony program zawiera liczne uchybienia merytoryczne zgłoszone przez ekspertów.

**Przedmiot opinii**

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego miasta Krakowa w zakresie poprawy opieki nad osobami cierpiącymi na choroby rzadkie, zakładający finansowanie działalności Ośrodka Chorób Rzadkich Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie. Finansowanie ma obejmować dwie interwencje:

- prowadzenie szkoleń dla lekarzy pierwszego kontaktu na temat schorzeń rzadkich,
- udzielanie konsultacji pacjentom skierowanym przez lekarzy rodzinnych i specjalistów do Ośrodka Chorób Rzadkich przez poradnie specjalistyczne Szpitala Uniwersyteckiego (dla pacjentów wymagających diagnostyki wykraczającej poza możliwości Szpitala Uniwersyteckiego będzie organizowany system konsultacyjny w ośrodkach specjalistycznych w Polsce i na świecie w oparciu o sieć Orphanet).

Program ma być realizowany w latach 2013-2015. W projekcie przedstawiono budżet na realizację programu w wysokości 182 160 zł.

**Problem zdrowotny**

Choroby rzadkie to choroby, które dotyczą niewielką liczbę osób w porównaniu do całej populacji i spełniają pewne kryteria odnośnie swojej rzadkości. W Europie choroba uznawana jest za rzadką, jeśli dotyka 1 osobę na 2000. Choroby rzadkie są grupą bardzo zróżnicowaną, obejmującą 5000 – 8000 jednostek chorobowych, w 50% w populacji dzieci-nowe rozpoznania dotyczą 20 tysięcy dzieci rocznie. Około 30% pacjentów z tymi chorobami umiera przed 5 rokiem życia. Są to przyczyny 40-45% zgonów przed 15 rokiem życia.

W Polsce nie obowiązuje oficjalna definicja choroby rzadkiej; interesariusze powszechnie używają jednak definicji określonej w rozporządzeniu nr 141/2000 Parlamentu Europejskiego i Rady Europy z dnia 16 grudnia 1999 r. w sprawie sierocych produktów leczniczych, zgodnie z którą choroba rzadka występuje u nie więcej niż 5 na 10 000 osób.

## **Alternatywne świadczenia**

Ich omówienie wymagałoby uwzględnienia odrębnie każdej jednostki chorobowej.

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

### **Wnioski z oceny problemu zdrowotnego**

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania w bazach informacji medycznych nie odnaleziono żadnych przeglądów systematycznych na temat skuteczności i bezpieczeństwa interwencji zaproponowanych w projekcie programu.

Analizę projektu oparto na odnalezionych dokumentach i zaleceniach europejskich oraz nadesłanych opiniach eksperckich. Zalecenia unijne oraz Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich, który właśnie powstał w Polsce, odnoszą się do konieczności tworzenia ośrodków eksperckich w krajach członkowskich UE. Przy czym, jak podkreślił jeden z ekspertów, trwają jeszcze prace na poziomie unijnym nad kryteriami kwalifikującymi tego typu ośrodki. W Polsce takie kryteria muszą zostać określone przez Ministerstwo Zdrowia.

### **Wnioski z oceny programu miasta Kraków**

Projekt programu został przygotowany zgodnie ze schematem zaproponowanym przez AOTM. Zostały określone cele programu oraz oczekiwane efekty, które im odpowiadają. Zaplanowano monitorowanie i ewaluację programu. Zdaniem eksperta, we wskaźnikach monitorowania powinno się uwzględnić liczbę pacjentów zarejestrowanych w konkretnych grupach lub typach chorób rzadkich w oparciu o zweryfikowane dane kliniczne i diagnostyczne. Docelowo programy takie powinny zakładać monitorowanie odległych losów pacjentów zidentyfikowanych w ramach programu.

Opis programu jest zbyt ogólnikowy, nie precyzuje wielu istotnych kwestii. Nie wiadomo, jakich chorób rzadkich dotyczy. Raczej nie można się spodziewać, że ośrodek jest w stanie specjalizować się we wszystkich jednostkach chorobowych (w zakresie chorób rzadkich kilka tysięcy). Zwraca na to uwagę jeden z ekspertów. Poza tym, jak twierdzą eksperci, na dużym poziomie ogólności opisano kwestie diagnostyczno-lecznicze, brakuje informacji o sposobie zorganizowania opieki wielospecjalistycznej oraz o zasadach jej finansowania. Nie zostały określone kompetencje kadry lekarskiej, ani zasady współpracy z innymi ośrodkami w kraju i zagranicą. U ekspertów wątpliwości budzą zasady komunikacji z pacjentami. Jeden z nich podkreśla, że metoda przesyłania dokumentacji lekarskiej, w świetle braku analizy epidemiologicznej oraz niewskazania grup chorób, którymi organizator zamierza się zająć, będzie mało skuteczna.

Zastanawiające jest, dlaczego brakuje w programie odniesienia do prac powołanego przez Ministra Zdrowia Zespołu ds. Chorób Rzadkich oraz Zespołu koordynującego ds. Chorób Ultrarzadkich powołanego przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. Autorzy nie powołują się także na żadne piśmiennictwo, w tym dokumenty unijne, czy zalecenia europejskich grup eksperckich w dziedzinie chorób rzadkich. Nie jest jasne, czy Ośrodek, o którym mowa w programie, ma się stać jednym z Ośrodków Eksperckich ds. Chorób Rzadkich, do których odnoszą się dokumenty Unii Europejskiej. Powstawanie takich ośrodków jest wymogiem stawianym państwom członkowskim. Kwestia ta poruszona została także w Narodowym Planie dla Chorób Rzadkich, przy czym, jak podkreśla ekspert, prace w tym zakresie jeszcze się nie rozpoczęły. Najpierw muszą zostać określone przez Ministerstwo Zdrowia kryteria kwalifikacyjne, co więcej – ciągle w tym zakresie trwają prace w UE. W tej chwili istnieją „Zalecenia dla ośrodków eksperckich ds. chorób rzadkich w państwach członkowskich dotyczące kryteriów jakości”, wydane przez Komitet Ekspertów Unii Europejskiej ds. Chorób Rzadkich (EUCERD). Określają one kryteria i procedury wyznaczania ośrodków eksperckich. W celu zaspokojenia szczególnych potrzeb pacjentów

z chorobami rzadkimi związanych z leczeniem, rehabilitacją i opieką paliatywną, ośrodki eksperckie zapewniają lub koordynują w ramach specjalistycznej opieki zdrowotnej działania z zakresu wielu dziedzin, w tym usług okołomedycznych i społecznych. W programie nie ma mowy o tego typu koordynacji. Mimo to pytani eksperci popierają sam pomysł zajęcia się tą problematyką.

Jeden z ekspertów zauważa, że być może lepszymi założeniami programu byłyby plany inwentaryzacji tego typu chorych i chorób, sposobu ich klasyfikowania, diagnozowania, efektywności tej diagnostyki, analizy opieki lekarskiej nad chorymi z już rozpoznaną chorobą rzadką, określenie ich potrzeb w zakresie wielospecjalistycznej opieki lekarskiej, rehabilitacyjnej i socjalnej. Jego zdaniem te sprawy wymagają uporządkowania w pierwszej kolejności rządu i określenia na tej bazie pewnych rozwiązań organizacyjnych, zanim przystąpi się do działań mających na celu poprawę zgłaszalności chorób rzadkich, gdyż łatwo może wówczas dojść do pogłębienia i tak już niewydolnego dziś systemu opieki na chorymi z chorobami rzadkimi.

Warto jednak zauważyć, że autorzy projektu odwołują się do sieci Orphanet w zakresie organizacji systemu konsultacyjnego w ośrodkach specjalistycznych w Polsce i na świecie. Na polskiej stronie Orphanet odnaleziono link do Ośrodka Chorób Rzadkich Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie, który swoją działalność rozpoczął 01 marca 2012 roku.

Projekt zawiera budżet oraz koszty jednostkowe. W ramach kosztów jednostkowych wymieniono interwencję w postaci przygotowania i obsługi strony internetowej „Choroby Rzadkie”, o której nie wspomniano wcześniej.

Jak zauważa jeden z ekspertów: „budżet programu jest określony bardzo zdawkowo, a 70% przewidzianych wydatków ma pochłonąć opracowanie i utrzymanie strony internetowej oraz etat pracownika administracyjnego. Brak jest jakichkolwiek szczegółów dotyczących szkoleń dla lekarzy rodzinnych (forma, zakres szkoleń, liczba osób szkolonych) oraz struktury kosztów każdego ze spotkań z organizacjami pacjentów, a także zasadności ich odbywania czterokrotnie w ciągu każdego roku realizacji programu”.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, wydaję opinię jak na wstępie.

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu o programie: „Ośrodek Chorób Rzadkich Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie” realizowanym przez miasto Kraków, nr: AOTM-OT-441-187/2012, Warszawa kwiecień 2013.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Stanowisko eksperckie przedstawione na posiedzeniu w dniu 29.04.2013r.