



**Protokół nr 17/2012  
z posiedzenia Rady Przejrzystości  
w dniu 16 lipca 2012 roku  
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych**

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

1. [REDACTED]
2. [REDACTED] (udział w posiedzeniu od pkt 4 porządku obrad)
3. [REDACTED]
4. [REDACTED]
5. [REDACTED]
6. [REDACTED]
7. [REDACTED]
8. [REDACTED]
9. [REDACTED]
10. [REDACTED] (udział w posiedzeniu od pkt 4 do pkt 8 porządku obrad)

Pracownicy Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM):

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] (Dział Raportów i Oceny Raportów w OT)

[REDACTED] (Dział Programów Zdrowotnych w OT)

[REDACTED] (Dział Obsługi Rady Konsultacyjnej w RK)

[REDACTED] (Dział Raportów i Oceny Raportów w OT)

[REDACTED] (Dział Metodologii, Informacji Naukowej i Szkoleń w RK)

[REDACTED]

[REDACTED] (Dział Weryfikacji Technologii Medycznych w Wydziale do Spraw Systemów  
Ochrony Zdrowia - DS)

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] (Dział Metodologii, Informacji Naukowej i Szkoleń w RK)



██████████ (Dział Programów Zdrowotnych w OT)

██████████ (Dział Rekomendacji w BP)

██████████ (Dział Weryfikacji Technologii Medycznych w DS)

██████████ (Dział Programów Zdrowotnych w OT)

██████████ (Dział Raportów i Oceny Raportów w OT)

██████████

Lista obecności stanowi załącznik nr 1 do niniejszego protokołu.

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady i głosowanie nad ich wyłączeniem z głosowania albo z udziału w zakresie omawianego wniosku.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Trobalt (retygabina) we wskazaniu: terapia wspomagająca leczenie napadów padaczkowych o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia).
5. Przygotowanie opinii nt. świadczenia „Nieinwazyjna wysokiej rozdzielczości koronarografia metodą tomografii komputerowej u pacjentów z pośrednim ryzykiem choroby wieńcowej”.
6. Przygotowanie opinii o projektach programów zdrowotnych:
  - 1) „Rehabilitacja dzieci i młodzieży niepełnosprawnej z terenu Gminy Sułkowice”,
  - 2) „Kompleksowa terapia, opieka i pielęgnacja dzieci niepełnosprawnych z terenu miasta Jaworzna”,
  - 3) „Program profilaktyczno - terapeutyczny dla dzieci zagrożonych i dotkniętych autyzmem dziecięcym” (m. Kraków),
  - 4) „Rehabilitacja lecznicza dla osób chorych oraz kompleksowa rehabilitacja, terapia, opieka, pielęgnacja dzieci i młodzieży niepełnosprawnej mieszkającej na terenie Gminy Racibórz w latach 2012-2016”,
  - 5) „Kompleksowa rehabilitacja i terapia dzieci niepełnosprawnych z terenu Gminy Gorzyce”.
7. Przygotowanie opinii o projektach programów zdrowotnych:
  - 1) „Program profilaktyki próchnicy u dzieci na lata 2013-2015” (m. Kraków),
  - 2) „Intensyfikacja zapobiegania próchnicy zębów skierowania do dzieci powyżej 7 roku życia” (m. Bydgoszcz),
  - 3) „Profilaktyka próchnicy zębów u dzieci z rocznika 2003 na terenie Gminy Miejskiej Łaziska Górne”,
  - 4) „Projekt programu profilaktyki próchnicy - lakowanie zębów na lata 2012-2014” (gm. Suszec),
  - 5) „Zapobieganie chorobie próchnicowej u dzieci w wieku 1-3 lata” (woj. pomorskie),
  - 6) „Profilaktyka próchnicy zębów u dzieci” (m. Katowice).

8. Przygotowanie opinii o projektach programów zdrowotnych:
  - 1) „Program profilaktyki chorób nowotworowych - prewencja i wczesne wykrywanie raka prostaty” (m. Cieszyn),
  - 2) „Powiatowy program profilaktyczny wczesnego wykrywania raka prostaty na lata 2012-2013” (pow. Brzesko).
9. Przygotowanie opinii o projektach programów zdrowotnych:
  - 1) „Program edukacji zdrowotnej dla dzieci w wieku przedszkolnym oraz ich rodziców na terenie gminy Pilchowice w latach 2012-2015”,
  - 2) „Dbam o zdrowie” (pow. Legionowo).
10. Przegłosowanie uzasadnień do stanowisk i opinii Rady podjętych na posiedzeniach 13, 15 i 22 lutego br.
11. Losowanie składów Zespołów na posiedzenia Rady w dniach 30 lipca oraz 6 i 13 sierpnia br.
12. Zamknięcie posiedzenia.

**Ad.1.** Posiedzenie o godzinie 10:00 otworzył [REDAKTOWANE].

Decyzją prowadzącego posiedzenie dokonano losowania Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 30 lipca br.

**Ad.2.** Rada przyjęła jednogłośnie propozycję porządku obrad przedstawioną przez [REDAKTOWANE].

**Ad.3.** Członkowie Rady nie zgłosili konfliktu interesów.

**Ad.4.** [REDAKTOWANE] na podstawie prezentacji przedstawiła najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-OT-4350-10/2012 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Trobalt (retygabina) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)”.

Następnie przeprowadzona została telekonferencja z ekspertem [REDAKTOWANE], który przedstawił swoje stanowisko i odpowiadał na pytania członków Rady.

W dalszej kolejności projekt stanowiska przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady [REDAKTOWANE].

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada jednogłośnie (10 głosami za przy 0 głosów przeciw) podjęła uchwałę, stanowiącą załącznik nr 2 do protokołu, o wydaniu w jednym głosowaniu stanowiska dla wszystkich produktów leczniczych Trobalt (retygabina) tj. tabletki powlekane 50 mg 21 tab. EAN 5909990852222, tabletki powlekane 50 mg 84 tab. EAN 5909990852239, tabletki powlekane 100 mg 84 tab. EAN 5909990852598, tabletki powlekane 200 mg 84 tab. EAN 5909990852628, tabletki powlekane 300 mg 84 tab. EAN 590999085264, tabletki powlekane; 400 mg 84 tab. EAN 5909990852666, tabletki powlekane 50 mg 21 tab. + 100 mg 42 tab. EAN 5909990852680.

W wyniku podjętej wcześniej uchwały, Rada 6 głosami za przy 4 głosach przeciw, przyjęła w drodze uchwały treść stanowisk dla każdego z produktów leczniczych Trobalt (retygabina), o których mowa wyżej. Stanowiska te stanowią załączniki nr nr 3 – 9 do protokołu.

**Ad.5.** [REDAKTOWANE] na podstawie prezentacji przedstawiła najistotniejsze informacje z Raportu Nr: AOTM-DS-434-6 „Ponowna ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia nieinwazyjnej wysokiej rozdzielczości koronarografii metodą tomografii komputerowej do świadczeń gwarantowanych”.

Z kolei, projekt stanowiska przedstawił [REDAKTOWANE].

Z powodów technicznych próby połączenia z ekspertem nie powiodły się.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada 10 głosami za przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 10 do protokołu.

W tym miejscu posiedzenia decyzją prowadzącego został zmieniony porządek obrad. W pierwszej kolejności postanowiono rozpoznać pkt 7 porządku obrad.

**Ad.7.1.** [REDAKTOWANE] na podstawie prezentacji przedstawiła informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-9/2012 „Program profilaktyki próchnicy u dzieci na lata 2013–2015” (m. Kraków).

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady [REDAKTOWANE].

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 11 do protokołu.

**2.** [REDAKTOWANE] na podstawie prezentacji przedstawiła informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-18/2012 „Intensyfikacja zapobiegania próchnicy u dzieci i młodzieży – profilaktyka próchnicy zębów skierowana do dzieci powyżej 7 roku życia” (m. Bydgoszcz).

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady [REDAKTOWANE].

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada 7 głosami za, przy 3 głosach przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 12 do protokołu.

**3.** [REDAKTOWANE] na podstawie prezentacji przedstawiła informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-104/2012 „Profilaktyka próchnicy zębów u dzieci z rocznika 2003 na terenie gminy miejskiej Łaziska Górne”.

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady [REDAKTOWANE].

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 13 do protokołu.

**4.** [REDAKTOWANE] na podstawie prezentacji przedstawiła informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-110/2012 „Projekt programu profilaktyki próchnicy – lakowanie zębów na lata 2012–2014” (gm. Suszec).

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady [REDAKTOWANE].

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 14 do protokołu.

5. ██████████ na podstawie prezentacji przedstawiła informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-133/2012 „Program profilaktyczny zapobieganie chorobie próchnicowej u dzieci w wieku 1–3 lata” (woj. pomorskie)

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady ██████████.

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 15 do protokołu.

6. ██████████ na podstawie prezentacji przedstawiła informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-160/2012 „Profilaktyka próchnicy zębów u dzieci” (m. Katowice)

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady ██████████.

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 16 do protokołu.

**Ad.6.1.** ██████████ na podstawie prezentacji przedstawił informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-126/2011 „Rehabilitacja dzieci i młodzieży niepełnosprawnej z terenu Gminy Sułkowice”.

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady ██████████.

Po dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 17 do protokołu.

2. ██████████ na podstawie prezentacji przedstawiła informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-175/2011 „Kompleksowa terapia, opieka i pielęgnacja dzieci niepełnosprawnych z terenu miasta Jaworzna”.

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady ██████████.

Po dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 18 do protokołu.

3. ██████████ na podstawie prezentacji przedstawiła informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-12/2012 „Program profilaktyczno-terapeutyczny dla dzieci zagrożonych i dotkniętych autyzmem dziecięcym” (m. Kraków).

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady ██████████.

Po dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 19 do protokołu.

4. ██████████ na podstawie prezentacji przedstawiła informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-21/2012 „Rehabilitacja lecznicza dla osób chorych oraz kompleksowa rehabilitacja, terapia, opieka, pielęgnacja dzieci i młodzieży niepełnosprawnej mieszkającej na terenie gminy Racibórz w latach 2012-2016”.

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady ██████████.

Po dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 20 do protokołu.

**5.** [REDAKTOWANE] na podstawie prezentacji przedstawiła informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-30/2012 „Kompleksowa rehabilitacja i terapia dzieci niepełnosprawnych z terenu gminy Gorzyce”.

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady [REDAKTOWANE].

Po dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 21 do protokołu.

**Ad.8.1.** [REDAKTOWANE] na podstawie prezentacji przedstawił informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-200/2011 „Program profilaktyki chorób nowotworowych - prewencja i wczesne wykrywanie raka prostaty w ramach Gminnego Programu Zdrowotnego na lata 2012 - 2014” (m. Cieszyn).

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady [REDAKTOWANE].

Po dyskusji Rada 8 głosami za, przy 1 głosie przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 22 do protokołu.

**2.** [REDAKTOWANE] na podstawie prezentacji przedstawił informacje z z Raportu nr: AOTM-OT-441-134/2012 „Powiatowy Program Profilaktyczny Wczesnego Wykrywania Raka Prostaty na lata 2012-2013” (pow. brzeski).

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady [REDAKTOWANE].

Po dyskusji Rada 9 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 23 do protokołu.

Decyzją prowadzącego w tym miejscu posiedzenia przeprowadzono losowania składu Zespołów na posiedzenia Rady w dniach 6 i 13 sierpnia br.

**Ad.9.1.** [REDAKTOWANE] na podstawie prezentacji przedstawił informacje z z Raportu nr: AOTM-OT-441-12/2012 „Program edukacji zdrowotnej dla dzieci w wieku przedszkolnym oraz ich rodziców na terenie gminy Pilchowice w latach 2012-2015”.

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady [REDAKTOWANE].

Po dyskusji Rada 9 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 24 do protokołu.

**2.** [REDAKTOWANE] na podstawie prezentacji przedstawił informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-71/2012 „Edukacja prozdrowotna - Dbam o zdrowie” w ramach Powiatowego Programu Promocji Zdrowia na rok 2012” (pow. Legionowo).

Następnie projekt opinii przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady [REDAKTOWANE].

Po dyskusji Rada 9 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 25 do protokołu.

**Ad.10.** Na prośbę Ministra Zdrowia Rada przygotowała uzasadnienia do stanowisk i opinii uchwalonych na posiedzeniach w dniach 13, 15 i 22 lutego br.

Projekty uzasadnień przedstawił ██████████.

W wyniku głosowania:

- 1) 9 głosów za przy 0 głosów przeciw, Rada przyjęła uchwałę stanowiącą uzasadnienie do opinii nr 1/2012 z dnia 13 lutego 2012 r. w sprawie utworzenia odrębnych grup limitowych dla donosowych postaci farmaceutycznych desmopresyny oraz doustnych postaci farmaceutycznych desmopresyny; uchwała stanowi załącznik nr 26 do protokołu,
- 2) 9 głosów za przy 0 głosów przeciw, Rada przyjęła uchwałę stanowiącą uzasadnienie do opinii nr 3/2012 z dnia 15 lutego 2012 o utworzeniu odrębnej grupy limitowej dla Flixotide (fluticasonum) we wskazaniu refundacyjnym: astma u dzieci w wieku od 1 do 4 roku życia; uchwała stanowi załącznik nr 27 do protokołu,
- 3) 8 głosów za przy 1 głosie przeciw, Rada przyjęła uchwałę stanowiącą uzasadnienie do opinii nr 4/2012 z dnia 15 lutego 2012 w sprawie objęcia refundacją leków onkologicznych i pediatrycznych, określonych w załącznikach do pisma, w zakresie wskazań do stosowania/dawkowania/sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego; uchwała stanowi załącznik nr 28 do protokołu,
- 4) 9 głosów za przy 0 głosów przeciw, Rada przyjęła uchwałę stanowiącą uzasadnienie do opinii nr 5/2012 z dnia 15 lutego 2012 w sprawie objęcia refundacją heparyn drobnocząsteczkowych, we wskazaniu „zespół antyfosfolipidowy w ciąży, zespół antyfosfolipidowy u kobiet leczonych z powodu niepłodności, zaburzenia krążenia w tętnicach macicznych u kobiet w ciąży, opóźnienie wzrostu wewnątrzmacicznego płodu, w leczeniu poronień nawykowych”, w zakresie wskazań do stosowania/dawkowania/sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego; uchwała stanowi załącznik nr 29 do protokołu,
- 5) 9 głosów za przy 0 głosów przeciw, Rada przyjęła uchwałę stanowiącą uzasadnienie do opinii nr 6/2012 z dnia 15 lutego 2012 w sprawie objęcia refundacją leków stosowanych w chorobach z autoagresji, zawierających substancje czynne: metotreksat, chlorochina, sulfasalazyna, cyklosporyna A, w zakresie wskazań do stosowania/dawkowania/sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego; uchwała stanowi załącznik nr 30 do protokołu,
- 6) 9 głosów za przy 0 głosów przeciw, Rada przyjęła uchwałę stanowiącą uzasadnienie do opinii nr 7/2012 z dnia 15 lutego 2012 w sprawie objęcia refundacją leków immunosupresyjnych po przeszczepie narządu unaczynionego, kończyny lub jej części, w zakresie wskazań do stosowania/dawkowania/sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego; uchwała stanowi załącznik nr 31 do protokołu,
- 7) 8 głosów za przy 1 głosie przeciw, Rada przyjęła uchwałę stanowiącą uzasadnienie do opinii nr 14/2012 z dnia 22 lutego 2012 w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego zawierającego substancję czynną pegfilgrastim w zakresie wskazań do stosowania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego; uchwała stanowi załącznik nr 32 do protokołu,
- 8) 9 głosów za przy 0 głosów przeciw, Rada przyjęła uchwałę stanowiącą uzasadnienie do stanowiska nr 1/2012 z dnia 13 lutego 2012 r. w zakresie zakwalifikowania leku Brilique (ticagrelor) we wskazaniu: w skojarzeniu z kwasem acetylosalicylowym (ang. ASA), w celu zapobiegania zdarzeniom sercowo-naczyniowym u dorosłych pacjentów z ostrym zespołem

wieńcowym (niestabilna dusznica bolesna, zawał mięśnia sercowego bez uniesienia odcinka ST (NSTEMI) lub z uniesieniem odcinka ST (STEMI), w tym u pacjentów leczonych farmakologicznie lub za pomocą przezskórnej interwencji wieńcowej (PCI) lub pomostowania aortalno-wieńcowego (CABG), jako świadczenia gwarantowanego; uchwała stanowi załącznik nr 33 do protokołu,

9) 9 głosów za przy 0 głosów przeciw, Rada przyjęła uchwałę stanowiącą uzasadnienie do stanowiska nr 2/2012 z dnia 13 lutego 2012 r. w zakresie zakwalifikowania leków Kreon 25 000 i Kreon 40 000 (pancreatinum) we wskazaniu: zewnątrzwydzielnicza niewydolność trzustki w przebiegu przewlekłego zapalenia trzustki (PZT), jako świadczenia gwarantowanego; uchwała stanowi załącznik nr 34 do protokołu,

10) 9 głosów za przy 0 głosów przeciw, Rada przyjęła uchwałę stanowiącą uzasadnienie do stanowiska nr 03/2012 z dnia 13 lutego 2012r. w zakresie zakwalifikowania/niezasadności zakwalifikowania leków Adenuric 80 mg i Adenuric 120 mg (febuksostat) we wskazaniu: leczenie przewlekłej hiperurykemii w chorobach, w których wystąpiło już odkładanie się złogów moczanowych (w tym guzki dnawe i (lub) zapalenie stawów dnawe czynne lub w wywiadzie), jako świadczenia gwarantowanego; uchwała stanowi załącznik nr 35 do protokołu.

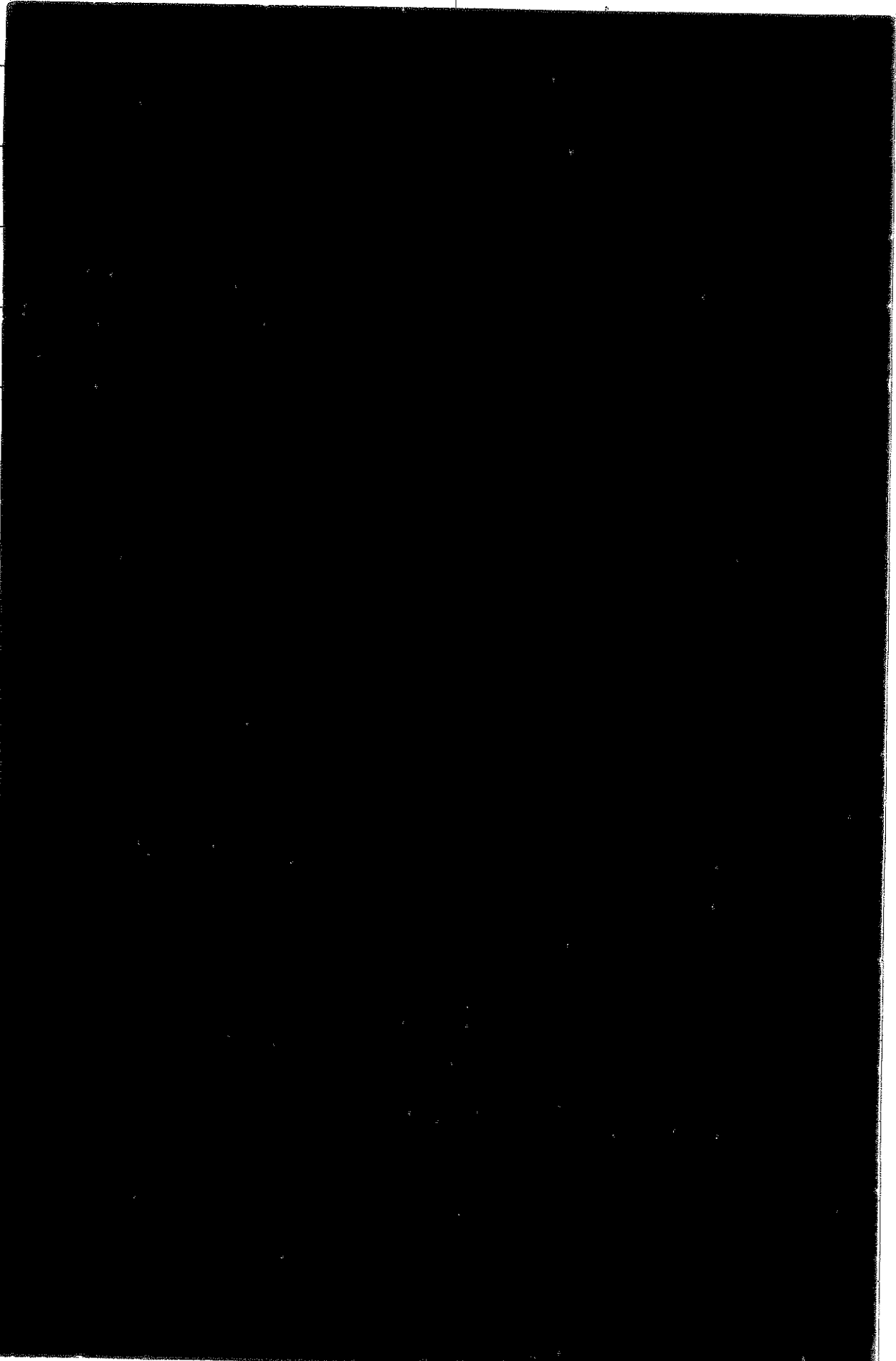
**Ad.12.** Prowadzący posiedzenie [REDACTED] zakończył posiedzenie Rady o godzinie 14:40.

Protokół zatwierdził prowadzący posiedzenie:

.....  
[REDACTED]



LISTA OBECNOŚCI  
Posiedzenie Rady Przejrzystości nr 17/2012  
dnia 16 lipca 2012 r.

Lp.	Imię i nazwisko	Podpis
1.		
2.		
3.		
4.		
5.		
6.		
7.		
8.		
9.		
10.		
11.		
12.		
13.		
14.		
15.		
16.		
17.		

18.	
19.	
20.	
21.	
22.	
23.	
24.	
25.	
26.	
27.	
28	
29	
30	
31	
32	
33	



Uchwała Rady Przejrzystości  
nr 177/2012 z dnia 16 lipca 2012 r.

w sprawie sposobu wydania stanowiska w sprawie zasadności finansowania produktu leczniczego Trobalt (retygabina) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)

*Rada podejmuje decyzję o wydaniu w jednym głosowaniu stanowiska dla wszystkich produktów leczniczych Trobalt (retygabina):*

- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab.; EAN 5909990852222
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 84 tab.; EAN 5909990852239
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 100 mg 84 tab., EAN 5909990852598
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 200 mg 84 tab., EAN 5909990852628
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 300 mg 84 tab.; EAN 5909990852642
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 400 mg 84 tab.; EAN 5909990852666
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab. + 100 mg 42 tab.; EAN 5909990852680.

*we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia).*

.....  
[Redacted signature area]





Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 39/2012 z dnia 16 lipca 2012 r.  
w sprawie zasadności finansowania  
produktu leczniczego Trobalt (retigabina) (EAN 5909990852222)  
we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym  
uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w  
wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas  
refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był  
nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)

*Rada uważa za zasadne finansowanie produktu leczniczego Trobalt (retigabina) (EAN 5909990852222) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia), z odpłatnością ryczałtową, z oddzielną grupą limitową dla tego leku. Wnioskodawca nie zaproponował programu lekowego, ani instrumentu podziału ryzyka.*

**Uzasadnienie**

*Rada uważa za zasadne stosowanie leku Trobalt, gdyż u części chorych pozwala na całkowitą remisję choroby.*

**Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Trobalt (retigabinum) we wskazaniu: terapia wspomagająca leczenie napadów padaczkowych o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia). Wniosek dotyczy zamieszczenia w Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych jako

██████████ w ramach odrębnej grupy limitowej następujących dawek i opakowań:

- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab.; EAN 5909990852222
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 84 tab.; EAN 5909990852239
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 100 mg 84 tab., EAN 5909990852598
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 200 mg 84 tab., EAN 5909990852628
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 300 mg 84 tab.; EAN 5909990852642
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 400 mg 84 tab.; EAN 5909990852666
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab. + 100 mg 42 tab.; EAN 5909990852680.



Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab.; EAN 5909990852222.

### **Problem zdrowotny**

Padaczka jest jedną z najczęstszych chorób ośrodkowego układu nerwowego, występującą u ok. 1% populacji na świecie. Charakteryzuje się występowaniem nawracających napadów różnego typu, spowodowanych nagłym, zwykle krótkotrwałym, nadmiernym pobudzeniem neuronów. W trakcie napadu mogą występować zaburzenia świadomości, zachowania, emocji, czynności ruchowych, czuciowych lub wegetatywnych, dostrzegalne przez chorego lub jego otoczenie.

Nie istnieje jedna, powszechnie obowiązująca definicja padaczki lekoopornej. Jedną z przyjętych pozwala na rozpoznanie tego typu padaczki, gdy zastosowanie trzech klasycznych i dwóch nowych, właściwych dla danego typu napadów, leków przeciwpadaczkowych w wysokich, tolerowanych dawkach przez dwa lata nie prowadzi do uzyskania kontroli nad napadami (redukcja napadów mniejsza niż 50% względem stanu wyjściowego). Zgodnie z definicją wypracowaną przez International League Against Epilepsy (ILAE) w 2009 r., oporność na leczenie farmakologiczne należy rozpoznać po stwierdzeniu nieskuteczności w uzyskaniu trwałego ustąpienia napadów dwóch właściwie wybranych, odpowiednio stosowanych i tolerowanych schematów leczenia przeciwpadaczkowego (w monoterapii lub politerapii).

Przyjmując 1% wskaźnik rozpowszechnienia padaczki i 30% wskaźnik lekooporności, liczba chorych, którzy mogą być traktowani jako oporni na leczenie, wynosi w Polsce 100–120 tys.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Trobalt (grupa farmakoterapeutyczna: leki p. padaczkowe, inne leki p. padaczkowe Kod ATC: N03AX 21) zawiera substancję czynną retygabinę, która wpływa na działanie kanałów potasowych umiejscowionych w komórkach nerwowych mózgu, utrzymując je otwarte. Powoduje to stabilizację potencjału spoczynkowego błony i kontroluje podprogową pobudliwość elektryczną w neuronach, zapobiegając inicjacji serii potencjałów czynnościowych, jakie występują w napadzie padaczkowym.

Dawkę retygabiny należy stopniowo zwiększać w zależności od indywidualnej odpowiedzi pacjenta, w celu optymalizacji stosunku skuteczności i tolerancji. Maksymalna całkowita początkowa dawka dobową wynosi 300 mg (100 mg trzy razy na dobę). Następnie całkowitą dawkę dobową zwiększa się maksymalnie o 150 mg co tydzień, w zależności od indywidualnej odpowiedzi i tolerancji u danego pacjenta. Przewiduje się, że skuteczna dawka podtrzymująca będzie wynosiła od 600 mg do 1200 mg na dobę. Maksymalna całkowita dawka podtrzymująca wynosi 1200 mg na dobę. Nie ustalono bezpieczeństwa ani skuteczności dawek wyższych niż 1200 mg na dobę.

Retygabinę dopuszczono do obrotu w procedurze centralnej 28.03.2011 r. we wskazaniu: lek wspomagający leczenie napadów padaczkowych o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej z padaczką. Wskazanie wnioskowane jest zatem zawężone w stosunku do wskazania rejestracyjnego.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Analizując wytyczne kliniczne trudno wskazać sekwencje konkretnych substancji stosowanych w leczeniu rozpatrywanej populacji chorych. Ogólnie, widoczny jest trend polegający na zalecaniu rozpoczynania leczenia od przeciwpadaczkowych leków tzw. starszej generacji (np. kwas walproinowy i jego sole, karbamazepina, fenobarbital, fenytoina, prymidon) i w przypadku braku właściwej odpowiedzi lub tolerancji tych pierwszych wprowadzania leków tzw. nowszych generacji (np. gabapentyna, lamotrygina, lewetiracetam, topiramata). Zgodnie z aktualnym obwieszczeniem Ministra Zdrowia w sprawie wykazu refundowanych leków, refundowane produkty lecznicze w leczeniu padaczki podzielone są na dwie kategorie ze względu na zakres wskazań objętych refundacją:

- kategoria „Padaczka” (P), do której należą produkty lecznicze zawierające: kwas walproinowy i jego sole (sodu i magnezu), połączenie kwasu walproinowego i soli sodowej tego kwasu, karbamazepinę, klonazepam, diazepam, etosuksimid, fenobarbital, fenytoinę oraz primidon;

nadana tym produktom kategoria umożliwia refundację przy stosowaniu ich w każdej linii leczenia;

- kategoria „Padaczka oporna na leczenie” (Epi-lo), do której należą produkty lecznicze zawierające: wigabatrynę, gabapentyne, lamotryginę, tiagabinę, topiramę, okskarbazepinę, lewetiracetam. Nadana tym produktom kategoria umożliwia refundację przy stosowaniu ich powyżej II linii leczenia łącznie.

Jako komparatory dla retygabiny w leczeniu populacji docelowej w analizie wnioskodawcy wskazano leki z grupy refundacyjnej „Epi-lo” – łącznie 7 substancji czynnych oraz lakozamid, który nie znajduje się w aktualnym obwieszczeniu MZ jako lek refundowany. Ponadto, wnioskodawca w swojej analizie wskazał jako potencjalny komparator aktywne placebo. Wybór komparatorów w opinii analityków AOTM jest zasadny we wszystkich przypadkach oprócz lakozamidu – w odniesieniu do tej substancji wybór uznano jako zasadny z pewnymi ograniczeniami – lek nie jest obecnie refundowany w leczeniu padaczki, aczkolwiek uzyskał pozytywną opinię Rady Konsultacyjnej i Prezesa AOTM w leczeniu padaczki lekoopornej w III linii leczenia.

### Skuteczność kliniczna

Podmiot odpowiedzialny dostarczył analizę kliniczną, wspólną dla produktów leczniczych Trobalt w opakowaniach: 50 mg 21 tab., 50 mg 84 tab., 100 mg 84 tab., 200 mg 84 tab., 300 mg 84 tab., 400 mg 84 tab. oraz 50 mg 21 tab. + 100 mg 42 tab., której celem była ocena skuteczności stosowania Trobalt w porównaniu z komparatorami.

#### Porównanie bezpośrednie retygabiny z aktywnym placebo:

Wnioskodawca włączył 3 podwójnie zaślepienie RCT porównujące zastosowanie retygabiny z aktywnym placebo w populacji lekoopornych (niereagujących na od 1 do 3 leków przeciwpadaczkowych) pacjentów chorych na padaczkę o napadach częściowych, przy czym średnia długość trwania choroby wynosiła od ok. 20 do 23 lat. Odnalezione badania dotyczyły porównania aktywnego placebo z retygabiną w różnych dawkach:

- badanie 205: retygabina 600 mg/dobę, 900 mg/dobę, 1200 mg/dobę,
- badanie 302: retygabina 600 mg/dobę, 900 mg/dobę,
- badanie 301: retygabina 1200 mg/dobę.

Badania te były badaniami rejestracyjnymi i obejmowały: fazę wstępną (w której pacjenci przyjmowali swoją standardową terapię składającą się z 1 do 3 leków przeciwpadaczkowych i w której dokonywano oceny wyjściowej częstości napadów padaczkowych; po tej fazie pacjenci byli kwalifikowani do badania oraz następowała randomizacja), fazę wymuszonego zwiększania dawki – titracji (w której dawkę leku systematycznie zwiększano, aż do osiągnięcia dawki docelowej), fazę podtrzymującą (w której pacjenci przyjmowali ustaloną dawkę leku). W każdym z badań wyniki analizowano osobno dla dwóch faz leczenia w zależności od wymagań agencji rejestracyjnych:

- populacji ITT (FDA) – populacja pacjentów zrandomizowanych, którzy przyjęli co najmniej jedną dawkę leku; wyniki podano dla całego okresu podwójnie zaślepionego, którego też dotyczą dane na temat bezpieczeństwa terapii.
- populacji ITT (EMA) – populacja pacjentów zrandomizowanych, którzy przyjęli co najmniej jedną dawkę leku oraz dla których zarejestrowano co najmniej jeden pomiar napadu drgawkowego w fazie podtrzymującej; wyniki podano dla fazy podtrzymującej.

W poniższej tabeli przedstawiono istotne statystycznie wyniki metaanaliz lub pojedynczych badań, jeśli metaanaliza nie była przeprowadzona, w zależności od dawki i w rozbiciu na dwie rozpatrywane fazy badania dla badań 205, 301 oraz 302.

Punkt końcowy	Wynik istotny statystycznie na korzyść retygabiny	
	Cała faza podwójnie zaślepiena	Faza podtrzymania
Mediana procentowej zmiany łącznej częstości napadów padaczkowych częściowych w okresie 28 dni – brak metaanalizy, wyniki podane dla poszczególnych badań	600mg/d - dopiero w badaniu o większej liczbie pacjentów 900mg/d i 1200mg/d we wszystkich badaniach, w których te dawki były podawane*	600mg/d i 900mg/d w badaniu o większej liczbie pacjentów 1200mg/d we wszystkich badaniach, w których dawka ta była podawana*
Średnia procentowej zmiany łącznej częstości napadów padaczkowych	900mg/d (WMD=-18,29, p=0,017) 1200mg/d (WMD=-23,56, p=0,0005)	brak istotnej statystycznie różnicy dla wszystkich dawek

częściowych w okresie 28 dni		
Odsetek odpowiedzi - proporcja pacjentów z $\geq 50\%$ redukcją całkowitej częstości napadów padaczkowych częściowych w okresie 28 dni	600mg/d (RB=1,71, p=0,001, NNT=9) 900mg/d (RB=2,19, p<0,0001, NNT=6) 1200mg/d (RB=2,36, p<0,0001, NNT=5)	900mg/d (RB=2,13, p<0,0001, NNT=5) 1200mg/d (RB=2,12, p<0,0001, NN=4)
Odsetek pacjentów, u których redukcja częstości napadów padaczkowych wynosiła od 75 do 100%	900mg/d (RB=1,86, p=0,19, NNT=16)	600mg/d (RB=2,00, p=0,009, NNT=13) 900mg/d (RB=2,40, p=0,001, NNT=10) 1200mg/d (RB=2,90, p<0,0001, NNT=6)
Odsetek pacjentów, u których redukcja częstości napadów padaczkowych wynosiła od 50 do 75%	600mg/d (RB=2,08, p=0,001, NNT=10) 900mg/d (RB=2,44, p<0,0001, NNT=8) 1200mg/d (RB=2,14, p=0,0003, NNT=8)	900mg/d (RB=1,97, p=0,0007, NNT=8) 1200mg/d (RB=1,57, p=0,04, NNT=13)
Odsetek pacjentów, u których redukcja częstości napadów padaczkowych wynosiła od 25 do 50%	brak istotnych statystycznie różnic między retygabiną we wszystkich dawkach a aktywnym placebo	
Odsetek pacjentów, u których nie występują napady padaczkowe	1200mg/d (Peto OR=3,67, p=0,027, NNT=33)	1200mg/d (RB=3,45, p=0,015, NNT=18)
Procent czasu trwania leczenia (dni), w którym napady padaczkowe nie wystąpiły	brak istotnej statystycznie różnicy pomiędzy grupą otrzymującą retygabinę we wszystkich dawkach a grupą otrzymującą aktywne placebo	
Odsetek pacjentów, u których nie nastąpiła zmiana lub nastąpił wzrost częstości napadów padaczkowych	900mg/d (RR=0,75, p=0,03, NNT=12) 1200mg/d (RR=0,73, p=0,03, NNT=11)	900mg/d (RR=0,72, p=0,045, NNT=13) 1200mg/d (RR=0,58, p=0,005, NNT=9)

\* Szczegóły: tab. 12 w analizie weryfikacyjnej

Porównania pośrednie retygabiny z aktywnymi komparatorami poprzez aktywne placebo:

Wobec braku pierwotnych badań klinicznych porównujących bezpośrednio retygabinę z aktywnymi komparatorami, podmiot odpowiedzialny przeprowadził porównania pośrednie z lewetiracetamem, lakozamidem i topiramatem poprzez aktywne placebo jako wspólny komparator. Porównanie pośrednie z pozostałymi aktywnymi komparatorami, tj. okskarbazepiną, tiagabiną, gabapentyną, wigabatryną i lamotryginą nie było możliwe ze względu na zbyt duże różnice w metodyce i sposobie przeprowadzenia uwzględnionych badań klinicznych.

*Retygabina vs lewetiracetam:* retygabina w dobowych dawkach 600 mg, 900 mg i 1200 mg nie wykazuje istotnych statystycznie różnic względem lewetiracetamu w dobowych dawkach 1000 mg, 2000 mg i 3000 mg, w zakresie takich punktów końcowych jak: odsetek odpowiedzi, czyli proporcja pacjentów z  $\geq 50\%$  redukcją całkowitej częstości napadów padaczkowych częściowych, proporcja pacjentów z  $\geq 75\%$  redukcją całkowitej częstości napadów padaczkowych częściowych oraz odsetek pacjentów wolnych od napadów padaczkowych dla wszystkich analizowanych kombinacji dawek.

*Retygabina vs topiramat:* stosowanie topiramatu w dobowych dawkach 600 mg, 800 mg lub 1000 mg jest istotnie bardziej skuteczne niż podawanie retygabiny w dawce 600 mg/dobę oraz stosowanie topiramatu w dawce 600 mg/dobę jest istotnie bardziej skuteczne niż podawanie retygabiny w dawce 900 mg/dobę ( $0,01 < p < 0,05$ ) odnośnie do odsetka pacjentów osiągających co najmniej 75% redukcję częstości napadów padaczkowych. Stosowanie retygabiny nie wykazuje różnic istotnych statystycznie względem topiramatu ( $p > 0,05$ ) odnośnie do odsetka pacjentów uzyskujących co najmniej 75% redukcję częstości napadów padaczkowych, dla pozostałych analizowanych kombinacji dawek: retygabina 600 mg/dobę vs topiramat 200 mg/dobę, 400 mg/dobę, retygabina 900 mg/dobę vs topiramat 200 mg/dobę, 400 mg/dobę, 800 mg/dobę, 1000 mg/dobę, retygabina 1200 mg/dobę vs topiramat 200 mg/dobę, 400 mg/dobę, 600 mg/dobę, 800 mg/dobę, 1000 mg/dobę. Podawanie retygabiny nie wykazuje różnic istotnych statystycznie względem topiramatu ( $p > 0,05$ ) w zakresie odsetka odpowiedzi, czyli proporcji pacjentów z  $\geq 50\%$  redukcją całkowitej częstości napadów padaczkowych częściowych dla wszystkich analizowanych kombinacji dawek: retygabina 600 mg/dobę, 900 mg/dobę i 1200 mg/dobę vs topiramat 200 mg/dobę, 400 mg/dobę, 600 mg/dobę, 800 mg/dobę, 1000 mg/dobę.

*Retygabina vs lakozamid:* na podstawie wyników porównania pośredniego stwierdzono, że stosowanie retygabiny (w dobowych dawkach 600 mg, 900 mg lub 1200 mg) nie wykazuje istotnych statystycznie różnic względem lakozamidu (w dobowych dawkach 200 mg lub 400 mg) odnośnie do odsetka odpowiedzi, czyli proporcji pacjentów uzyskujących  $\geq 50\%$  lub  $\geq 75\%$  redukcję częstości napadów padaczkowych oraz odsetka pacjentów, u których nie występują napady padaczkowe, dla wszystkich analizowanych kombinacji dawek.

## Skuteczność praktyczna

W analizie klinicznej wnioskodawcy nie przedstawiono danych dotyczących skuteczności praktycznej. Nie odnaleziono badań obserwacyjnych przeprowadzonych po wprowadzeniu ocenianego produktu do obrotu.

## Bezpieczeństwo stosowania

Podmiot odpowiedzialny dostarczył analizę wspólną dla produktów leczniczych Trobalt w opakowaniach: 50 mg 21 tab., 50 mg 84 tab., 100 mg 84 tab., 200 mg 84 tab., 300 mg 84 tab., 400 mg 84 tab. oraz 50 mg 21 tab. + 100 mg 42 tab., której celem była ocena bezpieczeństwa stosowania retygabiny w porównaniu z komparatorami.

### Porównanie bezpośrednie retygabiny z aktywnym placebo:

Analiza bezpieczeństwa została wykonana w oparciu o badania 205, 301 i 302. Zdarzenia niepożądane były zazwyczaj związane z zaburzeniami w obrębie ośrodkowego systemu nerwowego, większość z nich pojawiała się w fazie wymuszonego zwiększania dawki (titracji) i zazwyczaj zmniejszała nasilenie w fazie podtrzymania. Zauważyć można, że wzrost dawki zazwyczaj przekładał się na wzrost toksyczności leczenia, a także rezygnacji z badania z powodu zdarzeń niepożądanych i tak w badaniu:

- 205 w grupie placebo z powodu zdarzeń niepożądanych z badania zrezygnowało 12,5% pacjentów, w grupie otrzymującej 600 mg retygabiny – 17%, w grupie otrzymującej 900 mg retygabiny – 20%, natomiast w grupie otrzymującej 1200 mg retygabiny – prawie 30%,
- 302 w grupie placebo z powodu zdarzeń niepożądanych z badania zrezygnowało 8% pacjentów, w grupie otrzymującej 600 mg retygabiny – 17%, w grupie otrzymującej 900 mg retygabiny – 26%,
- 301 w grupie placebo z powodu zdarzeń niepożądanych z badania zrezygnowało 8,6% pacjentów, a w grupie otrzymującej 1200mg retygabiny – prawie 27% pacjentów .

Rezygnacje z badania w grupie placebo w ok. 50% spowodowane były przez zdarzenia niepożądane, natomiast w grupie retygabiny w ok. 50-80% w miarę wzrostu dawki. Najczęstszymi zdarzeniami niepożądanymi w grupie retygabiny w porównaniu do grupy placebo były zaburzenia typowe dla leków przeciwpadaczkowych: senność, zawroty głowy, stan splątania, zaburzenia mowy, zmęczenie, drżenie, amnezja, zaburzenie myślenia, zaburzenia chodu i parestezje. Ogólnie, podawanie retygabiny w badaniach klinicznych związane było z licznymi zdarzeniami niepożądanymi, ale zazwyczaj były one nieciężkie. W opinii *Committee for Medicinal Products for Human Use* (CHMP) oceniającego retygabinę w ramach centralnej procedury rejestracyjnej, szczególny nacisk powinien być kładziony na obserwowanie i ocenę zaburzeń ze strony układu moczowego w czasie stosowania retygabiny.

### Porównania pośrednie retygabiny z aktywnymi komparatorami poprzez aktywne placebo:

*Retygabina vs lewetiracetam:* W przeprowadzonej analizie profilu bezpieczeństwa wykazano, że przyjmowanie retygabiny istotnie zwiększa ryzyko takich zdarzeń niepożądanych jak: rezygnacja z leczenia z powodu działań niepożądanych (retygabina 1200 mg/dobę vs lewetiracetam 1000 mg/dobę,  $p=0,005$  oraz retygabina 1200 mg/dobę vs lewetiracetam 3000 mg/dobę,  $p=0,04$ ), zawroty głowy (retygabina 900 mg/dobę vs lewetiracetam 3000 mg/dobę,  $p=0,003$  oraz retygabina 1200 mg/dobę vs lewetiracetam 3000 mg/dobę,  $p=0,0029$ ), senność (retygabina 900 mg/dobę vs lewetiracetam 3000 mg/dobę,  $p=0,02$  oraz retygabina 1200 mg/dobę vs lewetiracetam 3000 mg/dobę,  $p=0,003$ ).

*Retygabina vs topiramate:* Analiza profilu bezpieczeństwa obu leków wykazała, że stosowanie retygabiny w dawkach 900 mg/dobę lub 1200 mg/dobę w miejsce topiramatu w dawkach 200 mg/dobę lub 400 mg/dobę istotnie zwiększa ryzyko zawrotów głowy ( $p<0,05$ ).

*Retygabina vs lakozamid:* Stosowanie retygabiny w dawce 900 mg/dobę zamiast lakozamidu w dawce 400 mg/dobę zwiększa ryzyko drżenia ( $p<0,05$ ), natomiast stosowanie retygabiny w dawce 600 mg/dobę zamiast lakozamidu w dawce 200 mg/dobę zwiększa ryzyko zmęczenia ( $p<0,05$ ) –



należy jednak podkreślić, że różnica ta nie dotyczy porównania dawek sobie odpowiadających (retygabina 600 mg/doba odpowiada lakozamid 300 mg/doba).

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Wnioskodawca nie zaproponował instrumentu dzielenia ryzyka.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Podmiot odpowiedzialny dostarczył analizę, której celem była ocena zasadności ekonomicznej stosowania produktu leczniczego Trobalt (retygabina) w leczeniu padaczki o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia) w porównaniu z aktywnym placebo oraz w porównaniu z produktem leczniczym Vimpat (lakozamid).

Dla porównania retygabiny z aktywnym placebo przeprowadzona została analiza kosztów-żyteczności w horyzoncie czasowym 3 lat, przy użyciu modelu Markowa, w którym uwzględniono m.in. schemat dawkowania retygabiny oraz średnią cenę jej różnych dawek i opakowań ważonych udziałami sprzedaży w Wielkiej Brytanii i Niemczech. Dla porównania retygabiny z lakozamidem przeprowadzono analizę minimalizacji kosztów w horyzoncie czasowym 1 roku. Wyniki przedstawiono z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, perspektywy wspólnej podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorcy oraz perspektywy społecznej.

Inkrementalny współczynnik kosztów-żyteczności (ICUR) dla porównania retygabiny z aktywnym placebo wyniósł [REDAKT] zł z perspektywy płatnika publicznego, [REDAKT] z perspektywy wspólnej oraz [REDAKT] zł z perspektywy społecznej.

Przy wnioskowanej cenie zbytu netto ICUR dla leków Trobalt jest [REDAKT] od aktualnego progu opłacalności 99 543 zł (3xPKB per capita), a nawet [REDAKT], co sugeruje że wnioskowana technologia lekowa jest [REDAKT] w stosunku do placebo.

Natomiast dla porównania retygabiny z lakozamidem, przy założeniu ich współfinansowania ze środków publicznych zarówno w ramach odrębnej, jak i wspólnej grupy limitowej, stosowanie retygabiny jest [REDAKT] od stosowania lakozamidu w analizowanym wskazaniu, chyba że [REDAKT] przy uwzględnieniu dawkowania retygabiny i lakozamidu na poziomie zdefiniowanych dziennych dawek.

Analiza wrażliwości wykazała stabilność przedstawionych wyników. Należy zauważyć jednak, że przyjęty trzyletni horyzont czasowy może być zbyt krótki dla oszacowania wszystkich kosztów i efektów zdrowotnych leczenia padaczki, która jest chorobą przewlekłą. Ponadto dobór aktywnego placebo lub leku Vimpat jako komparatorów oznacza przeprowadzenie porównania z postępowaniem, które nie pokrywa się z najczęstszą praktyką kliniczną, a w przypadku leku Vimpat wyniki analizy mogą być wypaczone [REDAKT] ocenianej interwencji, gdyż Vimpat jest lekiem nier refundowanym, a jego aktualną cenę na rynku prywatnym można uznać za [REDAKT].

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Podmiot odpowiedzialny dostarczył analizę, której celem była ocena wpływu na system ochrony zdrowia podjęcia decyzji o współfinansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego Trobalt (retygabina) stosowanego w terapii wspomagającej dorosłych pacjentów z padaczką oporną na leczenie po co najmniej trzech nieskutecznych próbach leczenia (w założeniu: lekami refundowanymi w leczeniu padaczki z grupy „P” oraz co najmniej jednym lekiem refundowanym w padaczce odpornej na leczenie z grupy „Epi-lo”).

Analizę przeprowadzono zarówno z perspektywy płatnika publicznego (NFZ), jak i pacjenta. Horyzont czasowy obejmuje okres od 01.10.2012 do końca 2015 r., tj. do czasu ustabilizowania się rynku (na podstawie modelowania przeprowadzonego przez wnioskodawcę). Założono, że poszczególne opakowania produktu leczniczego Trobalt będą zaliczone do jednej, nowo utworzonej grupy

limitowej z odpłatnością ryczałtową dla pacjenta. Porównano scenariusz istniejący (w przypadku braku finansowania ze środków publicznych ocenianej technologii lekowej) ze scenariuszem nowym (gdy stosowanie produktu leczniczego Trobalt w leczeniu dodanym analizowanych pacjentów będzie objęte współfinansowaniem ze środków publicznych), a także wyznaczono scenariusz maksymalny i minimalny (wyniki podano w nawiasach).

Wykonano obliczenia dla populacji po co najmniej jednej nieskutecznej lub nietolerowanej próbie leczenia z wykorzystaniem substancji czynnych z grupy Epi-lo; wartości inkrementalne związane z objęciem refundacją retygabiny z perspektywy płatnika publicznego oszacowano na: [redacted] zł (min: [redacted] zł; maks: [redacted] zł) w 2012 r., a w kolejnych latach na odpowiednio: [redacted] zł (min: [redacted] zł, maks: [redacted] zł), [redacted] zł (min: [redacted] zł; maks: [redacted] zł) oraz [redacted] zł (min: [redacted] zł, maks: [redacted] zł). Z perspektywy pacjenta wydatki inkrementalne oszacowano na: [redacted] zł (min: [redacted] zł; maks: [redacted] zł) w 2012 r., a w kolejnych latach na odpowiednio: [redacted] zł (min: [redacted] zł; maks: [redacted] zł), [redacted] zł (min: [redacted] zł; maks: [redacted] zł) oraz [redacted] zł (min: [redacted] zł; maks: [redacted] zł).

Ponadto, korzystając z modelu dostarczonego przez podmiot odpowiedzialny, analitycy AOTM dokonali obliczeń, zawężając docelową populację do pacjentów po co najmniej dwóch oraz co najmniej trzech nieskutecznych lub nietolerowanych próbach leczenia z wykorzystaniem substancji czynnej z grupy Epi-lo, aby zobrazować, jak zmieniałyby się koszty refundacji przy kolejnych zawężeniach populacji docelowej. We wszystkich analizowanych scenariuszach można zaobserwować [redacted] inkrementalnych kosztów zarówno z perspektywy płatnika, jak i pacjenta.

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

W analizie racjonalizacyjnej wnioskodawca zaproponował rozwiązanie, które ma wygenerować oszczędności – ok. [redacted] zł w horyzoncie czasowym zbieżnym z analizą wpływu na budżet. W strukturze uwolnionych środków publicznych zdecydowanie największy udział przypada środkom wygenerowanym w związku z propozycją [redacted]. Zaproponowane rozwiązanie nie dotyczy produktów podmiotu odpowiedzialnego, ani innych produktów leczniczych stosowanych w padaczce.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Odnaleziono dwie rekomendacje klinicznie odnośnie do rozpatrywanego zagadnienia – brytyjskie rekomendacje NICE oraz opierające się na nich rekomendacje polskie. Obie wskazują na możliwość stosowania retygabiny u pacjentów z padaczką ogniskową lekooporną. Rekomendacje polskie stwierdzają, że w sytuacji, gdy kolejna terapia nie prowadzi do pełnej kontroli napadów lub występują objawy nietolerancji, należy podjąć próbę dalszej modyfikacji leczenia, stosując leki klasyczne, takie jak fenobarbital czy fenytoina, ale również rozważyć leki nowszej generacji – wigabatrynę, tiagabinę oraz leki najnowsze, a więc pregabalinę, zonisamid, octan eslikarbazepiny, retygabinę czy lakozamid. Rekomendacje NICE stwierdzają, że retygabina jest zalecana jako alternatywna opcja leczenia wspomagającego tylko w sytuacji, gdy wcześniejsze leczenie przy zastosowaniu karbamazepiny, klobazamu, gabapentyny, lamotryginy, lewetiracetamu, okskarbazepiny, walproinianu sodu, topiramatu nie przyniosło adekwatnej odpowiedzi na leczenie lub było nietolerowane.

Odnaleziono trzy pozytywne rekomendacje finansowe – NICE, SMC oraz HAS – w odniesieniu do stosowania retygabiny u dorosłych pacjentów w wieku 18 lat i więcej z napadami o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia, przy czym NICE wymaga, aby lek był stosowany, gdy nieskuteczne lub nietolerowane były inne wcześniejsze terapie (patrz powyżej). Odnaleziono jedną negatywną rekomendację niemieckiego IQWiG, który stwierdza, że nie ma wystarczających dowodów na dodatkowe korzyści z włączenia retygabiny do terapii pacjentów z padaczką lekooporną na podstawie dokumentacji przedstawionej przez producenta. Ponadto duński IRP w 2011 r. uznał, że efektywność Trobaltu jest porównywalna do innych nowych leków przeciwpadaczkowych zarejestrowanych jako terapia wspomagająca w leczeniu padaczki lekoopornej. Jednakże, efekty uboczne terapii i przede wszystkim brak jasnej korelacji między dawką a występowaniem tych efektów sprawia, że stosowanie retygabiny jest mniej korzystne niż innych

leków przeciwpadaczkowych obecnie znajdujących się na rynku. Ponadto, retygabina jest o ok. 25% droższa niż obecnie stosowane najdroższe terapie wspomagające (Vimpat) znajdujące się na liście rekomendacyjnej. Dlatego retygabina powinna być przepisywana tylko tym pacjentom, którzy nie odpowiadają lub nie tolerują innych leków przeciwpadaczkowych. Trobalt w Danii jest objęty „ogólną refundacją”.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....  
[Redacted]  
[Redacted]

#### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 19 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-OT-4350-10/2012, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Trobalt (retygabina) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)”, lipiec 2012 r.

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

1. Opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady w dniu 16.07.2012 r.

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 40/2012 z dnia 16 lipca 2012 r.  
w sprawie zasadności finansowania  
produktu leczniczego Trobalt (retigabina) (EAN 5909990852680)  
we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym  
uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w  
wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas  
refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był  
nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)

*Rada uważa za zasadne finansowanie produktu leczniczego Trobalt (retigabina) (EAN 5909990852680) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia), z odpłatnością ryczałtową, z oddzielną grupą limitową dla tego leku. Wnioskodawca nie zaproponował programu lekowego, ani instrumentu podziału ryzyka.*

**Uzasadnienie**

*Rada uważa za zasadne stosowanie leku Trobalt, gdyż u części chorych pozwala na całkowitą remisję choroby.*

**Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Trobalt (retigabinum) we wskazaniu: terapia wspomagająca leczenie napadów padaczkowych o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia). Wniosek dotyczy zamieszczenia w Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych jako

**[REDACTED]** w ramach odrębnej grupy limitowej następujących dawek i opakowań:

- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab.; EAN 5909990852222
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 84 tab.; EAN 5909990852239
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 100 mg 84 tab., EAN 5909990852598
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 200 mg 84 tab., EAN 5909990852628
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 300 mg 84 tab.; EAN 5909990852642
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 400 mg 84 tab.; EAN 5909990852666
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab. + 100 mg 42 tab.; EAN 5909990852680.

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab. + 100 mg 42 tab.; EAN 5909990852680

### **Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....  
[Redacted signature block]

### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 19 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-OT-4350-10/2012, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Trobalt (retigabina) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)”, lipiec 2012 r.

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

1. Opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady w dniu 16.07.2012 r.



**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 41/2012 z dnia 16 lipca 2012 r.  
w sprawie zasadności finansowania  
produktu leczniczego Trobalt (retigabina) (EAN 5909990852239)  
we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym  
uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w  
wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas  
refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był  
nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)**

*Rada uważa za zasadne finansowanie produktu leczniczego Trobalt (retigabina) (EAN 5909990852239) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia), z odpłatnością ryczałtową, z oddzielną grupą limitową dla tego leku. Wnioskodawca nie zaproponował programu lekowego, ani instrumentu podziału ryzyka.*

**Uzasadnienie**

*Rada uważa za zasadne stosowanie leku Trobalt, gdyż u części chorych pozwala na całkowitą remisję choroby.*

**Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Trobalt (retigabinum) we wskazaniu: terapia wspomagająca leczenie napadów padaczkowych o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia). Wniosek dotyczy zamieszczenia w Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych jako

[REDAKTED] w ramach odrębnej grupy limitowej następujących dawek i opakowań:

- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab.; EAN 5909990852222
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 84 tab.; EAN 5909990852239
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 100 mg 84 tab., EAN 5909990852598
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 200 mg 84 tab., EAN 5909990852628
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 300 mg 84 tab.; EAN 5909990852642
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 400 mg 84 tab.; EAN 5909990852666
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab. + 100 mg 42 tab.; EAN 5909990852680.



Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 84 tab.; EAN 5909990852239.

**Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....  
[Redacted signature area]

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 19 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-OT-4350-10/2012, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Trobalt (retigabina) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)”, lipiec 2012 r.

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

1. Opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady w dniu 16.07.2012 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 42/2012 z dnia 16 lipca 2012 r.  
w sprawie zasadności finansowania  
produktu leczniczego Trobalt (retigabina) (EAN 5909990852598)  
we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym  
uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w  
wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas  
refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był  
nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)

*Rada uważa za zasadne finansowanie produktu leczniczego Trobalt (retigabina) (EAN 5909990852598) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia), z odpłatnością ryczałtową, z oddzielną grupą limitową dla tego leku. Wnioskodawca nie zaproponował programu lekowego, ani instrumentu podziału ryzyka.*

**Uzasadnienie**

*Rada uważa za zasadne stosowanie leku Trobalt, gdyż u części chorych pozwala na całkowitą remisję choroby.*

**Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Trobalt (retigabium) we wskazaniu: terapia wspomagająca leczenie napadów padaczkowych o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia). Wniosek dotyczy zamieszczenia w Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych jako

**[REDAKOWANE]** w ramach odrębnej grupy limitowej następujących dawek i opakowań:

- Trobalt (retigabium); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab.; EAN 5909990852222
- Trobalt (retigabium); tabletki powlekane; 50 mg 84 tab.; EAN 5909990852239
- Trobalt (retigabium); tabletki powlekane; 100 mg 84 tab., EAN 5909990852598
- Trobalt (retigabium); tabletki powlekane; 200 mg 84 tab., EAN 5909990852628
- Trobalt (retigabium); tabletki powlekane; 300 mg 84 tab.; EAN 5909990852642
- Trobalt (retigabium); tabletki powlekane; 400 mg 84 tab.; EAN 5909990852666
- Trobalt (retigabium); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab. + 100 mg 42 tab.; EAN 5909990852680.





Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 100 mg 84 tab.; EAN 5909990852598.

**Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....  
[Redacted signature area]

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 19 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-OT-4350-10/2012, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Trobalt (retigabina) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)”, lipiec 2012 r.

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

1. Opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady w dniu 16.07.2012 r.

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 43/2012 z dnia 16 lipca 2012 r.  
w sprawie zasadności finansowania  
produktu leczniczego Trobalt (retigabina) (EAN 5909990852628)  
we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym  
uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w  
wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas  
refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był  
nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)

*Rada uważa za zasadne finansowanie produktu leczniczego Trobalt (retigabina) (EAN 5909990852628) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia), z odpłatnością ryczałtową, z oddzielną grupą limitową dla tego leku. Wnioskodawca nie zaproponował programu lekowego, ani instrumentu podziału ryzyka.*

**Uzasadnienie**

*Rada uważa za zasadne stosowanie leku Trobalt, gdyż u części chorych pozwala na całkowitą remisję choroby.*

**Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Trobalt (retigabinum) we wskazaniu: terapia wspomagająca leczenie napadów padaczkowych o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia). Wniosek dotyczy zamieszczenia w Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych jako

[REDAKCYJNE] w ramach odrębnej grupy limitowej następujących dawek i opakowań:

- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab.; EAN 5909990852222
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 84 tab.; EAN 5909990852239
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 100 mg 84 tab., EAN 5909990852598
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 200 mg 84 tab., EAN 5909990852628
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 300 mg 84 tab.; EAN 5909990852642
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 400 mg 84 tab.; EAN 5909990852666
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab. + 100 mg 42 tab.; EAN 5909990852680.

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 200 mg 84 tab.; EAN 5909990852628.

**Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....  
[Redacted signature area]

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 19 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-OT-4350-10/2012, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Trobalt (retigabina) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)”, lipiec 2012 r.

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

1. Opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady w dniu 16.07.2012 r.

**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 44/2012 z dnia 16 lipca 2012 r.  
w sprawie zasadności finansowania  
produktu leczniczego Trobalt (retigabina) (EAN 5909990852642)  
we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym  
uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w  
wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas  
refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był  
nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)**

*Rada uważa za zasadne finansowanie produktu leczniczego Trobalt (retigabina) (EAN 5909990852642) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia), z odpłatnością ryczałtową, z oddzielną grupą limitową dla tego leku. Wnioskodawca nie zaproponował programu lekowego, ani instrumentu podziału ryzyka.*

#### **Uzasadnienie**

*Rada uważa za zasadne stosowanie leku Trobalt, gdyż u części chorych pozwala na całkowitą remisję choroby.*

#### **Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Trobalt (retigabinum) we wskazaniu: terapia wspomagająca leczenie napadów padaczkowych o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia). Wniosek dotyczy zamieszczenia w Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych jako

[REDACTED] w ramach odrębnej grupy limitowej następujących dawek i opakowań:

- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab.; EAN 5909990852222
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 84 tab.; EAN 5909990852239
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 100 mg 84 tab., EAN 5909990852598
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 200 mg 84 tab., EAN 5909990852628
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 300 mg 84 tab.; EAN 5909990852642
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 400 mg 84 tab.; EAN 5909990852666
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab. + 100 mg 42 tab.; EAN 5909990852642.

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 300 mg 84 tab.; EAN 5909990852642.

### **Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....  
[Redacted signature area]

### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 19 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-OT-4350-10/2012, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Trobalt (retigabina) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)”, lipiec 2012 r.

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

1. Opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady w dniu 16.07.2012 r.

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 45/2012 z dnia 16 lipca 2012 r.  
w sprawie zasadności finansowania  
produktu leczniczego Trobalt (retygabina) (EAN 5909990852666)  
we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym  
uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w  
wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas  
refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był  
nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)

*Rada uważa za zasadne finansowanie produktu leczniczego Trobalt (retygabina) (EAN 5909990852666) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia), z odpłatnością ryczałtową, z oddzielną grupą limitową dla tego leku. Wnioskodawca nie zaproponował programu lekowego, ani instrumentu podziału ryzyka.*

**Uzasadnienie**

*Rada uważa za zasadne stosowanie leku Trobalt, gdyż u części chorych pozwala na całkowitą remisję choroby.*

**Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Trobalt (retigabinum) we wskazaniu: terapia wspomagająca leczenie napadów padaczkowych o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia). Wniosek dotyczy zamieszczenia w Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych jako [REDACTED]

[REDACTED] w ramach odrębnej grupy limitowej następujących dawek i opakowań:

- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab.; EAN 5909990852222
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 84 tab.; EAN 5909990852239
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 100 mg 84 tab., EAN 5909990852598
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 200 mg 84 tab., EAN 5909990852628
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 300 mg 84 tab.; EAN 5909990852642
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 400 mg 84 tab.; EAN 5909990852666
- Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 50 mg 21 tab. + 100 mg 42 tab.; EAN 5909990852680.

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Trobalt (retigabinum); tabletki powlekane; 400 mg 84 tab.; EAN 5909990852666.

**Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

**Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 39/2012.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....  
[Redacted]  
[Redacted]

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 19 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-OT-4350-10/2012, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Trobalt (retigabina) we wskazaniu: padaczka o początku ogniskowym z wtórnym uogólnieniem lub bez wtórnego uogólnienia u osób dorosłych w wieku 18 lat i więcej, u których co najmniej jeden dotychczas refundowany lek stosowany w padaczce lekoopornej był nieskuteczny lub nietolerowany (III linia leczenia)”, lipiec 2012 r.

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

1. Opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady w dniu 16.07.2012 r.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 139/2012 z dnia 16 lipca 2012 r.  
w sprawie podtrzymania albo niepodtrzymania stanowiska Rady  
Konsultacyjnej nr 4/02/2009 z dnia 19 stycznia 2009 r.  
dotyczącego finansowania nieinwazyjnej wysokiej rozdzielczości  
koronarografii metodą tomografii komputerowej u pacjentów  
z pośrednim ryzykiem choroby wieńcowej

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne podtrzymanie stanowiska Rady Konsultacyjnej nr 4/02/2009 z dnia 19 stycznia 2009 r. dotyczącego finansowania nieinwazyjnej wysokiej rozdzielczości koronarografii metodą tomografii komputerowej u pacjentów z pośrednim ryzykiem choroby wieńcowej*

**Uzasadnienie**

*Nie pojawiły się nowe dane naukowe, wpływające na treść poprzedniej rekomendacji.*

**Przedmiot opinii**

Przedmiotem niniejszej opinii jest zasadność finansowania nieinwazyjnej wysokiej rozdzielczości koronarografii metodą tomografii komputerowej u pacjentów z pośrednim ryzykiem choroby wieńcowej. Ponowna ocena przedmiotowej technologii została podjęta na zlecenie Prezesa Agencji, po upływie uprzednio rekomendowanego okresu finansowania, w związku ze zleceniem Ministra Zdrowia (pismo z dnia 18 lipca 2011 r. o sygn. MZ-OZG-73-25019-2/JC/11, pismo z dnia 27 czerwca 2012 r. o sygn. MZ-OZG-73-25019-4/JC/12).

W stanowisku nr 4/02/2009 z dnia 19 stycznia 2009 r. Rada Konsultacyjna rekomendowała finansowanie MSCT64 u pacjentów z pośrednim ryzykiem choroby wieńcowej, w wysokospecjalistycznych ośrodkach zapewniających współpracę kardiologów i radiologów, przez okres dwóch lat. We wspomnianej opinii wskazano również, że krajowy nadzór kardiologiczny i radiologiczny powinien opracować szczegółowe wskazania do MSCT64 oraz określić wymagania, jakie powinny spełniać ośrodki wykonujące to badanie. Ze względu na brak danych dotyczących przydatności w praktyce klinicznej w Polsce oraz brak wyceny procedury, Rada Konsultacyjna zaleciła ponowne rozpatrzenie zasadności finansowania przedmiotowej technologii ze środków publicznych po 2 latach.

Tomografy co najmniej 64 warstwowe zapewniają szybkość akwizycji danych i rozdzielczość przestrzenną pozwalającą na wiarygodną ocenę tętnic wieńcowych – struktur trudnych w ocenie, ze względu na relatywnie mały kaliber naczyń i fakt ciągłego ruchu.

MSCT64 jest aktualnie finansowana w ramach świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej: „tomografia komputerowa tętnic wieńcowych – u pacjentów po zabiegach koronaroplastyki lub wszczepieniu by-passów” (kod 5.03.00.0000085; wartość punktowa: 55 punktów; średnia wartość 1 punktu rozliczeniowego wynosi w 2012 r. wg danych przekazanych przez NFZ 8,54 zł).





## Alternatywne świadczenia

Diagnostyka choroby wieńcowej dzieli się na nieinwazyjną i inwazyjną. Do podstawowych technik nieinwazyjnych zalicza się oznaczanie markerów martwicy mięśnia sercowego (głównie w stanach ostrych), EKG, echokardiografię spoczynkową lub wysiłkową, próbę wysiłkową, scyntyografię. „Złotym standardem” w diagnostyce choroby wieńcowej jest koronarografia pozwalająca na ocenę anatomiczną naczyń wieńcowych. Jest to badanie inwazyjne, wymagające specjalistycznego sprzętu, wysoko wykwalifikowanego personelu, obarczone działaniami niepożądanymi i kosztowne. Atutem inwazyjnej koronarografii jest możliwość jednoczesowego wykonania interwencji w zwężonym lub niedrożnym naczyniu (PCI), będącej standardem leczenia ostrych zespołów wieńcowych. Wymienione metody diagnostyki choroby wieńcowej wzajemnie się uzupełniają.

## Dowody naukowe

Radzie Przejrzystości przedstawiono przegląd rekomendacji klinicznych i refundacyjnych, opinie ekspertów klinicznych i Prezesa NFZ, raport Agencji przedstawiany Radzie Konsultacyjnej w 2008 r. (zaktualizowano wyszukiwanie przeglądów systematycznych) oraz analizę wpływu na budżet NFZ. Agencja nie przedstawiła Radzie nowych przeglądów systematycznych oceniających skuteczność lub bezpieczeństwo MSCT64, tj. opublikowanych w czasie, jaki upłynął od poprzedniej oceny tej technologii w Agencji. Materiały uzupełniono natomiast o przegląd systematyczny wydany przez *European Society of Cardiology* w 2007 r.

W stanowisku Rady Konsultacyjnej z 2009 r. wyniki oceny efektywności klinicznej podsumowano następująco:

- Oceniano przydatność kliniczną MSCT64 jako badania konkurencyjnego do koronarografii inwazyjnej u pacjentów z wysokim ryzykiem choroby wieńcowej oraz jako części procesu diagnostycznego u pacjentów z bólem w klatce piersiowej i pośrednim bądź niskim ryzykiem choroby wieńcowej.
- W metaanalizie dotyczącej bezpośredniego porównania MSCT do koronarografii na podstawie danych 1286 pacjentów, dla ostatecznej (*post-test*) częstości występowania choroby wieńcowej w badanej populacji na poziomie 58% (95% CI 23-96%) wykazano czułość 99% (95% CI 97-99%), swoistość 89% (95% CI 83-94%), wskaźnik wiarygodności wyniku dodatniego 9,3 (95% CI 5,9-15,3), wskaźnik wiarygodności wyniku ujemnego 0,02 (95% CI 0,01-0,03). W największym pojedynczym badaniu klinicznym (n=230), przyjmując 50% zwężenia naczynia jako rozpoznanie choroby wieńcowej, wykazano czułość 95%, swoistość 83%, wartość predykcyjną wyniku dodatniego 64%, wartość predykcyjną wyniku ujemnego 99%. Natomiast gdy przyjęto za punkt odcięcia zwężenie 70%, wyniki były gorsze, odpowiednio: 94%, 83%, 48%, 99%. Ponadto okazało się, że otyłość ani rytm serca nie wpływały znacząco na wyniki, natomiast indeks zwapnień tętnic wieńcowych oznaczony na ponad 400 jednostek Agatstona znacznie ograniczał swoistość rozpoznania.
- Wyniki te wskazują na dużą wartość MSCT64 jako badania wykluczającego chorobę wieńcową.
- Badano również potencjalną rolę MSCT64 jako części ścieżki diagnostycznej w izbie przyjęć u pacjentów z bólem w klatce piersiowej z niskim/pośrednim ryzykiem choroby wieńcowej. W badaniach tych przeważnie łączono strategię EKG+badania laboratoryjne z oceną anatomiczną naczyń wieńcowych (MSCT64) oraz oceną funkcjonalną mięśnia sercowego (badania wysiłkowe, echokardiografia, scyntygrafia perfuzyjna). Zastosowanie takiej strategii diagnostycznej pozwalało na bezpieczne wykluczenie istotnej choroby wieńcowej oraz uniknięcie niepotrzebnej koronarografii. W największym badaniu (n=421), spośród 343 pacjentów z wykluczeniem choroby wieńcowej na podstawie MSCT64 i scyntygrafii perfuzyjnej, tylko 6 pacjentów wymagało później koronarografii, w tym jeden rewaskularyzacji. Wśród pacjentów przyjętych do szpitala (n=78), natychmiast wykonano 50 rewaskularyzacji, wystąpił jeden zawał NSTEMI, 1 zgon a 26 pacjentów pozostało na leczeniu farmakologicznym.
- MSCT64 wpisane w odpowiednią ścieżkę diagnostyczną jest wiarygodnym badaniem wykluczającym chorobę wieńcową u pacjentów z pośrednim/niskim ryzykiem, ale nie może całkowicie zastąpić inwazyjnej koronarografii.

- Analizowana procedura wiąże się z ekspozycją pacjenta na promieniowanie jonizujące oraz ryzykiem reakcji nadwrażliwości na jodowane środki kontrastujące. Są to standardowe zagrożenia związane z każdym badaniem tomografii komputerowej.
- Charakterystyczne dla MSCT64 są tzw. przypadkowe znaleziska, czyli inne zmiany w klatce piersiowej wymagające dalszej diagnostyki (19-24% wszystkich badań). W związku z tym, ważne jest zapewnienie współpracy pomiędzy kardiologami a radiologami w zakresie interpretacji wyników tych badań.

Zgodnie z wnioskami autorów przeglądu systematycznego ESC z 2007 r. (którego nie przedstawiono Radzie Konsultacyjnej w 2008 r.), którego celem była ocena trafności diagnostycznej 64-rzędowej TK w porównaniu ze standardową, konwencjonalną angiografią wieńcową, MSCT64 może być stosowana w celu wykluczenia lub wykrycia choroby wieńcowej w ściśle wyselekcjonowanych populacjach pacjentów z podejrzeniem choroby wieńcowej. Oceniana metoda diagnostyczna ma wiele zalet, powinna być jednak stosowana z ostrożnością, mając na uwadze wysoką dawkę promieniowania oraz ryzyko konieczności przeprowadzenia ponownej oceny z zastosowaniem konwencjonalnej koronarografii, w przypadku niepowodzenia oceny przy użyciu MSCT64.

### **Efektywność kosztów i wpływ na budżet**

Radzie nie przedstawiono analizy ekonomicznej, umożliwiającej ocenę stosunku dodatkowych korzyści do dodatkowego kosztu MSCT64, w polskim systemie opieki zdrowotnej. Odnalezione zagraniczne analizy ekonomiczne, przedstawione Radzie Konsultacyjnej w 2008 r., sugerowały znaczne skrócenie czasu do diagnozy (3,4 h vs 15 h,  $p < 0,001$ ) co może przekładać się na mniejsze wydatki przy zastosowaniu diagnostyki z wykorzystaniem MSCT64. Wyniki innych doniesień były niespójne i w zależności od przyjętych założeń oscyływały między oszczędnościami a zdominowaniem strategii terapeutycznych zawierających MSCT64 jako mniej efektywnych i droższych.

W przedstawionej przez Agencję analizie wpływu na budżet liczebność populacji pacjentów korzystających z MSCT64 na koszt NFZ oszacowano na ok. 3 700 osób w skali roku i przewidziano jej niewielki wzrost w kolejnych latach. Koszt ponoszony przez NFZ w związku z refundacją MSCT64 oszacowano na od 1,7 mln zł w 2012 r. do 1,8 mln zł. w 2014 r., przy założeniu utrzymania obecnych kryteriów kwalifikacji.

### **Rekomendacje i opinie eksperckie dotyczące ocenianej technologii medycznej**

W odnalezionych przez Agencję zagranicznych rekomendacjach zaleca się stosowanie MSCT64 w diagnostyce choroby wieńcowej, z wyjątkiem zastosowania w populacjach bezobjawowych, podkreślając jednocześnie iż istnieje niewiele badań na temat powyższej metody.

W opinii proszonych o opinię ekspertów klinicznych przedmiotowa procedura powinna być finansowana ze środków publicznych, ale nie powinna być stosowana u pacjentów bezobjawowych. Podkreślano istotność ścisłego przestrzegania wskazań i dopuszczenie do wykonywania badania w wybranych ośrodkach w Polsce.

Zgodnie z danymi udostępnionymi przez NFZ oceniana technologia (świadczenie o kodzie 5.03.00.0000085) była w ostatnich latach refundowana u pacjentów z następującymi wskazaniami: angioplastyka wieńcowa z implantacją DES (ang. *drug eluting stent*), angioplastyka z implantacją nie mniej niż dwóch stentów lub wielonaczyniowa, angioplastyka z zastosowaniem jednego stentu i inne zabiegi, angioplastyka wieńcowa balonowa, koronarografia i inne zabiegi inwazyjne, pomostowanie naczyń wieńcowych zastykniętymi, pomostowanie naczyń wieńcowych >69 r.ż. lub z powikłaniami, pomostowanie naczyń wieńcowych <70 r.ż. bez powikłań. Prezes NFZ uważa za celowe podtrzymanie obecnie obowiązującego zakresu świadczenia.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie.

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 31 s ust. 6 pkt 4 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem opracowania Agencji Oceny Technologii Medycznych nr AOTM-DS-434-6, „Ponowna ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia nieinwazyjnej wysokiej rozdzielczości koronarografii metodą tomografii komputerowej do świadczeń gwarantowanych”, lipiec 2012.

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

1. Agencja Oceny Technologii Medycznych. Rada Konsultacyjna. Stanowisko nr 4/02/2009 z dnia 19 stycznia 2009 r. w sprawie finansowania nieinwazyjnej wysokiej rozdzielczości koronarografii metodą tomografii komputerowej u pacjentów z pośrednim ryzykiem choroby wieńcowej.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 140/2012 z dnia 16 lipca 2012  
o projekcie programu „Program profilaktyki próchnicy u dzieci na lata  
2013-2015” miasta Krakowa

*Rada wydaje negatywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Program profilaktyki próchnicy u dzieci na lata 2013-2015” miasta Krakowa.*

**Uzasadnienie**

*Program nie definiuje populacji dzieci, mających być jego beneficjentami. Nie zaplanowano akcji informacyjnej ani nie opracowano szczegółów edukacji pacjentów i rodziców. Zaplanowany budżet jest dalece nieadekwatny – pokryje zaledwie 1/50 potrzeb. Program powiela świadczenia gwarantowane.*

**Przedmiot opinii**

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego z zakresu profilaktyki próchnicy u dzieci zamieszkałych na terenie miasta Kraków. Populację programu stanowią dzieci z placówek oświatowych w wieku 6 – 14 lat będące mieszkańcami Krakowa. Populacją, o której wspomina się w jednym miejscu projektu są także niepełnosprawne dzieci do 18 r.ż. Za główny cel programu przyjęto obniżenie zachorowalności na chorobę próchnicową i uniknięcie następstw próchnicy nieleczzonej (chorób nieodwracalnych miążgi, chorób tkanek około wierzchołkowych, wad zgryzu, chorób odogniskowych). Jako cele szczegółowe wskazano podniesienie świadomości zdrowotnej młodzieży oraz rodziców dzieci o najniższym poziomie tej świadomości, zwiększenia odsetka dzieci i młodzieży ze zdrowym uzębieniem i przyzębieniem, a także poprawienie dostępności zabiegów profilaktycznych. Planowane działania obejmują dwa badania jamy ustnej. Podczas pierwszej wizyty następuje ocena stanu uzębienia, usunięcie płytki nazębnej, lakierowanie zębów stałych. Podczas drugiej wizyty następuje badanie kontrolne, lakowanie zębów stałych u dzieci z grupy ryzyka, lakierowanie zębów stałych.

Program ma być realizowany w latach 2013 - 2015, projekt zawiera szacowane koszty zabiegów. Projekt ma być finansowany ze środków budżetowych Urzędu Miasta Krakowa.

**Problem zdrowotny**

Najważniejszymi czynnikami ryzyka chorób jamy ustnej są: niezdrowa dieta, używanie tytoniu, szkodliwe spożywanie alkoholu i niedostateczna higiena jamy ustnej. Zachowanie zdrowia jamy ustnej umożliwia swobodę mówienia, spożywania pokarmów, utrzymywania kontaktów towarzyskich bez poczucia dyskomfortu czy skrępowania, jest integralną częścią składową zdrowia ogólnego pacjenta i przyczynia się do ogólnego dobrostanu jednostki (ang. „well being”).

Próchnica (definicja WHO) to proces patologiczny umiejscowiony, pochodzenia zewnątrzustrojowego, który prowadzi do odwapnienia i proteolitycznego rozpadu twardych tkanek zęba. Głównym czynnikiem odpowiedzialnym za jej rozwój są bakterie, które rozkładając cukry obecne w produktach żywnościowych, wytwarzają kwasy niszczące szkliwo. Ze względu na kształt anatomiczny miejscem predysponowanym do powstawania ognisk choroby próchnicowej jest powierzchnia żująca zębów bocznych.



Próchnica zębów należy do najbardziej rozpowszechnionych chorób w populacji dzieci i młodzieży. 60–90% dzieci w wieku szkolnym ma ubytki w zębach. U dzieci do 3 roku życia obserwuje się szczególnie szybki rozwój procesu próchnicowego, próchnica u małych dzieci jest problemem nie tylko stomatologicznym, ale ogólnomedycznym, społecznym i politycznym. Zęby z miazgą zainfekowaną powodują dolegliwości bólowe, miejscowe stany zapalne, a nawet choroby odogniskowe. Dzieci te często wymagają kosztownego i obciążającego organizm leczenia w znieczuleniu ogólnym. Wczesna utrata kilku zębów doprowadza do rozwoju wady zgryzu, zaburza rozwój mowy, może rzutować na samoocenę dziecka i jego kontakty w grupie rówieśników. Sugerowany związek próchnicy uzębienia mlecznego z występowaniem tej choroby w uzębieniu stałym poparty jest licznymi dowodami.

Nieleczone choroby jamy ustnej wieku dziecięcego mogą prowadzić do nieodwracalnych uszkodzeń, bólu, zniekształceń, poważniejszych problemów zdrowotnych ogólnoustrojowych, absencji w szkole, niskiej samooceny, niskiej jakości życia, a w skrajnym przypadku (jak noma – wrzodziejąco-martwicze zapalenie jamy ustnej) nawet do śmierci. Odroczenie leczenia nie tylko skutkuje pogorszeniem stanu, ale również istotnie zwiększa koszty. Koszty zaniedbań są wysokie, zarówno z perspektywy finansowej, społecznej, jak i indywidualnej. Choroba w stanie zaawansowanym może wymagać bardziej kompleksowego, droższego i prawdopodobnie bardziej traumatycznego leczenia, jak zabiegi chirurgiczne, leczenie kanałowe, ekstrakcja, leczenie w znieczuleniu ogólnym czy hospitalizacja.

Zły stan jamy ustnej w dzieciństwie często utrzymuje się w życiu dorosłym, wpływając na produktywność oraz jakość życia. Stwierdzono, że inwestowanie w prewencję chorób jamy ustnej oraz promocję zdrowia obniża koszty ponoszone w ramach wydatków na opiekę zdrowotną i w dłuższej perspektywie jest bardziej opłacalne (kosztowo-efektywne).

Zapobieganie próchnicy powinno mieć charakter kompleksowy, tzn. powinno obejmować edukację rodziców, edukację dzieci i naukę współodpowiedzialności za stan swojego zdrowia. Wiedza ta powinna dotyczyć zasad racjonalnego odżywiania, zasad higieny jamy ustnej, obowiązkowych badań kontrolnych stomatologicznych, a także regularnej profilaktyki z wykorzystaniem preparatów fluorowych. Istotnym elementem promocji zdrowia jamy ustnej są regularne, okresowe wizyty kontrolne u stomatologa.

Na podstawie analizy doświadczeń międzynarodowych WHO uznała, że najkorzystniejszym środowiskiem do wykorzystania w celu promocji zdrowia jamy ustnej jest szkoła, gdzie realizacja programów edukacji stomatologicznej przynosi najlepsze efekty i zapewnia najszerszy krąg oddziaływania.

### **Alternatywne świadczenia**

Wykazy oraz warunki realizacji świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia stomatologicznego określa Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia stomatologicznego.

Świadczenia stomatologiczne dla dzieci do ukończenia 6. roku życia obejmują załącznik nr 10 ww. Rozporządzenia): wizytę adaptacyjną z oceną stanu uzębienia za pomocą wskaźnika intensywności próchnicy PUW (liczba zębów z próchnicą usuniętych lub wypełnionych) dla zębów mlecznych, kontrolę higieny jamy ustnej, profilaktykę profesjonalną próchnicy, w tym profilaktykę fluorkową przy braku przeciwwskazań, ocenę stanu morfologicznego i funkcji żucia, zastosowanie działań zapobiegających wadom zgryzu – profilaktyka ortodontyczna.

Świadczenia ogólnostomatologiczne dla dzieci i młodzieży do ukończenia 18. r.ż. obejmują m.in. (załącznik 2 ww. Rozporządzenia): badanie lekarskie stomatologiczne z instruktażem higieny jamy ustnej 1 raz w okresie 12 miesięcy, badanie lekarskie kontrolne 3 razy w okresie 12 miesięcy, badanie lekarza specjalisty z krótką pisemną oceną i wskazaniem diagnostyczno-terapeutycznymi dla lekarza prowadzącego, bez powiązania z innymi świadczeniami gwarantowanymi, zabezpieczenie bruzd zębów szóstych lakiem szczelinowym – 1 raz do ukończenia 7. roku życia, lakierowanie wszystkich zębów stałych nie częściej niż 1 raz na kwartał – za każdą 1/4 łuku zębowego, usunięcie złogów nazębnych nie częściej niż 1 raz na 6 miesięcy w obrębie całego uzębienia.

Świadczenia stomatologiczne dla dzieci i młodzieży do ukończenia 19. r.ż. (załącznik 11 ww. Rozporządzenia) obejmują: wiek 7 lat – ocenę stanu uzębienia za pomocą wskaźnika intensywności próchnicy PUW (DMF) dla zębów stałych i PUW dla zębów mlecznych (puw), oddzielne podanie poszczególnych składowych wskaźnika PUW dla zębów stałych i wskaźnika PUW dla zębów mlecznych, wykrywanie nieprawidłowości (wad) zgryzu: wyraźnego zniekształcenia lub wyraźnego ograniczenia funkcji żucia lub gryzienia, kwalifikację do szczególnej opieki stomatologicznej, w tym profesjonalna profilaktyka fluorkowa; wiek 10 lat: – j.w.; wiek 12 i 13 lat – j.w. – dla zębów stałych.

W załączniku 4 do Rozporządzenia Ministra Zdrowia z 29.08.2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej, w zakresie świadczeń gwarantowanych pielęgniarstwa lub higienistki szkolnej udzielanych w środowisku nauczania i wychowania znajduje się „prowadzenie u uczniów szkół podstawowych (klasy I–VI) znajdujących się na obszarach gdzie poziom fluorków w wodzie pitnej nie przekracza wartości 1 mg/l, grupowej profilaktyki fluorkowej metodą nadzorowanego szczotkowania zębów preparatami fluorkowymi”.

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

Podstawowe zalecenia dotyczące profilaktyki próchnicy wynikające z odnalezionych wytycznych opartych na systematycznych przeglądach dowodów naukowych (również wskazówki Polskiego Towarzystwa Stomatologicznego oraz pytanym o opinię specjalistów, stanowiące zalecenia na poziomie stanowiska eksperckiego, są zgodne z poniższymi stwierdzeniami):

- Praktyczną, skuteczną i powszechną metodą ograniczania próchnicy jest fluorowanie wody pitnej. Skutecznym działaniem w pierwotnej profilaktyce próchnicy jest codzienna ekspozycja na fluor przyjmowany z wodą oraz monitorowane stosowanie past fluorkowych.
- Istotnym elementem promocji zdrowia jamy ustnej są regularne, okresowe wizyty kontrolne. Zalecany odstęp między kolejnymi badaniami kontrolnymi powinien być dostosowany do potrzeb pacjenta i określony na podstawie oceny ryzyka próchnicy oraz zaawansowania/aktywności choroby; Istotnym elementem procesu decyzyjnego powinna być ocena ryzyka próchnicy u każdego pacjenta, okresowo weryfikowana;
- W profilaktyce próchnicy można stosować cztery proste metody o udowodnionej skuteczności: szczotkowanie zębów pastą z fluorem, porada dietetyczna (m.in. dotycząca ograniczenia spożycia cukrów), preparaty fluorowe do stosowania miejscowego (np. pasty do zębów, żele, płyny do płukania ust, lakiery) oraz laki szczelinowe (uszczelniacze) do zabezpieczania bruzd zębów trzonowych;
- Niezbędnym elementem profilaktyki próchnicy jest zdrowa dieta w zakresie spożywania cukrów: w przypadku pragnienia dziecko powinno pić wodę; posiłki zawierające cukry powinny być spożywane przez dzieci zagrożone próchnicą nie częściej niż 3–4 razy w ciągu dnia; wskazane jest prowadzenie w szkole zajęć edukacyjnych w zakresie higieny jamy ustnej, w tym związku między spożywaniem cukrów i rozwojem próchnicy;
- Podstawową metodą zapobiegania próchnicy powinno być dwukrotne w ciągu dnia szczotkowanie zębów pastą z fluorem o zawartości fluoru min 1000 ppm (dla małych dzieci wskazane są pasty z obniżoną zawartością fluoru);
- W grupie podwyższonego ryzyka próchnicy powinna być stosowana profesjonalna profilaktyka fluorkowa w odstępach 6-miesięcznych, a w grupie wysokiego ryzyka – w odstępach 3 miesięcy. Profesjonalna zapobiegawcza terapia fluorkowa nie jest wskazana u osób z niskim ryzykiem próchnicy;
- W przypadku stwierdzenia podwyższonego ryzyka rozwoju próchnicy (u pacjenta lub w odniesieniu do konkretnego zęba) należy wykonać uszczelnienie bruzd stałych zębów trzonowych lakiem, a następnie sprawdzać i w razie potrzeby uzupełnić lak podczas regularnych wizyt kontrolnych;

Dodatkowo w odniesieniu do lakowania szczelin i bruzd zębów trzonowych stałych u dzieci i młodzieży, według zaleceń American Dental Association na wczesne ogniska próchnicowe można stosować laki szczelinowe w celu zmniejszenia odsetka postępujących zmian.

Na podstawie odnalezionych dowodów naukowych należy rekomendować przedszkolne i szkolne programy prewencji próchnicy. Powinny być one tak zaprojektowane, aby uzupełniać, nie dublować świadczenia gwarantowane finansowane przez NFZ i inne programy organizowane na szczeblu ogólnokrajowym. W Narodowym Programie Zdrowia na lata 2007–2015 administracji samorządowej przypisano istotną rolę wśród realizatorów planowanych zadań. Wdrożenie samorządowego programu zdrowotnego dotyczącego profilaktyki próchnicy powinno być poprzedzone oceną lokalnej sytuacji w zakresie skuteczności profilaktyki i określeniem stanu lokalnych zasobów i potrzeb. Program powinien być projektowany w porozumieniu ze specjalistami-stomatologami doświadczonymi w dziedzinie prewencji próchnicy, którzy pomogą właściwie wybrać poprawne działania. Osiągnięcie efektywności programu wymaga koordynacji działań na poszczególnych szczeblach samorządowych (np. w powiecie i jego gminach).

Odnosząc projekt opiniowanego programu do ogólnych kryteriów dobrze zaprojektowanego programu zdrowotnego (sformułowanych przez American Public Health Association) można stwierdzić, że:

- I. Program odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, opierającego się na profilaktyce próchnicy.
- II. Dostępność działań programu dla beneficjentów – nie zaplanowano akcji informacyjnej. Pojawiają się nieścisłości co do właściwej populacji, jednak wydaje się, że będą to 6–14-latki. Możliwości budżetowe nie wystarczą na przebadanie wszystkich dzieci; nie jest do końca jasne na podstawie jakich kryteriów dzieci będą kwalifikowane do udziału w programie – stwarza to ryzyko nierównego dostępu do oferowanych świadczeń.
- III. Skuteczność działań – w projekcie pokrótce odniesiono się do skuteczności jednego z wielu planowanych działań.
- IV. W projekcie przedstawiono budżet oraz przedstawiono koszt poszczególnych wizyt.
- V. W projekcie nie przedstawiono sposobu monitorowania realizacji. Planuje się oceniać wskaźniki próchnicy PUW.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie

.....  
[Redacted signature area]

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Program profilaktyki próchnicy u dzieci na lata 2013–2015” realizowanym przez miasto Kraków, nr: AOTM-OT-441-9/2012, Warszawa, lipiec 2012 i aneksu „Programy profilaktyki próchnicy i poprawy stanu zdrowia jamy ustnej u dzieci przedszkolnych i szkolnych – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, lipiec 2012.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 141/2012 z dnia 16 lipca 2012  
o projekcie programu „Intensyfikacja zapobiegania próchnicy dzieci  
i młodzieży – profilaktyka próchnicy zębów skierowana do dzieci  
powyżej 7 roku życia” miasta Bydgoszcz

*Rada wydaje negatywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Intensyfikacja zapobiegania próchnicy dzieci i młodzieży – profilaktyka próchnicy zębów skierowana do dzieci powyżej 7 roku życia” miasta Bydgoszcz.*

**Uzasadnienie**

*Program nie definiuje populacji dzieci, mających być jego beneficjentami. Nie zaplanowano akcji informacyjnej, ani nie opracowano szczegółów edukacji pacjentów i rodziców. Program częściowo powiela świadczenia gwarantowane. Nie opisano również sposobów monitorowania skuteczności programu, a przeznaczony budżet pokrywa zaledwie jedna ze składowych programu.*

**Przedmiot opinii**

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego z zakresu zapobiegania próchnicy zębów u dzieci zamieszkałych na terenie miasta Bydgoszcz. Populację programu zależnie od interwencji mają stanowić dzieci po 7 r.ż. (lakowanie zębów szóstych) oraz dzieci bez określenia granicy wieku (lakowanie zębów siódmych), badaniem jamy ustnej planuje się objąć ok. 5000 dzieci. Za główny cel programu przyjęto profilaktykę próchnicy zębów oraz działania edukacyjne. Jako cele szczegółowe wskazano ochronę zębów przed wystąpieniem choroby próchnicowej poprzez pokrycie bruzd i szczelin zębowych preparatami fluorowymi stosowanymi w profilaktyce próchnicy, zwiększenie świadomości w zakresie przyczyn powstawania próchnicy, działania instruktarzowe obejmujące m.in. zasady prawidłowej higieny jamy ustnej oraz naukę szczotkowania zębów. Planowane działania obejmują pokrywanie lakiem bruzd zębów szóstych u dzieci powyżej siódmego roku życia, a pozostałe uzębienie poddane zostanie badaniu profilaktycznemu i w razie potrzeby profilaktyce fluorowej z zastosowaniem lakieru. Pokrywanie lakiem bruzd zębów siódmych u dzieci (bez określania granicy wieku), u których w ostatnim roku wystąpił przyrost próchnicy zębów stałych obejmujący 4 i więcej zębów, a pozostałe uzębienie poddane będzie badaniu profilaktycznemu i profilaktyce fluorowej z zastosowaniem lakieru. W czasie wizyty dziecko zostanie objęte edukacją zdrowotną oraz instruktarzem dotyczącym prawidłowej higieny jamy ustnej.

Program ma być realizowany w 2012 roku, projekt zawiera koszt jednostkowy lakowania jednego zęba. Projekt ma być finansowany ze środków budżetowych Urzędu Miasta w Bydgoszczy.

**Problem zdrowotny**

Najważniejszymi czynnikami ryzyka chorób jamy ustnej są: niezdrowa dieta, używanie tytoniu, szkodliwe spożywanie alkoholu i niedostateczna higiena jamy ustnej. Zachowanie zdrowia jamy ustnej umożliwia swobodę mówienia, spożywania pokarmów, utrzymywania kontaktów towarzyskich bez poczucia dyskomfortu czy skrępowania, jest integralną częścią składową zdrowia ogólnego pacjenta i przyczynia się do ogólnego dobrostanu jednostki (ang. „well being”).





Próchnica (definicja WHO) to proces patologiczny umiejscowiony, pochodzenia zewnątrzustrojowego, który prowadzi do odwapnienia i proteolitycznego rozpadu twardych tkanek zęba. Głównym czynnikiem odpowiedzialnym za jej rozwój są bakterie, które rozkładając cukry obecne w produktach żywnościowych, wytwarzają kwasy niszczące szkliwo. Ze względu na kształt anatomiczny miejscem predysponowanym do powstawania ognisk choroby próchnicowej jest powierzchnia żująca zębów bocznych.

Próchnica zębów należy do najbardziej rozpowszechnionych chorób w populacji dzieci i młodzieży. 60–90% dzieci w wieku szkolnym ma ubytki w zębach. U dzieci do 3 roku życia obserwuje się szczególnie szybki rozwój procesu próchnicowego, próchnica u małych dzieci jest problemem nie tylko stomatologicznym, ale ogólnomedycznym, społecznym i politycznym. Zęby z miazgą zainfekowaną powodują dolegliwości bólowe, miejscowe stany zapalne, a nawet choroby odogniskowe. Dzieci te często wymagają kosztownego i obciążającego organizm leczenia w znieczuleniu ogólnym. Wczesna utrata kilku zębów doprowadza do rozwoju wady zgryzu, zaburza rozwój mowy, może rzutować na samoocenę dziecka i jego kontakty w grupie rówieśników. Sugerowany związek próchnicy uzębienia mlecznego z występowaniem tej choroby w uzębieniu stałym poparty jest licznymi dowodami.

Nieleczone choroby jamy ustnej wieku dziecięcego mogą prowadzić do nieodwracalnych uszkodzeń, bólu, zniekształceń, poważniejszych problemów zdrowotnych ogólnoustrojowych, absencji w szkole, niskiej samooceny, niskiej jakości życia, a w skrajnym przypadku (jak noma – wrzodząco-martwicze zapalenie jamy ustnej) nawet do śmierci. Odroczenie leczenia nie tylko skutkuje pogorszeniem stanu, ale również istotnie zwiększa koszty. Koszty zaniedbań są wysokie, zarówno z perspektywy finansowej, społecznej, jak i indywidualnej. Choroba w stanie zaawansowanym może wymagać bardziej kompleksowego, droższego i prawdopodobnie bardziej traumatycznego leczenia, jak zabiegi chirurgiczne, leczenie kanałowe, ekstrakcja, leczenie w znieczuleniu ogólnym czy hospitalizacja.

Zły stan jamy ustnej w dzieciństwie często utrzymuje się w życiu dorosłym, wpływając na produktywność oraz jakość życia. Stwierdzono, że inwestowanie w prewencję chorób jamy ustnej oraz promocję zdrowia obniża koszty ponoszone w ramach wydatków na opiekę zdrowotną i w dłuższej perspektywie jest bardziej opłacalne (kosztowo-efektywne).

Zapobieganie próchnicy powinno mieć charakter kompleksowy, tzn. powinno obejmować edukację rodziców, edukację dzieci i naukę współodpowiedzialności za stan swojego zdrowia. Wiedza ta powinna dotyczyć zasad racjonalnego odżywiania, zasad higieny jamy ustnej, obowiązkowych badań kontrolnych stomatologicznych, a także regularnej profilaktyki z wykorzystaniem preparatów fluorowych. Istotnym elementem promocji zdrowia jamy ustnej są regularne, okresowe wizyty kontrolne u stomatologa.

Na podstawie analizy doświadczeń międzynarodowych WHO uznała, że najkorzystniejszym środowiskiem do wykorzystania w celu promocji zdrowia jamy ustnej jest szkoła, gdzie realizacja programów edukacji stomatologicznej przynosi najlepsze efekty i zapewnia najszerszy krąg oddziaływania.

### **Alternatywne świadczenia**

Wykazy oraz warunki realizacji świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia stomatologicznego określa Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia stomatologicznego.

Świadczenia stomatologiczne dla dzieci do ukończenia 6. roku życia obejmują załącznik nr 10 ww. Rozporządzenia): wizytę adaptacyjną z oceną stanu uzębienia za pomocą wskaźnika intensywności próchnicy PUW (liczba zębów z próchnicą usuniętych lub wypełnionych) dla zębów mlecznych, kontrolę higieny jamy ustnej, profilaktykę profesjonalną próchnicy, w tym profilaktykę fluorkową przy braku przeciwwskazań, ocenę stanu morfologicznego i funkcji żucia, zastosowanie działań zapobiegających wadom zgryzu – profilaktyka ortodontyczna.

Świadczenia ogólnostomatologiczne dla dzieci i młodzieży do ukończenia 18. r.ż. obejmują m.in. (załącznik 2 ww. Rozporządzenia): badanie lekarskie stomatologiczne z instruktą higieny

jamy ustnej 1 raz w okresie 12 miesięcy, badanie lekarskie kontrolne 3 razy w okresie 12 miesięcy, badanie lekarza specjalisty z krótką pisemną oceną i wskazaniem diagnostyczno-terapeutycznymi dla lekarza prowadzącego, bez powiązania z innymi świadczeniami gwarantowanymi, zabezpieczenie bruzd zębów szóstych lakiem szczelinowym – 1 raz do ukończenia 7. roku życia, lakierowanie wszystkich zębów stałych nie częściej niż 1 raz na kwartał – za każdą 1/4 łuku zębowego, usunięcie złogów nazębnych nie częściej niż 1 raz na 6 miesięcy w obrębie całego uzębienia.

Świadczenia stomatologiczne dla dzieci i młodzieży do ukończenia 19. r.ż. (załącznik 11 ww. Rozporządzenia) obejmują: wiek 7 lat – ocenę stanu uzębienia za pomocą wskaźnika intensywności próchnicy PUW (DMF) dla zębów stałych i PUW dla zębów mlecznych (puw), oddzielne podanie poszczególnych składowych wskaźnika PUW dla zębów stałych i wskaźnika PUW dla zębów mlecznych, wykrywanie nieprawidłowości (wad) zgryzu: wyraźnego zniekształcenia lub wyraźnego ograniczenia funkcji żucia lub gryzienia, kwalifikację do szczególnej opieki stomatologicznej, w tym profesjonalna profilaktyka fluorkowa; wiek 10 lat: – j.w.; wiek 12 i 13 lat – j.w. – dla zębów stałych.

W załączniku 4 do Rozporządzenia Ministra Zdrowia z 29.08.2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej, w zakresie świadczeń gwarantowanych pielęgniarstwa lub higienistki szkolnej udzielanych w środowisku nauczania i wychowania znajduje się „prowadzenie u uczniów szkół podstawowych (klasy I–VI) znajdujących się na obszarach gdzie poziom fluorków w wodzie pitnej nie przekracza wartości 1mg/l, grupowej profilaktyki fluorkowej metodą nadzorowanego szczotkowania zębów preparatami fluorkowymi”.

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

Podstawowe zalecenia dotyczące profilaktyki próchnicy wynikające z odnalezionych wytycznych opartych na systematycznych przeglądach dowodów naukowych (również wskazówki Polskiego Towarzystwa Stomatologicznego oraz pytanym o opinię specjalistów, stanowiące zalecenia na poziomie stanowiska eksperckiego, są zgodne z poniższymi stwierdzeniami):

- Praktyczną, skuteczną i powszechną metodą ograniczania próchnicy jest fluorowanie wody pitnej. Skutecznym działaniem w pierwotnej profilaktyce próchnicy jest codzienna ekspozycja na fluor przyjmowany z wodą oraz monitorowane stosowanie past fluorkowych.
- Istotnym elementem promocji zdrowia jamy ustnej są regularne, okresowe wizyty kontrolne. Zalecany odstęp między kolejnymi badaniami kontrolnymi powinien być dostosowany do potrzeb pacjenta i określony na podstawie oceny ryzyka próchnicy oraz zaawansowania/aktywności choroby; Istotnym elementem procesu decyzyjnego powinna być ocena ryzyka próchnicy u każdego pacjenta, okresowo weryfikowana;
- W profilaktyce próchnicy można stosować cztery proste metody o udowodnionej skuteczności: szczotkowanie zębów pastą z fluorem, porada dietetyczna (m.in. dotycząca ograniczenia spożycia cukrów), preparaty fluorowe do stosowania miejscowego (np. pasty do zębów, żele, płyny do płukania ust, lakiery) oraz laki szczelinowe (uszczelniacze) do zabezpieczania bruzd zębów trzonowych;
- Niezbędnym elementem profilaktyki próchnicy jest zdrowa dieta w zakresie spożywania cukrów: w przypadku pragnienia dziecko powinno pić wodę; posiłki zawierające cukry powinny być spożywane przez dzieci zagrożone próchnicą nie częściej niż 3–4 razy w ciągu dnia; wskazane jest prowadzenie w szkole zajęć edukacyjnych w zakresie higieny jamy ustnej, w tym związku między spożywaniem cukrów i rozwojem próchnicy;
- Podstawową metodą zapobiegania próchnicy powinno być dwukrotne w ciągu dnia szczotkowanie zębów pastą z fluorem o zawartości fluoru min 1000 ppm (dla małych dzieci wskazane są pasty z obniżoną zawartością fluoru);
- W grupie podwyższonego ryzyka próchnicy powinna być stosowana profesjonalna profilaktyka fluorkowa w odstępach 6-miesięcznych, a w grupie wysokiego ryzyka – w odstępach 3 miesięcy. Profesjonalna zapobiegawcza terapia fluorkowa nie jest wskazana u osób z niskim ryzykiem próchnicy;
- W przypadku stwierdzenia podwyższonego ryzyka rozwoju próchnicy (u pacjenta lub w odniesieniu do konkretnego zęba) należy wykonać uszczelnienie bruzd stałych zębów

trzonowych lakiem, a następnie sprawdzać i w razie potrzeby uzupełnić lak podczas regularnych wizyt kontrolnych;

Dodatkowo w odniesieniu do lakowania szczelin i bruzd zębów trzonowych stałych u dzieci i młodzieży, według zaleceń American Dental Association na wczesne ogniska próchnicowe można stosować laki szczelinowe w celu zmniejszenia odsetka postępujących zmian.

Na podstawie odnalezionych dowodów naukowych należy rekomendować przedszkolne i szkolne programy prewencji próchnicy. Powinny być one tak zaprojektowane, aby uzupełniać, nie dublować świadczenia gwarantowane finansowane przez NFZ i inne programy organizowane na szczeblu ogólnokrajowym. W Narodowym Programie Zdrowia na lata 2007–2015 administracji samorządowej przypisano istotną rolę wśród realizatorów planowanych zadań. Wdrożenie samorządowego programu zdrowotnego dotyczącego profilaktyki próchnicy powinno być poprzedzone oceną lokalnej sytuacji w zakresie skuteczności profilaktyki i określeniem stanu lokalnych zasobów i potrzeb. Program powinien być projektowany w porozumieniu ze specjalistami-stomatologami doświadczonymi w dziedzinie prewencji próchnicy, którzy pomogą właściwie wybrać poprawne działania. Osiągnięcie efektywności programu wymaga koordynacji działań na poszczególnych szczeblach samorządowych (np. w powiecie i jego gminach).

Odnosząc projekt opiniowanego programu do ogólnych kryteriów dobrze zaprojektowanego programu zdrowotnego (sformułowanych przez American Public Health Association) można stwierdzić, że:

I. Program odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, opierającego się na profilaktyce próchnicy.

II. Dostępność działań programu dla beneficjentów – nie zaplanowano akcji informacyjnej. Populacja programu nie została dobrze sprecyzowana – podano jedynie informację, że będą to dzieci powyżej 7 r.ż. oraz dzieci bez określenia granicy wieku. Wydaje się, że możliwości finansowe nie gwarantują objęcia programem zakładanej liczby dzieci.

III. Skuteczność działań – w projekcie nie odniesiono się do skuteczności planowanych działań. Przedstawiono jedynie opinię Konsultanta Wojewódzkiego w dziedzinie stomatologii zachowawczej z endodoncją popierającą realizację przedmiotowego programu.

IV. W projekcie przedstawiono budżet oraz koszt jednostkowy jednej składowej programu. Nie uwzględniono kosztów planowanych profilaktycznych badań stomatologicznych, profilaktyki fluorkowej ani planowanej edukacji zdrowotnej.

V. W projekcie wymieniono jedynie elementy, które będą podlegać monitorowaniu, jednak nie przedstawiono sposobu ich monitorowania. Miernikiem programu będzie jedynie współczynnik PUW. Zasadne byłoby uwzględnienie m.in.: odsetka dzieci szczotkujących zęby pastą z fluorem 2 razy dziennie, odsetka dzieci ze stanami zapalnymi dziąseł, chorobami przyzębia, urazami i patologiami jamy ustnej oraz liczby dzieci przebadanych, liczby dzieci, którym wykonano lakowanie szóstych oraz siódmych zębów, liczby dzieci, u których wykonano lakierowanie oraz objętych edukacją zdrowotną.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie

.....  
[Redacted signature area]

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Intensyfikacja zapobiegania próchnicy u dzieci i młodzieży – profilaktyka próchnicy zębów skierowana do dzieci powyżej 7 roku życia” realizowanym przez miasto Bydgoszcz, nr: AOTM-OT-441-18/2012, Warszawa, lipiec 2012 i aneksu „Programy profilaktyki próchnicy i poprawy stanu zdrowia jamy ustnej u dzieci przedszkolnych i szkolnych – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, lipiec 2012.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 142/2012 z dnia 16 lipca 2012  
o projekcie programu „Profilaktyka próchnicy zębów u dzieci  
z rocznika 2003 na terenie gminy miejskiej Łaziska Górne”

*Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Profilaktyka próchnicy zębów u dzieci z rocznika 2003 na terenie gminy miejskiej Łaziska Górne”.*

**Uzasadnienie**

*Program został przygotowany zgodnie ze schematem programu zdrowotnego i zawiera wszystkie wymagane elementy. Należałoby rozważyć rozszerzenie edukacji rodziców o informacje z zakresu prawidłowej diety ograniczającej powstawanie próchnicy zębów. Jednocześnie program uzupełnia świadczenia gwarantowane o lakowanie bruzd zębów trzonowych.*

**Przedmiot opinii**

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego miasta Łaziska Górne z zakresu zapobiegania próchnicy zębów wśród dzieci 9-letnich. Populację programu stanowią dzieci mieszkające na terenie gminy Łaziska Górne z rocznika 2003 (ok. 90 osób). Za główny cel programu uznano podniesienie świadomości dzieci i ich rodziców w zakresie profilaktyki zapobiegania próchnicy zębów oraz ocenę zdrowia jamy ustnej dzieci zamieszkujących Łaziska Górne. Jako cele szczegółowe wskazano ocenę stanu uzębienia, wykrywanie wad zgryzu, kwalifikację do lakierowania zębów i dalszego postępowania medycznego, instruktaż higieny jamy ustnej, przedstawienie konieczności i wskazanie rodzicom zaleceń dotyczących dalszego postępowania w przypadku wystąpienia próchnicy. Planowane działania obejmują przegląd jamy ustnej, lakierowanie zębów lakierem fluorkowym lub w przypadku braku takiego wskazania lakowanie bruzd pierwszych zębów trzonowych. Program ma być realizowany w 2012 roku, projekt zawiera planowane koszty jednostkowe zabiegów oraz planowane koszty całkowite. Projekt ma być finansowany ze środków budżetowych Gminy Miejskiej Łaziska Górne.

**Problem zdrowotny**

Najważniejszymi czynnikami ryzyka chorób jamy ustnej są: niezdrowa dieta, używanie tytoniu, szkodliwe spożywanie alkoholu i niedostateczna higiena jamy ustnej. Zachowanie zdrowia jamy ustnej umożliwia swobodę mówienia, spożywania pokarmów, utrzymywania kontaktów towarzyskich bez poczucia dyskomfortu czy skrępowania, jest integralną częścią składową zdrowia ogólnego pacjenta i przyczynia się do ogólnego dobrostanu jednostki (ang. „well being”).

Próchnica (definicja WHO) to proces patologiczny umiejscowiony, pochodzenia zewnątrzustrojowego, który prowadzi do odwapnienia i proteolitycznego rozpadu twardych tkanek zęba. Głównym czynnikiem odpowiedzialnym za jej rozwój są bakterie, które rozkładając cukry obecne w produktach żywnościowych, wytwarzają kwasy niszczące szkliwo. Ze względu na kształt anatomiczny miejscem predysponowanym do powstawania ognisk choroby próchnicowej jest powierzchnia żująca zębów bocznych.



Próchnica zębów należy do najbardziej rozpowszechnionych chorób w populacji dzieci i młodzieży. 60–90% dzieci w wieku szkolnym ma ubytki w zębach. U dzieci do 3 roku życia obserwuje się szczególnie szybki rozwój procesu próchnicowego, próchnica u małych dzieci jest problemem nie tylko stomatologicznym, ale ogólnomedycznym, społecznym i politycznym. Zęby z miazgą zainfekowaną powodują dolegliwości bólowe, miejscowe stany zapalne, a nawet choroby odogniskowe. Dzieci te często wymagają kosztownego i obciążającego organizm leczenia w znieczuleniu ogólnym. Wczesna utrata kilku zębów doprowadza do rozwoju wady zgryzu, zaburza rozwój mowy, może rzutować na samoocenę dziecka i jego kontakty w grupie rówieśników. Sugerowany związek próchnicy uzębienia mlecznego z występowaniem tej choroby w uzębieniu stałym poparty jest licznymi dowodami.

Nieleczone choroby jamy ustnej wieku dziecięcego mogą prowadzić do nieodwracalnych uszkodzeń, bólu, zniekształceń, poważniejszych problemów zdrowotnych ogólnoustrojowych, absencji w szkole, niskiej samooceny, niskiej jakości życia, a w skrajnym przypadku (jak noma – wrzodziejąco-martwicze zapalenie jamy ustnej) nawet do śmierci. Odroczenie leczenia nie tylko skutkuje pogorszeniem stanu, ale również istotnie zwiększa koszty. Koszty zaniedbań są wysokie, zarówno z perspektywy finansowej, społecznej, jak i indywidualnej. Choroba w stanie zaawansowanym może wymagać bardziej kompleksowego, droższego i prawdopodobnie bardziej traumatycznego leczenia, jak zabiegi chirurgiczne, leczenie kanałowe, ekstrakcja, leczenie w znieczuleniu ogólnym czy hospitalizacja.

Zły stan jamy ustnej w dzieciństwie często utrzymuje się w życiu dorosłym, wpływając na produktywność oraz jakość życia. Stwierdzono, że inwestowanie w prewencję chorób jamy ustnej oraz promocję zdrowia obniża koszty ponoszone w ramach wydatków na opiekę zdrowotną i w dłuższej perspektywie jest bardziej opłacalne (kosztowo-efektywne).

Zapobieganie próchnicy powinno mieć charakter kompleksowy, tzn. powinno obejmować edukację rodziców, edukację dzieci i naukę współodpowiedzialności za stan swojego zdrowia. Wiedza ta powinna dotyczyć zasad racjonalnego odżywiania, zasad higieny jamy ustnej, obowiązkowych badań kontrolnych stomatologicznych, a także regularnej profilaktyki z wykorzystaniem preparatów fluorowych. Istotnym elementem promocji zdrowia jamy ustnej są regularne, okresowe wizyty kontrolne u stomatologa.

Na podstawie analizy doświadczeń międzynarodowych WHO uznała, że najkorzystniejszym środowiskiem do wykorzystania w celu promocji zdrowia jamy ustnej jest szkoła, gdzie realizacja programów edukacji stomatologicznej przynosi najlepsze efekty i zapewnia najszerszy krąg oddziaływania.

### **Alternatywne świadczenia**

Wykazy oraz warunki realizacji świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia stomatologicznego określa Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia stomatologicznego.

Świadczenia stomatologiczne dla dzieci do ukończenia 6. roku życia obejmują załącznik nr 10 ww. Rozporządzenia): wizytę adaptacyjną z oceną stanu uzębienia za pomocą wskaźnika intensywności próchnicy PUW (liczba zębów z próchnicą usuniętych lub wypełnionych) dla zębów mlecznych, kontrolę higieny jamy ustnej, profilaktykę profesjonalną próchnicy, w tym profilaktykę fluorkową przy braku przeciwwskazań, ocenę stanu morfologicznego i funkcji żucia, zastosowanie działań zapobiegających wadom zgryzu – profilaktyka ortodontyczna.

Świadczenia ogólnostomatologiczne dla dzieci i młodzieży do ukończenia 18. r.ż. obejmują m.in. (załącznik 2 ww. Rozporządzenia): badanie lekarskie stomatologiczne z instruktażem higieny jamy ustnej 1 raz w okresie 12 miesięcy, badanie lekarskie kontrolne 3 razy w okresie 12 miesięcy, badanie lekarza specjalisty z krótką pisemną oceną i wskazaniem diagnostyczno-terapeutycznymi dla lekarza prowadzącego, bez powiązania z innymi świadczeniami gwarantowanymi, zabezpieczenie bruzd zębów szóstych lakiem szczelinowym – 1 raz do ukończenia 7. roku życia, lakierowanie wszystkich zębów stałych nie częściej niż 1 raz na kwartał – za każdą 1/4 łuku zębowego, usunięcie złogów nazębnych nie częściej niż 1 raz na 6 miesięcy w obrębie całego uzębienia.

Świadczenia stomatologiczne dla dzieci i młodzieży do ukończenia 19. r.ż. (załącznik 11 ww. Rozporządzenia) obejmują: wiek 7 lat – ocenę stanu uzębienia za pomocą wskaźnika intensywności próchnicy PUW (DMF) dla zębów stałych i PUW dla zębów mlecznych (puw), oddzielne podanie poszczególnych składowych wskaźnika PUW dla zębów stałych i wskaźnika PUW dla zębów mlecznych, wykrywanie nieprawidłowości (wad) zgryzu: wyraźnego zniekształcenia lub wyraźnego ograniczenia funkcji żucia lub gryzienia, kwalifikację do szczególnej opieki stomatologicznej, w tym profesjonalna profilaktyka fluorkowa; wiek 10 lat: – j.w.; wiek 12 i 13 lat – j.w. – dla zębów stałych.

W załączniku 4 do Rozporządzenia Ministra Zdrowia z 29.08.2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej, w zakresie świadczeń gwarantowanych pielęgniarstwa lub higienistki szkolnej udzielanych w środowisku nauczania i wychowania znajduje się „prowadzenie u uczniów szkół podstawowych (klasy I–VI) znajdujących się na obszarach gdzie poziom fluorków w wodzie pitnej nie przekracza wartości 1mg/l, grupowej profilaktyki fluorkowej metodą nadzorowanego szczotkowania zębów preparatami fluorkowymi”.

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

Podstawowe zalecenia dotyczące profilaktyki próchnicy wynikające z odnalezionych wytycznych opartych na systematycznych przeglądach dowodów naukowych (również wskazówki Polskiego Towarzystwa Stomatologicznego oraz pytanym o opinię specjalistów, stanowiące zalecenia na poziomie stanowiska eksperckiego, są zgodne z poniższymi stwierdzeniami):

- Praktyczną, skuteczną i powszechną metodą ograniczania próchnicy jest fluorowanie wody pitnej. Skutecznym działaniem w pierwotnej profilaktyce próchnicy jest codzienna ekspozycja na fluor przyjmowany z wodą oraz monitorowane stosowanie past fluorkowych.
- Istotnym elementem promocji zdrowia jamy ustnej są regularne, okresowe wizyty kontrolne. Zalecany odstęp między kolejnymi badaniami kontrolnymi powinien być dostosowany do potrzeb pacjenta i określony na podstawie oceny ryzyka próchnicy oraz zaawansowania/aktywności choroby; Istotnym elementem procesu decyzyjnego powinna być ocena ryzyka próchnicy u każdego pacjenta, okresowo weryfikowana;
- W profilaktyce próchnicy można stosować cztery proste metody o udowodnionej skuteczności: szczotkowanie zębów pastą z fluorem, porada dietetyczna (m.in. dotycząca ograniczenia spożycia cukrów), preparaty fluorowe do stosowania miejscowego (np. pasty do zębów, żele, płyny do płukania ust, lakiery) oraz laki szczelinowe (uszczelniacze) do zabezpieczania bruzd zębów trzonowych;
- Niezbędnym elementem profilaktyki próchnicy jest zdrowa dieta w zakresie spożywania cukrów: w przypadku pragnienia dziecko powinno pić wodę; posiłki zawierające cukry powinny być spożywane przez dzieci zagrożone próchnicą nie częściej niż 3–4 razy w ciągu dnia; wskazane jest prowadzenie w szkole zajęć edukacyjnych w zakresie higieny jamy ustnej, w tym związku między spożywaniem cukrów i rozwojem próchnicy;
- Podstawową metodą zapobiegania próchnicy powinno być dwukrotne w ciągu dnia szczotkowanie zębów pastą z fluorem o zawartości fluoru min 1000 ppm (dla małych dzieci wskazane są pasty z obniżoną zawartością fluoru);
- W grupie podwyższonego ryzyka próchnicy powinna być stosowana profesjonalna profilaktyka fluorkowa w odstępach 6-miesięcznych, a w grupie wysokiego ryzyka – w odstępach 3 miesięcy. Profesjonalna zapobiegawcza terapia fluorkowa nie jest wskazana u osób z niskim ryzykiem próchnicy;
- W przypadku stwierdzenia podwyższonego ryzyka rozwoju próchnicy (u pacjenta lub w odniesieniu do konkretnego zęba) należy wykonać uszczelnienie bruzd stałych zębów trzonowych lakiem, a następnie sprawdzać i w razie potrzeby uzupełnić lak podczas regularnych wizyt kontrolnych;

Dodatkowo w odniesieniu do lakowania szczelin i bruzd zębów trzonowych stałych u dzieci i młodzieży, według zaleceń American Dental Association na wczesne ogniska próchnicowe można stosować laki szczelinowe w celu zmniejszenia odsetka postępujących zmian.

Na podstawie odnalezionych dowodów naukowych należy rekomendować przedszkolne i szkolne programy prewencji próchnicy. Powinny być one tak zaprojektowane, aby uzupełniać, nie dublować świadczenia gwarantowane finansowane przez NFZ i inne programy organizowane na szczeblu ogólnokrajowym. W Narodowym Programie Zdrowia na lata 2007–2015 administracji samorządowej przypisano istotną rolę wśród realizatorów planowanych zadań. Wdrożenie samorządowego programu zdrowotnego dotyczącego profilaktyki próchnicy powinno być poprzedzone oceną lokalnej sytuacji w zakresie skuteczności profilaktyki i określeniem stanu lokalnych zasobów i potrzeb. Program powinien być projektowany w porozumieniu ze specjalistami-stomatologami doświadczonymi w dziedzinie prewencji próchnicy, którzy pomogą właściwie wybrać poprawne działania. Osiągnięcie efektywności programu wymaga koordynacji działań na poszczególnych szczeblach samorządowych (np. w powiecie i jego gminach).

Odnosząc projekt opiniowanego programu do ogólnych kryteriów dobrze zaprojektowanego programu zdrowotnego (sformułowanych przez American Public Health Association) można stwierdzić, że:

I. Program odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, opierającego się na profilaktyce próchnicy.

II. Dostępność działań programu dla beneficjentów – zaplanowano przeprowadzenie akcji informacyjnej. Populacja programu została dobrze sprecyzowana – będą to dzieci urodzone w 2003 r. Oszacowano liczebność populacji docelowej, jednak programem zamierza się objąć jedynie 51% tej populacji.

III. Skuteczność działań – w projekcie nie odniesiono się do skuteczności planowanych działań.

IV. W projekcie przedstawiono budżet oraz koszty jednostkowe. Nie uwzględniono kosztów akcji informacyjnej.

V. W projekcie przedstawiono sposób monitorowania oraz zaproponowano mierniki programu. Zasadne byłoby uwzględnienie dodatkowych parametrów m.in.: odsetka dzieci szczotkujących zęby pastą z fluorem 2 razy dziennie, odsetka dzieci ze stanami zapalnymi dziąseł, chorobami przyzębia, urazami i patologiami jamy ustnej oraz liczby dzieci przebadanych, liczby dzieci, którym wykonano lakowanie szóstych zębów, liczby dzieci, u których wykonano lakierowanie zębów oraz liczby dzieci, objętych edukacją zdrowotną na temat właściwych nawyków zdrowotnych i higienicznych.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie

.....  
[Redacted signature area]

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Profilaktyka próchnicy zębów u dzieci z rocznika 2003 na terenie gminy miejskiej Łaziska Górne” realizowanym przez miasto Łaziska Górne, nr: AOTM-OT-441-104/2012, Warszawa, lipiec 2012 i aneksu „Programy profilaktyki próchnicy i poprawy stanu zdrowia jamy ustnej u dzieci przedszkolnych i szkolnych – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, lipiec 2012.





Opinia Rady Przejrzystości  
nr 143/2012 z dnia 16 lipca 2012  
o projekcie programu „Projekt programu profilaktyki próchnicy –  
lakowanie zębów na lata 2012-2014” gminy Suszec

*Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Projekt programu profilaktyki próchnicy – lakowanie zębów na lata 2012-2014” gminy Suszec.*

**Uzasadnienie**

*Program odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, opierającego się na profilaktyce próchnicy. Autorzy projektu zaplanowali przeprowadzenie stosownej akcji informacyjnej. Populacja programu została dobrze sprecyzowana – będą to dzieci 8- i 9-letnie. Oszacowano liczebność populacji docelowej. W projekcie przedstawiono budżet oraz koszty jednostkowe. Projekt programu zawiera wskaźniki monitorowania w zakresie jego realizacji.*

**Przedmiot opinii**

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego z zakresu zapobiegania próchnicy zębów. Populację programu stanowią dzieci 8- i 9-letnie (biorąc pod uwagę ich rok urodzenia). Za główny cel programu uznano zmniejszenie częstości występowania próchnicy u dzieci z terenu gminy Suszec poprzez lakowanie zębów stałych. Jako cele szczegółowe wskazano: zapobieganie próchnicy, zwiększenie liczby dzieci, u których zastosowano lakowanie, podniesienie świadomości zdrowotnej dzieci oraz rodziców/opiekunów dzieci uczestniczących w programie, kształtowanie prawidłowych nawyków higienicznych i żywieniowych wśród dzieci objętych programem, zmniejszenie kosztów leczenia stomatologicznego w późniejszych latach. Planowane działania obejmują: lakowanie dwóch wybranych zębów szóstych oraz instruktaż profilaktyki próchnicowej uwzględniający: instruktaż mycia zębów oraz informacje na temat prawidłowych nawyków higienicznych i żywieniowych.

Program ma być realizowany w latach 2012 - 2014, projekt zawiera budżet całkowity na rok 2012 oraz koszty jednostkowe. Projekt ma być finansowany ze środków budżetu Gminy Suszec.

**Problem zdrowotny**

Najważniejszymi czynnikami ryzyka chorób jamy ustnej są: niezdrowa dieta, używanie tytoniu, szkodliwe spożywanie alkoholu i niedostateczna higiena jamy ustnej. Zachowanie zdrowia jamy ustnej umożliwia swobodę mówienia, spożywania pokarmów, utrzymywania kontaktów towarzyskich bez poczucia dyskomfortu czy skrępowania, jest integralną częścią składową zdrowia ogólnego pacjenta i przyczynia się do ogólnego dobrostanu jednostki (ang. „well being”).

Próchnica (definicja WHO) to proces patologiczny umiejscowiony, pochodzenia zewnątrzustrojowego, który prowadzi do odwapnienia i proteolitycznego rozpadu twardych tkanek zęba. Głównym czynnikiem odpowiedzialnym za jej rozwój są bakterie, które rozkładając cukry obecne w produktach żywnościowych, wytwarzają kwasy niszczące szkliwo. Ze względu na kształt



anatomiczny miejscem predysponowanym do powstawania ognisk choroby próchnicowej jest powierzchnia żująca zębów bocznych.

Próchnica zębów należy do najbardziej rozpowszechnionych chorób w populacji dzieci i młodzieży. 60–90% dzieci w wieku szkolnym ma ubytki w zębach. U dzieci do 3 roku życia obserwuje się szczególnie szybki rozwój procesu próchnicowego, próchnica u małych dzieci jest problemem nie tylko stomatologicznym, ale ogólnomedycznym, społecznym i politycznym. Zęby z miazgą zainfekowaną powodują dolegliwości bólowe, miejscowe stany zapalne, a nawet choroby odogniskowe. Dzieci te często wymagają kosztownego i obciążającego organizm leczenia w znieczuleniu ogólnym. Wczesna utrata kilku zębów doprowadza do rozwoju wady zgryzu, zaburza rozwój mowy, może rzutować na samoocenę dziecka i jego kontakty w grupie rówieśników. Sugerowany związek próchnicy uzębienia mlecznego z występowaniem tej choroby w uzębieniu stałym poparty jest licznymi dowodami.

Nieleczone choroby jamy ustnej wieku dziecięcego mogą prowadzić do nieodwracalnych uszkodzeń, bólu, zniekształceń, poważniejszych problemów zdrowotnych ogólnoustrojowych, absencji w szkole, niskiej samooceny, niskiej jakości życia, a w skrajnym przypadku (jak noma – wrzodząco-martwicze zapalenie jamy ustnej) nawet do śmierci. Odroczenie leczenia nie tylko skutkuje pogorszeniem stanu, ale również istotnie zwiększa koszty. Koszty zaniedbań są wysokie, zarówno z perspektywy finansowej, społecznej, jak i indywidualnej. Choroba w stanie zaawansowanym może wymagać bardziej kompleksowego, droższego i prawdopodobnie bardziej traumatycznego leczenia, jak zabiegi chirurgiczne, leczenie kanałowe, ekstrakcja, leczenie w znieczuleniu ogólnym czy hospitalizacja.

Zły stan jamy ustnej w dzieciństwie często utrzymuje się w życiu dorosłym, wpływając na produktywność oraz jakość życia. Stwierdzono, że inwestowanie w prewencję chorób jamy ustnej oraz promocję zdrowia obniża koszty ponoszone w ramach wydatków na opiekę zdrowotną i w dłuższej perspektywie jest bardziej opłacalne (kosztowo-efektywne).

Zapobieganie próchnicy powinno mieć charakter kompleksowy, tzn. powinno obejmować edukację rodziców, edukację dzieci i naukę współodpowiedzialności za stan swojego zdrowia. Wiedza ta powinna dotyczyć zasad racjonalnego odżywiania, zasad higieny jamy ustnej, obowiązkowych badań kontrolnych stomatologicznych, a także regularnej profilaktyki z wykorzystaniem preparatów fluorowych. Istotnym elementem promocji zdrowia jamy ustnej są regularne, okresowe wizyty kontrolne u stomatologa.

Na podstawie analizy doświadczeń międzynarodowych WHO uznała, że najkorzystniejszym środowiskiem do wykorzystania w celu promocji zdrowia jamy ustnej jest szkoła, gdzie realizacja programów edukacji stomatologicznej przynosi najlepsze efekty i zapewnia najszerszy krąg oddziaływania.

### **Alternatywne świadczenia**

Wykazy oraz warunki realizacji świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia stomatologicznego określa Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia stomatologicznego.

Świadczenia stomatologiczne dla dzieci do ukończenia 6. roku życia obejmują załącznik nr 10 ww. Rozporządzenia): wizytę adaptacyjną z oceną stanu uzębienia za pomocą wskaźnika intensywności próchnicy PUW (liczba zębów z próchnicą usuniętych lub wypełnionych) dla zębów mlecznych, kontrolę higieny jamy ustnej, profilaktykę profesjonalną próchnicy, w tym profilaktykę fluorkową przy braku przeciwwskazań, ocenę stanu morfologicznego i funkcji żucia, zastosowanie działań zapobiegających wadom zgryzu – profilaktyka ortodontyczna.

Świadczenia ogólnostomatologiczne dla dzieci i młodzieży do ukończenia 18. r.ż. obejmują m.in. (załącznik 2 ww. Rozporządzenia): badanie lekarskie stomatologiczne z instruktażem higieny jamy ustnej 1 raz w okresie 12 miesięcy, badanie lekarskie kontrolne 3 razy w okresie 12 miesięcy, badanie lekarza specjalisty z krótką pisemną oceną i wskazaniem diagnostyczno-terapeutycznymi dla lekarza prowadzącego, bez powiązania z innymi świadczeniami gwarantowanymi, zabezpieczenie bruzd zębów szóstych lakiem szczelinowym – 1 raz do ukończenia 7. roku życia, lakierowanie

wszystkich zębów stałych nie częściej niż 1 raz na kwartał – za każdą 1/4 łuku zębowego, usunięcie złogów nazębnych nie częściej niż 1 raz na 6 miesięcy w obrębie całego uzębienia.

Świadczenia stomatologiczne dla dzieci i młodzieży do ukończenia 19. r.ż. (załącznik 11 ww. Rozporządzenia) obejmują: wiek 7 lat – ocenę stanu uzębienia za pomocą wskaźnika intensywności próchnicy PUW (DMF) dla zębów stałych i PUW dla zębów mlecznych (puw), oddzielne podanie poszczególnych składowych wskaźnika PUW dla zębów stałych i wskaźnika PUW dla zębów mlecznych, wykrywanie nieprawidłowości (wad) zgryzu: wyraźnego zniekształcenia lub wyraźnego ograniczenia funkcji żucia lub gryzienia, kwalifikację do szczególnej opieki stomatologicznej, w tym profesjonalna profilaktyka fluorkowa; wiek 10 lat: – j.w.; wiek 12 i 13 lat – j.w. – dla zębów stałych.

W załączniku 4 do Rozporządzenia Ministra Zdrowia z 29.08.2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej, w zakresie świadczeń gwarantowanych pielęgniarstwa lub higienistki szkolnej udzielanych w środowisku nauczania i wychowania znajduje się „prowadzenie u uczniów szkół podstawowych (klasy I–VI) znajdujących się na obszarach gdzie poziom fluorków w wodzie pitnej nie przekracza wartości 1mg/l, grupowej profilaktyki fluorkowej metodą nadzorowanego szczotkowania zębów preparatami fluorkowymi”.

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

Podstawowe zalecenia dotyczące profilaktyki próchnicy wynikające z odnalezionych wytycznych opartych na systematycznych przeglądach dowodów naukowych (również wskazówki Polskiego Towarzystwa Stomatologicznego oraz pytanym o opinię specjalistów, stanowiące zalecenia na poziomie stanowiska eksperckiego, są zgodne z poniższymi stwierdzeniami):

- Praktyczną, skuteczną i powszechną metodą ograniczania próchnicy jest fluorowanie wody pitnej. Skutecznym działaniem w pierwotnej profilaktyce próchnicy jest codzienna ekspozycja na fluor przyjmowany z wodą oraz monitorowane stosowanie past fluorkowych.
- Istotnym elementem promocji zdrowia jamy ustnej są regularne, okresowe wizyty kontrolne. Zalecany odstęp między kolejnymi badaniami kontrolnymi powinien być dostosowany do potrzeb pacjenta i określony na podstawie oceny ryzyka próchnicy oraz zaawansowania/aktywności choroby; Istotnym elementem procesu decyzyjnego powinna być ocena ryzyka próchnicy u każdego pacjenta, okresowo weryfikowana;
- W profilaktyce próchnicy można stosować cztery proste metody o udowodnionej skuteczności: szczotkowanie zębów pastą z fluorem, porada dietetyczna (m.in. dotycząca ograniczenia spożycia cukrów), preparaty fluorowe do stosowania miejscowego (np. pasty do zębów, żele, płyny do płukania ust, lakiery) oraz laki szczelinowe (uszczelniacze) do zabezpieczania bruzd zębów trzonowych;
- Niezbędnym elementem profilaktyki próchnicy jest zdrowa dieta w zakresie spożywania cukrów: w przypadku pragnienia dziecko powinno pić wodę; posiłki zawierające cukry powinny być spożywane przez dzieci zagrożone próchnicą nie częściej niż 3–4 razy w ciągu dnia; wskazane jest prowadzenie w szkole zajęć edukacyjnych w zakresie higieny jamy ustnej, w tym związku między spożywaniem cukrów i rozwojem próchnicy;
- Podstawową metodą zapobiegania próchnicy powinno być dwukrotne w ciągu dnia szczotkowanie zębów pastą z fluorem o zawartości fluoru min 1000 ppm (dla małych dzieci wskazane są pasty z obniżoną zawartością fluoru);
- W grupie podwyższonego ryzyka próchnicy powinna być stosowana profesjonalna profilaktyka fluorkowa w odstępach 6-miesięcznych, a w grupie wysokiego ryzyka – w odstępach 3 miesięcy. Profesjonalna zapobiegawcza terapia fluorkowa nie jest wskazana u osób z niskim ryzykiem próchnicy;
- W przypadku stwierdzenia podwyższonego ryzyka rozwoju próchnicy (u pacjenta lub w odniesieniu do konkretnego zęba) należy wykonać uszczelnienie bruzd stałych zębów trzonowych lakiem, a następnie sprawdzać i w razie potrzeby uzupełnić lak podczas regularnych wizyt kontrolnych;

Dodatkowo w odniesieniu do lakowania szczelin i bruzd zębów trzonowych stałych u dzieci i młodzieży, według zaleceń American Dental Association na wczesne ogniska próchnicowe można stosować laki szczelinowe w celu zmniejszenia odsetka postępujących zmian.

Na podstawie odnalezionych dowodów naukowych należy rekomendować przedszkolne i szkolne programy prewencji próchnicy. Powinny być one tak zaprojektowane, aby uzupełniać, nie dublować świadczenia gwarantowane finansowane przez NFZ i inne programy organizowane na szczeblu ogólnokrajowym. W Narodowym Programie Zdrowia na lata 2007–2015 administracji samorządowej przypisano istotną rolę wśród realizatorów planowanych zadań. Wdrożenie samorządowego programu zdrowotnego dotyczącego profilaktyki próchnicy powinno być poprzedzone oceną lokalnej sytuacji w zakresie skuteczności profilaktyki i określeniem stanu lokalnych zasobów i potrzeb. Program powinien być projektowany w porozumieniu ze specjalistami-stomatologami doświadczonymi w dziedzinie prewencji próchnicy, którzy pomogą właściwie wybrać poprawne działania. Osiągnięcie efektywności programu wymaga koordynacji działań na poszczególnych szczeblach samorządowych (np. w powiecie i jego gminach).

Odnosząc projekt opiniowanego programu do ogólnych kryteriów dobrze zaprojektowanego programu zdrowotnego (sformułowanych przez American Public Health Association) można stwierdzić, że:

- I. Program odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, opierającego się na profilaktyce próchnicy.
- II. Dostępność działań programu dla beneficjentów – zaplanowano przeprowadzenie akcji informacyjnej. Populacja programu została dobrze sprecyzowana – będą to dzieci 8- i 9-letnie. Oszacowano liczebność populacji docelowej, jednak w pierwszym roku realizacji środki finansowe wystarczają na objęcie programem połowy dzieci.
- III. Skuteczność działań – w projekcie nie odniesiono się do skuteczności planowanych działań.
- IV. W projekcie przedstawiono budżet oraz koszty jednostkowe. Nie uwzględniono kosztów akcji informacyjnej ani działań edukacyjnych.
- V. W projekcie przedstawiono wskaźniki monitorowania w zakresie realizacji. Nie przedstawiono sposobu monitorowania efektywności programu (działań profilaktycznych oraz działań edukacyjnych).

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie

.....  
[Redacted signature area]

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Projekt programu profilaktyki próchnicy – lakowanie zębów na lata 2012–2014” realizowanym przez miasto Suszec, nr: AOTM-OT-441-110/2012, Warszawa, lipiec 2012 i aneksu „Programy profilaktyki próchnicy i poprawy stanu zdrowia jamy ustnej u dzieci przedszkolnych i szkolnych – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, lipiec 2012.



## Opinia Rady Przejrzystości

nr 144/2012 z dnia 16 lipca 2012

o projekcie programu „Program profilaktyczny zapobieganie chorobie próchnicowej u dzieci w wieku 1-3 lata” województwa pomorskiego

*Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Program profilaktyczny zapobieganie chorobie próchnicowej u dzieci w wieku 1-3 lata” województwa pomorskiego.*

### Uzasadnienie

*Program odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, opierającego się na profilaktyce próchnicy. Określono populację docelową, tj. dzieci w wieku 1-3 lata oraz zaplanowano stosowną akcję informacyjną. W projekcie przedstawiono budżet całkowity oraz koszt jednostkowy na jedno dziecko. Projekt precyzuje sposób monitorowania realizacji oraz efektywności zgodnie ze schematem zaproponowanym przez AOTM. W projekcie odniesiono się do skuteczności planowanych działań.*

### Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego z zakresu zapobiegania próchnicy zębów. Populację programu stanowi część populacji dzieci w wieku 1–3 lat zamieszkałych na terenie województwa pomorskiego. Za główny cel programu uznano ograniczenie o 25% rozwoju choroby próchnicowej w populacji województwa pomorskiego poprzez działania profilaktyczne skierowane do dzieci w wieku 1–3 lat. Jako cele szczegółowe wskazano: podniesienie świadomości zdrowotnej rodziców/opiekunów, kształtowanie postaw prozdrowotnych oraz rozwijanie prawidłowych nawyków higienicznych i żywieniowych wśród dzieci, ograniczenie lęku przed wizytami stomatologicznymi poprzez odpowiednią adaptację dzieci, ograniczenie podatności szkliwa zębów na procesy próchnicowe poprzez profilaktykę fluorkową. Planowane działania obejmują: badanie jamy ustnej dzieci wraz z określeniem wskaźnika intensywności próchnicy dla zębów mlecznych (puw), przeprowadzenie lakierowania wszystkich zębów mlecznych lakierem fluorkowym zawierającym 5% NaF, przeszkolenie rodzica/opiekuna w zakresie prawidłowej higieny jamy ustnej dziecka, prawidłowego odżywiania oraz potrzeby regularnych kontroli zdrowia jamy ustnej dziecka, stworzenie pisemnej informacji dotyczącej potrzeb leczniczych i profilaktycznych każdego dziecka, oraz wręczenie ulotki edukacyjnej przypominającej podstawowe zadania do realizacji w domu oraz potrzebę realizacji wizyt kontrolnych w ramach NFZ lub finansowania prywatnego.

Program ma być realizowany w latach 2013 – 2024, w tym pierwszy etap w latach 2013 – 2015, projekt zawiera jednostkowy koszt na jedno dziecko oraz całkowity budżet na jeden rok realizacji. Projekt ma być finansowany ze środków budżetowych województwa pomorskiego.

### Problem zdrowotny

Najważniejszymi czynnikami ryzyka chorób jamy ustnej są: niezdrowa dieta, używanie tytoniu, szkodliwe spożywanie alkoholu i niedostateczna higiena jamy ustnej. Zachowanie zdrowia jamy ustnej umożliwia swobodę mówienia, spożywania pokarmów, utrzymywania kontaktów towarzyskich



bez poczucia dyskomfortu czy skrępowania, jest integralną częścią składową zdrowia ogólnego pacjenta i przyczynia się do ogólnego dobrostanu jednostki (ang. „well being”).

Próchnica (definicja WHO) to proces patologiczny umiejscowiony, pochodzenia zewnątrzustrojowego, który prowadzi do odwapnienia i proteolitycznego rozpadu twardych tkanek zęba. Głównym czynnikiem odpowiedzialnym za jej rozwój są bakterie, które rozkładając cukry obecne w produktach żywnościowych, wytwarzają kwasy niszczące szkliwo. Ze względu na kształt anatomiczny miejscem predysponowanym do powstawania ognisk choroby próchnicowej jest powierzchnia żująca zębów bocznych.

Próchnica zębów należy do najbardziej rozpowszechnionych chorób w populacji dzieci i młodzieży. 60–90% dzieci w wieku szkolnym ma ubytki w zębach. U dzieci do 3 roku życia obserwuje się szczególnie szybki rozwój procesu próchnicowego, próchnica u małych dzieci jest problemem nie tylko stomatologicznym, ale ogólnomedycznym, społecznym i politycznym. Zęby z miazgą zainfekowaną powodują dolegliwości bólowe, miejscowe stany zapalne, a nawet choroby odogniskowe. Dzieci te często wymagają kosztownego i obciążającego organizm leczenia w znieczuleniu ogólnym. Wczesna utrata kilku zębów doprowadza do rozwoju wady zgryzu, zaburza rozwój mowy, może rzutować na samoocenę dziecka i jego kontakty w grupie rówieśników. Sugerowany związek próchnicy uzębienia mlecznego z występowaniem tej choroby w uzębieniu stałym poparty jest licznymi dowodami.

Nieleczone choroby jamy ustnej wieku dziecięcego mogą prowadzić do nieodwracalnych uszkodzeń, bólu, zniekształceń, poważniejszych problemów zdrowotnych ogólnoustrojowych, absencji w szkole, niskiej samooceny, niskiej jakości życia, a w skrajnym przypadku (jak noma – wrzodziejąco-martwicze zapalenie jamy ustnej) nawet do śmierci. Odroczenie leczenia nie tylko skutkuje pogorszeniem stanu, ale również istotnie zwiększa koszty. Koszty zaniedbań są wysokie, zarówno z perspektywy finansowej, społecznej, jak i indywidualnej. Choroba w stanie zaawansowanym może wymagać bardziej kompleksowego, droższego i prawdopodobnie bardziej traumatycznego leczenia, jak zabiegi chirurgiczne, leczenie kanałowe, ekstrakcja, leczenie w znieczuleniu ogólnym czy hospitalizacja.

Zły stan jamy ustnej w dzieciństwie często utrzymuje się w życiu dorosłym, wpływając na produktywność oraz jakość życia. Stwierdzono, że inwestowanie w prewencję chorób jamy ustnej oraz promocję zdrowia obniża koszty ponoszone w ramach wydatków na opiekę zdrowotną i w dłuższej perspektywie jest bardziej opłacalne (kosztowo-efektywne).

Zapobieganie próchnicy powinno mieć charakter kompleksowy, tzn. powinno obejmować edukację rodziców, edukację dzieci i naukę współodpowiedzialności za stan swojego zdrowia. Wiedza ta powinna dotyczyć zasad racjonalnego odżywiania, zasad higieny jamy ustnej, obowiązkowych badań kontrolnych stomatologicznych, a także regularnej profilaktyki z wykorzystaniem preparatów fluorowych. Istotnym elementem promocji zdrowia jamy ustnej są regularne, okresowe wizyty kontrolne u stomatologa.

Na podstawie analizy doświadczeń międzynarodowych WHO uznała, że najkorzystniejszym środowiskiem do wykorzystania w celu promocji zdrowia jamy ustnej jest szkoła, gdzie realizacja programów edukacji stomatologicznej przynosi najlepsze efekty i zapewnia najszerszy krąg oddziaływania.

### **Alternatywne świadczenia**

Wykazy oraz warunki realizacji świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia stomatologicznego określa Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia stomatologicznego.

Świadczenia stomatologiczne dla dzieci do ukończenia 6. roku życia obejmują załącznik nr 10 ww. Rozporządzenia): wizytę adaptacyjną z oceną stanu uzębienia za pomocą wskaźnika intensywności próchnicy PUW (liczba zębów z próchnicą usuniętych lub wypełnionych) dla zębów mlecznych, kontrolę higieny jamy ustnej, profilaktykę profesjonalną próchnicy, w tym profilaktykę fluorkową przy braku przeciwwskazań, ocenę stanu morfologicznego i funkcji żucia, zastosowanie działań zapobiegających wadom zgryzu – profilaktyka ortodontyczna.

Świadczenia ogólnostomatologiczne dla dzieci i młodzieży do ukończenia 18. r.ż. obejmują m.in. (załącznik 2 ww. Rozporządzenia): badanie lekarskie stomatologiczne z instruktażem higieny jamy ustnej 1 raz w okresie 12 miesięcy, badanie lekarskie kontrolne 3 razy w okresie 12 miesięcy, badanie lekarza specjalisty z krótką pisemną oceną i wskazaniem diagnostyczno-terapeutycznymi dla lekarza prowadzącego, bez powiązania z innymi świadczeniami gwarantowanymi, zabezpieczenie bruzd zębów szóstych lakiem szczelinowym – 1 raz do ukończenia 7. roku życia, lakierowanie wszystkich zębów stałych nie częściej niż 1 raz na kwartał – za każdą 1/4 łuku zębowego, usunięcie złogów nazębnych nie częściej niż 1 raz na 6 miesięcy w obrębie całego uzębienia.

Świadczenia stomatologiczne dla dzieci i młodzieży do ukończenia 19. r.ż. (załącznik 11 ww. Rozporządzenia) obejmują: wiek 7 lat – ocenę stanu uzębienia za pomocą wskaźnika intensywności próchnicy PUW (DMF) dla zębów stałych i dla zębów mlecznych, oddzielne podanie poszczególnych składowych wskaźnika PUW dla zębów stałych i wskaźnika PUW dla zębów mlecznych, wykrywanie nieprawidłowości (wad) zgryzu: wyraźnego zniekształcenia lub wyraźnego ograniczenia funkcji żucia lub gryzienia, kwalifikację do szczególnej opieki stomatologicznej, w tym profesjonalna profilaktyka fluorkowa; wiek 10 lat: – j.w.; wiek 12 i 13 lat – j.w. – dla zębów stałych.

W załączniku 4 do Rozporządzenia Ministra Zdrowia z 29.08.2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej, w zakresie świadczeń gwarantowanych pielęgniarce lub higienistki szkolnej udzielanych w środowisku nauczania i wychowania znajduje się „prowadzenie u uczniów szkół podstawowych (klasy I–VI) znajdujących się na obszarach gdzie poziom fluorków w wodzie pitnej nie przekracza wartości 1mg/l, grupowej profilaktyki fluorkowej metodą nadzorowanego szczotkowania zębów preparatami fluorkowymi”.

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

Podstawowe zalecenia dotyczące profilaktyki próchnicy wynikające z odnalezionych wytycznych opartych na systematycznych przeglądach dowodów naukowych (również wskazówki Polskiego Towarzystwa Stomatologicznego oraz pytanym o opinię specjalistów, stanowiące zalecenia na poziomie stanowiska eksperckiego, są zgodne z poniższymi stwierdzeniami):

- Praktyczną, skuteczną i powszechną metodą ograniczania próchnicy jest fluorowanie wody pitnej. Skutecznym działaniem w pierwotnej profilaktyce próchnicy jest codzienna ekspozycja na fluor przyjmowany z wodą oraz monitorowane stosowanie past fluorkowych.
- Istotnym elementem promocji zdrowia jamy ustnej są regularne, okresowe wizyty kontrolne. Zalecany odstęp między kolejnymi badaniami kontrolnymi powinien być dostosowany do potrzeb pacjenta i określony na podstawie oceny ryzyka próchnicy oraz zaawansowania/aktywności choroby; Istotnym elementem procesu decyzyjnego powinna być ocena ryzyka próchnicy u każdego pacjenta, okresowo weryfikowana;
- W profilaktyce próchnicy można stosować cztery proste metody o udowodnionej skuteczności: szczotkowanie zębów pastą z fluorem, porada dietetyczna (m.in. dotycząca ograniczenia spożycia cukrów), preparaty fluorowe do stosowania miejscowego (np. pasty do zębów, żele, płyny do płukania ust, lakiery) oraz laki szczelinowe (uszczelniacze) do zabezpieczania bruzd zębów trzonowych;
- Niezbędnym elementem profilaktyki próchnicy jest zdrowa dieta w zakresie spożywania cukrów: w przypadku pragnienia dziecko powinno pić wodę; posiłki zawierające cukry powinny być spożywane przez dzieci zagrożone próchnicą nie częściej niż 3–4 razy w ciągu dnia; wskazane jest prowadzenie w szkole zajęć edukacyjnych w zakresie higieny jamy ustnej, w tym związku między spożywaniem cukrów i rozwojem próchnicy;
- Podstawową metodą zapobiegania próchnicy powinno być dwukrotne w ciągu dnia szczotkowanie zębów pastą z fluorem o zawartości fluoru min 1000 ppm (dla małych dzieci wskazane są pasty z obniżoną zawartością fluoru);
- W grupie podwyższonego ryzyka próchnicy powinna być stosowana profesjonalna profilaktyka fluorkowa w odstępach 6-miesięcznych, a w grupie wysokiego ryzyka – w odstępach 3 miesięcy. Profesjonalna zapobiegawcza terapia fluorkowa nie jest wskazana u osób z niskim ryzykiem próchnicy;

- W przypadku stwierdzenia podwyższonego ryzyka rozwoju próchnicy (u pacjenta lub w odniesieniu do konkretnego zęba) należy wykonać uszczelnienie bruzd stałych zębów trzonowych lakiem, a następnie sprawdzać i w razie potrzeby uzupełnić lak podczas regularnych wizyt kontrolnych;

Dodatkowo w odniesieniu do lakowania szczelin i bruzd zębów trzonowych stałych u dzieci i młodzieży, według zaleceń American Dental Association na wczesne ogniska próchnicowe można stosować laki szczelinowe w celu zmniejszenia odsetka postępujących zmian.

Na podstawie odnalezionych dowodów naukowych należy rekomendować przedszkolne i szkolne programy prewencji próchnicy. Powinny być one tak zaprojektowane, aby uzupełniać, nie dublować świadczenia gwarantowane finansowane przez NFZ i inne programy organizowane na szczeblu ogólnokrajowym. W Narodowym Programie Zdrowia na lata 2007–2015 administracji samorządowej przypisano istotną rolę wśród realizatorów planowanych zadań. Wdrożenie samorządowego programu zdrowotnego dotyczącego profilaktyki próchnicy powinno być poprzedzone oceną lokalnej sytuacji w zakresie skuteczności profilaktyki i określeniem stanu lokalnych zasobów i potrzeb. Program powinien być projektowany w porozumieniu ze specjalistami-stomatologami doświadczonymi w dziedzinie prewencji próchnicy, którzy pomogą właściwie wybrać poprawne działania. Osiągnięcie efektywności programu wymaga koordynacji działań na poszczególnych szczeblach samorządowych (np. w powiecie i jego gminach).

Odnosząc projekt opiniowanego programu do ogólnych kryteriów dobrze zaprojektowanego programu zdrowotnego (sformułowanych przez American Public Health Association) można stwierdzić, że:

- I. Program odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, opierającego się na profilaktyce próchnicy.
- II. Dostępność działań programu dla beneficjentów – zaplanowano akcję informacyjną. Określono populację docelową kwalifikującą się do udziału w Programie – będą to 1–3-latki. Możliwości budżetowe nie wystarczą na przebadanie wszystkich dzieci; nie jest do końca jasne na podstawie jakich kryteriów dzieci będą kwalifikowane do udziału w programie – stwarza to ryzyko nierównego dostępu do oferowanych świadczeń.
- III. Skuteczność działań – w projekcie odniesiono się do skuteczności planowanych działań.
- IV. W projekcie przedstawiono budżet oraz przedstawiono koszt jednostkowy na jedno dziecko.
- V. W projekcie przedstawiono sposób monitorowania realizacji oraz efektywności zgodnie ze schematem zaproponowanym przez AOTM.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie

.....  
[Redacted signature area]

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Program profilaktyczny zapobieganie chorobie próchnicowej u dzieci w wieku 1–3 lata” realizowany przez województwo pomorskie, nr: AOTM-OT-441-133/2012, Warszawa, lipiec 2012 i aneksu „Programy profilaktyki próchnicy i poprawy stanu zdrowia jamy ustnej u dzieci przedszkolnych i szkolnych – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, lipiec 2012.





Opinia Rady Przejrzystości  
nr 145/2012 z dnia 16 lipca 2012  
o projekcie programu „Profilaktyka próchnicy zębów u dzieci” miasta  
Katowice

*Rada wydaje negatywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Profilaktyka próchnicy zębów u dzieci” miasta Katowice.*

**Uzasadnienie**

*Pomimo że program odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, opierającego się na profilaktyce próchnicy – nie oszacowano liczebności populacji docelowej. Ponadto, w projekcie nie przedstawiono budżetu całkowitego ani kosztów jednostkowych. Autorzy projektu nie określili sposobu monitorowania jego realizacji oraz nie zaproponowali mierników programu.*

**Przedmiot opinii**

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego z zakresu zapobiegania próchnicy zębów. Populację programu stanowią 8- i 11-letni uczniowie klas II i V (profilaktyka wtórna) oraz nauczyciele prowadzący zajęcia z edukacji prozdrowotnej, pielęgniarki szkolne i środowiskowe i ew. rodzice, oraz uczniowie klas I-VI (profilaktyka pierwotna). Za główny cel programu uznano obniżenie zachorowalności na próchnicę wśród dzieci szkolnych poprzez wdrożenie programu promocji zdrowia jamy ustnej oraz intensyfikację działań profilaktycznych. W ramach profilaktyki pierwotnej planowane działania obejmują: opracowanie i przeprowadzenie cyklu wykładów na temat choroby próchnicowej, jej wpływu na stan zdrowia ogólnego, zasad zapobiegania próchnicy i jej następstw, propagowanie prawidłowych nawyków żywieniowych: ograniczenie spożywania słodczy, wysoko słodzonych napojów, rozdrobnionych pokarmów, nauka prawidłowej higieny jamy ustnej, profilaktyka fluorkowa. W ramach profilaktyki wtórnej 8-latków: badanie przeglądowe jamy ustnej – oznaczenie wskaźnika intensywności próchnicy PUW, ocena stanu jamy ustnej, ocena zgryzu, indywidualny instruktaż w zakresie higieny jamy ustnej i zasad prawidłowego odżywiania, przekazanie na piśmie informacji dla rodziców o stanie uzębienia z zaleceniem dalszego postępowania, lakowanie bruzd powierzchni żujących zębów „6” u dzieci, u których zabieg ten nie został wykonany w ramach refundacji NFZ przed ukończeniem 8 roku życia. W ramach profilaktyki wtórnej 11-latków: badanie przeglądowe jamy ustnej – oznaczenie wskaźnika PUW, ocena stanu jamy ustnej, ocena zgryzu, indywidualny instruktaż w zakresie higieny jamy ustnej i zasad prawidłowego odżywiania, przekazanie na piśmie informacji dla rodziców o stanie uzębienia z zaleceniem dalszego postępowania, lakowanie bruzd powierzchni żujących zębów „7”, lakierowanie zębów lakierem zawierającym fluor – 2-krotnie w ciągu roku.

Program ma być realizowany w latach 2014 - 2020, projekt nie zawiera budżetu. Projekt ma być finansowany ze środków budżetu Urzędu Miasta Katowice.

**Problem zdrowotny**

Najważniejszymi czynnikami ryzyka chorób jamy ustnej są: niezdrowa dieta, używanie tytoniu, szkodliwe spożywanie alkoholu i niedostateczna higiena jamy ustnej. Zachowanie zdrowia jamy



ustnej umożliwia swobodę mówienia, spożywania pokarmów, utrzymywania kontaktów towarzyskich bez poczucia dyskomfortu czy skrępowania, jest integralną częścią składową zdrowia ogólnego pacjenta i przyczynia się do ogólnego dobrostanu jednostki (ang. „well being”).

Próchnica (definicja WHO) to proces patologiczny umiejscowiony, pochodzenia zewnątrzustrojowego, który prowadzi do odwapnienia i proteolitycznego rozpadu twardych tkanek zęba. Głównym czynnikiem odpowiedzialnym za jej rozwój są bakterie, które rozkładając cukry obecne w produktach żywnościowych, wytwarzają kwasy niszczące szkliwo. Ze względu na kształt anatomiczny miejscem predysponowanym do powstawania ognisk choroby próchnicowej jest powierzchnia żująca zębów bocznych.

Próchnica zębów należy do najbardziej rozpowszechnionych chorób w populacji dzieci i młodzieży. 60–90% dzieci w wieku szkolnym ma ubytki w zębach. U dzieci do 3 roku życia obserwuje się szczególnie szybki rozwój procesu próchnicowego, próchnica u małych dzieci jest problemem nie tylko stomatologicznym, ale ogólnomedycznym, społecznym i politycznym. Zęby z miazgą zainfekowaną powodują dolegliwości bólowe, miejscowe stany zapalne, a nawet choroby odogniskowe. Dzieci te często wymagają kosztownego i obciążającego organizm leczenia w znieczuleniu ogólnym. Wczesna utrata kilku zębów doprowadza do rozwoju wady zgryzu, zaburza rozwój mowy, może rzutować na samoocenę dziecka i jego kontakty w grupie rówieśników. Sugerowany związek próchnicy uzębienia mlecznego z występowaniem tej choroby w uzębieniu stałym poparty jest licznymi dowodami.

Nieleczone choroby jamy ustnej wieku dziecięcego mogą prowadzić do nieodwracalnych uszkodzeń, bólu, zniekształceń, poważniejszych problemów zdrowotnych ogólnoustrojowych, absencji w szkole, niskiej samooceny, niskiej jakości życia, a w skrajnym przypadku (jak noma – wrzodząco-martwicze zapalenie jamy ustnej) nawet do śmierci. Odroczenie leczenia nie tylko skutkuje pogorszeniem stanu, ale również istotnie zwiększa koszty. Koszty zaniedbań są wysokie, zarówno z perspektywy finansowej, społecznej, jak i indywidualnej. Choroba w stanie zaawansowanym może wymagać bardziej kompleksowego, droższego i prawdopodobnie bardziej traumatycznego leczenia, jak zabiegi chirurgiczne, leczenie kanałowe, ekstrakcja, leczenie w znieczuleniu ogólnym czy hospitalizacja.

Zły stan jamy ustnej w dzieciństwie często utrzymuje się w życiu dorosłym, wpływając na produktywność oraz jakość życia. Stwierdzono, że inwestowanie w prewencję chorób jamy ustnej oraz promocję zdrowia obniża koszty ponoszone w ramach wydatków na opiekę zdrowotną i w dłuższej perspektywie jest bardziej opłacalne (kosztowo-efektywne).

Zapobieganie próchnicy powinno mieć charakter kompleksowy, tzn. powinno obejmować edukację rodziców, edukację dzieci i naukę współodpowiedzialności za stan swojego zdrowia. Wiedza ta powinna dotyczyć zasad racjonalnego odżywiania, zasad higieny jamy ustnej, obowiązkowych badań kontrolnych stomatologicznych, a także regularnej profilaktyki z wykorzystaniem preparatów fluorowych. Istotnym elementem promocji zdrowia jamy ustnej są regularne, okresowe wizyty kontrolne u stomatologa.

Na podstawie analizy doświadczeń międzynarodowych WHO uznała, że najkorzystniejszym środowiskiem do wykorzystania w celu promocji zdrowia jamy ustnej jest szkoła, gdzie realizacja programów edukacji stomatologicznej przynosi najlepsze efekty i zapewnia najszerszy krąg oddziaływania.

### **Alternatywne świadczenia**

Wykazy oraz warunki realizacji świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia stomatologicznego określa Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia stomatologicznego.

Świadczenia stomatologiczne dla dzieci do ukończenia 6. roku życia obejmują załącznik nr 10 ww. Rozporządzenia): wizytę adaptacyjną z oceną stanu uzębienia za pomocą wskaźnika intensywności próchnicy PUW (liczba zębów z próchnicą usuniętych lub wypełnionych) dla zębów mlecznych, kontrolę higieny jamy ustnej, profilaktykę profesjonalną próchnicy, w tym profilaktykę fluorkową

przy braku przeciwwskazań, ocenę stanu morfologicznego i funkcji żucia, zastosowanie działań zapobiegających wadom zgryzu – profilaktyka ortodontyczna.

Świadczenia ogólnostomatologiczne dla dzieci i młodzieży do ukończenia 18. r.ż. obejmują m.in. (załącznik 2 ww. Rozporządzenia): badanie lekarskie stomatologiczne z instruktażem higieny jamy ustnej 1 raz w okresie 12 miesięcy, badanie lekarskie kontrolne 3 razy w okresie 12 miesięcy, badanie lekarza specjalisty z krótką pisemną oceną i wskazaniem diagnostyczno-terapeutycznymi dla lekarza prowadzącego, bez powiązania z innymi świadczeniami gwarantowanymi, zabezpieczenie bruzd zębów szóstych lakiem szczelinowym – 1 raz do ukończenia 7. roku życia, lakierowanie wszystkich zębów stałych nie częściej niż 1 raz na kwartał – za każdą 1/4 łuku zębowego, usunięcie złogów nazębnych nie częściej niż 1 raz na 6 miesięcy w obrębie całego uzębienia.

Świadczenia stomatologiczne dla dzieci i młodzieży do ukończenia 19. r.ż. (załącznik 11 ww. Rozporządzenia) obejmują: wiek 7 lat – ocenę stanu uzębienia za pomocą wskaźnika intensywności próchnicy PUW (DMF) dla zębów stałych i PUW dla zębów mlecznych (puw), oddzielne podanie poszczególnych składowych wskaźnika PUW dla zębów stałych i wskaźnika PUW dla zębów mlecznych, wykrywanie nieprawidłowości (wad) zgryzu: wyraźnego zniekształcenia lub wyraźnego ograniczenia funkcji żucia lub gryzienia, kwalifikację do szczególnej opieki stomatologicznej, w tym profesjonalna profilaktyka fluorkowa; wiek 10 lat: – j.w.; wiek 12 i 13 lat – j.w. – dla zębów stałych.

W załączniku 4 do Rozporządzenia Ministra Zdrowia z 29.08.2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej, w zakresie świadczeń gwarantowanych pielęgniarstwa lub higienistki szkolnej udzielanych w środowisku nauczania i wychowania znajduje się „prowadzenie u uczniów szkół podstawowych (klasy I–VI) znajdujących się na obszarach gdzie poziom fluorków w wodzie pitnej nie przekracza wartości 1mg/l, grupowej profilaktyki fluorkowej metodą nadzorowanego szczotkowania zębów preparatami fluorkowymi”.

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

Podstawowe zalecenia dotyczące profilaktyki próchnicy wynikające z odnalezionych wytycznych opartych na systematycznych przeglądach dowodów naukowych (również wskazówki Polskiego Towarzystwa Stomatologicznego oraz pytań o opinię specjalistów, stanowiące zalecenia na poziomie stanowiska eksperckiego, są zgodne z poniższymi stwierdzeniami):

- Praktyczną, skuteczną i powszechną metodą ograniczania próchnicy jest fluorowanie wody pitnej. Skutecznym działaniem w pierwotnej profilaktyce próchnicy jest codzienna ekspozycja na fluor przyjmowany z wodą oraz monitorowane stosowanie past fluorkowych.
- Istotnym elementem promocji zdrowia jamy ustnej są regularne, okresowe wizyty kontrolne. Zalecany odstęp między kolejnymi badaniami kontrolnymi powinien być dostosowany do potrzeb pacjenta i określony na podstawie oceny ryzyka próchnicy oraz zaawansowania/aktywności choroby; Istotnym elementem procesu decyzyjnego powinna być ocena ryzyka próchnicy u każdego pacjenta, okresowo weryfikowana;
- W profilaktyce próchnicy można stosować cztery proste metody o udowodnionej skuteczności: szczotkowanie zębów pastą z fluorem, porada dietetyczna (m.in. dotycząca ograniczenia spożycia cukrów), preparaty fluorowe do stosowania miejscowego (np. pasty do zębów, żele, płyny do płukania ust, lakiery) oraz laki szczelinowe (uszczelniacze) do zabezpieczania bruzd zębów trzonowych;
- Niezbędnym elementem profilaktyki próchnicy jest zdrowa dieta w zakresie spożywania cukrów: w przypadku pragnienia dziecko powinno pić wodę; posiłki zawierające cukry powinny być spożywane przez dzieci zagrożone próchnicą nie częściej niż 3–4 razy w ciągu dnia; wskazane jest prowadzenie w szkole zajęć edukacyjnych w zakresie higieny jamy ustnej, w tym związku między spożywaniem cukrów i rozwojem próchnicy;
- Podstawową metodą zapobiegania próchnicy powinno być dwukrotne w ciągu dnia szczotkowanie zębów pastą z fluorem o zawartości fluoru min 1000 ppm (dla małych dzieci wskazane są pasty z obniżoną zawartością fluoru);
- W grupie podwyższonego ryzyka próchnicy powinna być stosowana profesjonalna profilaktyka fluorkowa w odstępach 6-miesięcznych, a w grupie wysokiego ryzyka –

w odstępach 3 miesięcy. Profesjonalna zapobiegawcza terapia fluorkowa nie jest wskazana u osób z niskim ryzykiem próchnicy;

- W przypadku stwierdzenia podwyższonego ryzyka rozwoju próchnicy (u pacjenta lub w odniesieniu do konkretnego zęba) należy wykonać uszczelnienie bruzd stałych zębów trzonowych lakiem, a następnie sprawdzać i w razie potrzeby uzupełnić lak podczas regularnych wizyt kontrolnych;

Dodatkowo w odniesieniu do lakowania szczelin i bruzd zębów trzonowych stałych u dzieci i młodzieży, według zaleceń American Dental Association na wczesne ogniska próchnicowe można stosować laki szczelinowe w celu zmniejszenia odsetka postępujących zmian.

Na podstawie odnalezionych dowodów naukowych należy rekomendować przedszkolne i szkolne programy prewencji próchnicy. Powinny być one tak zaprojektowane, aby uzupełniać, nie dublować świadczenia gwarantowane finansowane przez NFZ i inne programy organizowane na szczeblu ogólnokrajowym. W Narodowym Programie Zdrowia na lata 2007–2015 administracji samorządowej przypisano istotną rolę wśród realizatorów planowanych zadań. Wdrożenie samorządowego programu zdrowotnego dotyczącego profilaktyki próchnicy powinno być poprzedzone oceną lokalnej sytuacji w zakresie skuteczności profilaktyki i określeniem stanu lokalnych zasobów i potrzeb. Program powinien być projektowany w porozumieniu ze specjalistami-stomatologami doświadczonymi w dziedzinie prewencji próchnicy, którzy pomogą właściwie wybrać poprawne działania. Osiągnięcie efektywności programu wymaga koordynacji działań na poszczególnych szczeblach samorządowych (np. w powiecie i jego gminach).

Odnosząc projekt opiniowanego programu do ogólnych kryteriów dobrze zaprojektowanego programu zdrowotnego (sformułowanych przez American Public Health Association) można stwierdzić, że:

- I. Program odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, opierającego się na profilaktyce próchnicy.
- II. Dostępność działań programu dla beneficjentów – nie zaplanowano przeprowadzenia akcji informacyjnej. Populacja programu została dobrze sprecyzowana – będą to 8-, 11-latki oraz uczniowie klas I-VI, a także nauczyciele, pielęgniarki i rodzice. Nie oszacowano liczebności populacji docelowej.
- III. Skuteczność działań – w projekcie nie odniesiono się do skuteczności planowanych działań.
- IV. W projekcie nie przedstawiono budżetu całkowitego ani kosztów jednostkowych.
- V. W projekcie nie przedstawiono sposobu monitorowania oraz nie zaproponowano mierników programu.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie

.....  
[Redacted signature area]

#### Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Profilaktyka próchnicy zębów u dzieci” miasta Katowice, nr: AOTM-OT-441-160/2012, Warszawa, lipiec 2012 i aneksu „Programy profilaktyki próchnicy i poprawy stanu

zdrowia jamy ustnej u dzieci przedszkolnych i szkolnych – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, lipiec 2012.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 146/2012 z dnia 16 lipca 2012  
o programie zdrowotnym „Rehabilitacja dzieci i młodzieży  
niepełnosprawnej z terenu Gminy Sułkowie”

*Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Rehabilitacja dzieci i młodzieży niepełnosprawnej z terenu Gminy Sułkowie”.*

**Uzasadnienie**

*Program dotyczy ważnego problemu. Rada proponuje pozytywne rozpatrzenie programu pod warunkiem opracowania jednoznacznych kryteriów kwalifikacyjnych do udziału w programie oraz szczegółowe zanalizowanie budżetu i stałe monitorowanie wydatków. Aktualnie przedstawiony budżet posiada wyraźne błędy w obliczeniach. Koszty ogólny jest dwukrotnie wyższy od podanego. Można się domyślać, że ze względu na zindywidualizowany program terapeutyczny i odmienne koszty dla poszczególnych uczestników trudno jednoznacznie obliczyć pełne koszty. Zalecamy szczegółowe zaktualizowanie budżetu i dostosowanie do niego programu terapeutycznego dla zakwalifikowanych uczestników.*

**Przedmiot opinii**

Przedmiotem niniejszej opinii jest projekt półrocznego programu zdrowotnego, dotyczącego rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży. Adresatami programu są niepełnosprawne dzieci i młodzież w wieku 0-25 lat, posiadające ważne orzeczenie o stopniu niepełnosprawności.

Głównym celem programu jest zapewnienie systematycznej i kompleksowej rehabilitacji oraz zindywidualizowanego wsparcia dzieciom i młodzieży niepełnosprawnej z terenu Gminy Sułkowie.

Pogram zakłada szereg kompleksowych działań z zakresu rehabilitacji leczniczej, społecznej i zawodowej.

W programie przedstawiono szczegółowo planowane koszty jednostkowe i całkowite, jednak są one przynajmniej częściowe oparte na błędnych kalkulacjach; w rzeczywistości całkowity koszt programu będzie ponad dwukrotnie wyższy od przewidzianego.

**Problem zdrowotny**

Niepełnosprawność jest problemem ogólnoswiatowym, stanowiącym cel szczególnie promowanych działań WHO i Komisji Europejskiej. Według ostatnich szacunków, około 15% ludności świata żyje z jakąś formą niepełnosprawności, z czego 2-4% doświadcza poważnych trudności w życiu codziennym. Mając na uwadze ulegający wydłużeniu średni czas życia,



problem ten staje się niezwykle istotny, gdyż dłuższe życie nieuchronnie wiąże się z pogorszeniem sprawności zarówno fizycznej, jak i psychicznej.

### **Alternatywne świadczenia**

Osobom niepełnosprawnym przysługują świadczenia z zakresu opieki zdrowotnej (w tym rehabilitacja lecznicza) - finansowane z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia, świadczenia opieki społecznej (w tym rehabilitacja społeczna i zawodowa) finansowane ze środków wydzielonych z PFRON.

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

#### **1) Wnioski z oceny problemu zdrowotnego**

Działania podejmowane w programach wynikają z zadań jednostek samorządów terytorialnych określonych w ustawie o rehabilitacji zawodowej i społecznej oraz zatrudnianiu osób niepełnosprawnych (Dz.U. 2010 nr 214 poz. 1407 z późn. zm.) oraz ustawach odpowiednich dla danych jednostek terytorialnych.

Głównym celem podejmowanych działań jest umożliwienie osobom niepełnosprawnym pełnego uczestnictwa w życiu społecznym oraz tworzenia warunków do niezależnego, samodzielnego i aktywnego życia oraz do korzystania na zasadzie równości z ustawowych praw obywatelskich. Programy te mają również pomóc osobom niepełnosprawnym w skutecznym i efektywnym korzystaniu z wszelkiego rodzaju usług świadczonych na terenie tych jednostek samorządu terytorialnego.

Programy zdrowotne skierowane do osób niepełnosprawnych nie są programami o dobrze zdefiniowanym problemie zdrowotnym i ściśle określonych sposobach jego rozwiązania. Niepełnosprawność jest pojęciem określającym, długotrwały stan, w którym występują pewne ograniczenia w prawidłowym funkcjonowaniu człowieka. Pojęcie to odnosi się do populacji zróżnicowanych pod kątem rodzaju (kategorii) niepełnosprawności, okresu życia, w którym ona wystąpiła, przyczyny, czy stopnia niepełnosprawności, a tym samym populacji o różnych wymaganiach np. terapeutycznych, edukacyjnych i społecznych.

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania znaleziono wiarygodne wytyczne kliniczne dotyczące postępowania leczniczego w przypadku dzieci ze spektrum zaburzeń autystycznych (ASD) oraz dzieci z ADHD; nie odnaleziono natomiast wiarygodnych wytycznych dotyczących interwencji stosowanych w leczeniu dzieci i młodzieży z zespołem Downa, jak również nie odnaleziono wytycznych poświęconych postępowaniu rehabilitacyjnemu w przypadku dzieci głuchych oraz niedosłyszących, niewidomych ani też w przypadku dzieci z zaburzeniami integracji sensorycznej.

Wytyczne są zgodne w kwestii, że wszystkie dzieci w wieku przedszkolnym z ASD powinny zostać poddane możliwie wczesnej interwencji, , ponieważ wczesna interwencja wpływa na poprawę wyników. Istnieją przekonujące dowody na rzecz zastosowania intensywnej wczesnej interwencji behawioralnej (EIBI – *Early Intensive Behaviour Intervention*) w leczeniu dzieci z ASD w wieku przedszkolnym. Wytyczne są zgodne w kwestii rekomendowania czynnego udziału rodziców lub opiekunów dzieci w wieku przedszkolnym z ASD w programach edukacyjnych. Terapia dziecka w wieku przedszkolnym z rozpoznaniem ASD, powinna być zindywidualizowana i prowadzona na podstawie indywidualnego planu interwencji, określającego cele, typy oraz częstotliwość i intensywność działań, odpowiednich dla szczególnych potrzeb rozwojowych i edukacyjnych. Program wczesnej interwencji powinien być dostosowany do indywidualnych potrzeb dziecka i rodziny.

W literaturze dotyczącej metod rehabilitacji dzieci niepełnosprawnych wymienia się najróżniejsze środki i sposoby stymulujące rozwój i pozwalające na lepsze przystosowanie

dzieci do życia. Niektóre z tych metod są bardziej skuteczne niż inne. Są też metody, których skuteczności nie da się potwierdzić w sposób naukowy.

Ponieważ nie znaleziono żadnych wiarygodnych dowodów świadczących o skuteczności klinicznej i efektywności kosztowej korzystania ze zwierząt w celach terapeutycznych (tzw. dogoterapia i hipoterapia), nie zaleca się więc tej metody w leczeniu zaburzeń układu nerwowego i zdrowia psychicznego ani korzystania z koni, ani z psów.

Terapia integracji słuchowej (terapia dźwiękowa Samonas i programy słuchowe), masaż i inne interwencje oparte na zmysłach, obciążanie kamizelek, psychoterapia ekspresyjna nie są zalecane jako rutynowe postępowanie dla dzieci w wieku przedszkolnym z ASD z powodu niewystarczających dowodów.

Muzykoterapia nie jest zalecane jako rutynowe postępowanie dla dzieci w wieku przedszkolnym z ASD z powodu niejednoznacznych dowodów.

Ze względu na brak dowodów świadczących o skuteczności oraz potencjalne ryzyko i działania niepożądane lub nadużycia, nie jest zalecane stosowanie u dzieci z ASD: metody ułatwionej komunikacji (Facilitated Communication), tzw. terapii Holdingu (metoda wymuszonego kontaktu) i innych niepotwierdzonych naukowo metod (patterningu z maskowaniem, terapii immunoglobuliną podawaną dożylnie, terapii sekretyną).

Istnieją natomiast przekonujące dowody świadczące o skuteczności systemów AAC (Augmentative and Alternative Communication – tj. alternatywne i wspomagające metody komunikacji) w leczeniu dzieci z ASD w wieku przedszkolnym.

Odnalezione rekomendacje dotyczące terapii i rehabilitacji dzieci i młodzieży z mózgowym porażeniem dziecięcym wskazują na konieczność kompleksowej terapii i rehabilitacji obejmującej realizację programu ćwiczeń fizycznych wzmacniających mięśnie (ogólnorozwojowy trening siłowy, ukierunkowany trening siłowy) uwzględniający wiek i stan pacjenta, czas i częstotliwość terapii. Stosowanie interwencji hydroterapeutycznych może być zalecane w przypadku dzieci z porażeniem mózgowym, które wykazują deficyt wytrzymałości czy deficyt energetyczny, u których za cel terapeutyczny wyznaczono poprawę tych parametrów. Brak jest wiarygodnych rekomendacji dotyczących czasu trwania, częstotliwości, intensywności i strategii stosowanych przy interwencji hydroterapeutycznej.

Co się tyczy leczenia ADHD, zarówno amerykański National Institute of Mental Health, jak i wiele towarzystw naukowych stwierdzają, że są dwie interwencje, które mają solidne podstawy naukowe potwierdzające skuteczność krótkoterminową: behawioralna terapia psychospołeczna oraz farmakoterapia lekami psychostymulującymi. W odniesieniu do zaleceń dotyczących wczesnego wykrywania i wczesnej interwencji u dzieci z grupy ryzyka zaburzeń rozwojowych, zalecenia praktyki klinicznej podkreślają, że obserwacja rozwoju dziecka powinna być elementem każdej wizyty w ramach opieki profilaktycznej.

Mimo ograniczonych dowodów dotyczących skuteczności zastosowania wczesnej interwencji rozwojowej u niemowląt z grupy ryzyka zaburzeń rozwojowych (głównie wcześniaki), stosowanie wczesnej interwencji u dzieci z grupy ryzyka jest powszechnie zalecane i praktykowane. Autorzy przeglądu Cochrane Collaboration doszli do wniosku, że programy wczesnej interwencji dla wcześniaków wykazują pozytywny wpływ na funkcje poznawcze w krótkim i średnim okresie obserwacji. Konieczne są jednak dalsze badania, aby określić, które ze wczesnych interwencji są najbardziej skuteczne w poprawie sprawności poznawczych i motorycznych. Dodatkowo zwrócono uwagę na konieczność oceny efektywności kosztowej jak również dostępności usług, które stanowią istotne czynniki przy



rozważaniu wprowadzenia programu wczesnej interwencji rozwojowej u przedwcześnie urodzonych noworodków.

Zadania realizowane w zakresie wczesnego wspomagania rozwoju dziecka obejmują:

- ustalenie wielospecjalistycznej diagnozy: lekarskiej, psychologicznej, logopedycznej oraz ocena sfery ruchowej dziecka (ocena stanu narządu ruchu i rozwoju ruchowego),
- opracowanie i wdrażanie szczegółowego, wielospecjalistycznego i kompleksowego programu postępowania w sferze psychicznej, ruchowej, społecznej i emocjonalnej dziecka,
- śledzenie rozwoju dziecka poprzez systematyczną weryfikację diagnozy oraz dostosowywanie programów rehabilitacyjnych i terapeutycznych do zmieniających się potrzeb rozwojowych i zdrowotnych dziecka,
- prowadzenie indywidualnych form terapii oraz edukacji dziecka,
- przygotowanie i realizowanie psychologicznych programów wsparcia rodziny dziecka niepełnosprawnego,
- przygotowanie i realizowanie programów terapeutyczno-edukacyjno-profilaktycznych dla rodzin, m.in. udzielanie rodzicom szczegółowych wskazówek oraz szkolenie w zakresie metod i technik pielęgnacji, opieki, stymulacji rozwoju i usprawniania dziecka w warunkach domowych.
- dostarczanie rodzicom informacji o uprawnieniach i możliwych formach pomocy, niezbędnych adresach itp., pomoc w skontaktowaniu się rodziców z innymi rodzicami będącymi w podobnej sytuacji i z ich organizacjami.

Wczesne rozpoznanie wad rozwojowych powinno prowadzić do odpowiednio wczesnej oceny, diagnozy i włączenia leczenia, w tym interwencji rozwojowej. Jak wykazała Europejska Agencja Rozwoju Edukacji Uczniów ze Specjalnymi Potrzebami Edukacyjnymi [EUROPEAN Agency], dostępność, bliskość, przystępność finansowa, interdyscyplinarność oraz zróżnicowanie świadczeń to warunki konieczne. aby społeczny model Wczesnej Interwencji [Model INSITE] oraz Wczesnego Wsparcia Rozwoju Dziecka funkcjonował dobrze.

## **2) Wnioski z oceny programu gminy Sułkowice**

- Program dotyczy bardzo rozległego i ciężko definiowalnego problemu zdrowotnego, którego rozległość można oszacować i którego skutki można ograniczać.
- Istnieje bogata literatura dotycząca samego problemu i podejmowanych w programie interwencji.
- Nie można ocenić precyzyjnie skuteczności działań, które mają być podjęte w ramach realizacji programu. Rodzaj proponowanych interwencji jest generalnie zgodny z zaleceniami wynikającymi z zebranych dowodów naukowych.
- W projekcie programu przedstawiono budżet i planowane koszty całkowite i częściowe, jednak są one oparte na częściowo błędnych kalkulacjach. Z kalkulacji przeprowadzonych przez analityka w oparciu o dane przedstawione przez autorów wynika, że koszt całkowity programu jest ponad dwukrotnie wyższy od zakładanego.
- W projekcie przewidziano udział 40 dzieci, przy czym jak podają sami autorzy, liczba potencjalnych uczestników spełniających kryteria włączenia do programu wynosi 103. Nie zostało określone postępowanie w przypadku zgłoszenia się większej niż zakładana liczby uczestników.

- Dla większości postulowanych interwencji przewidziano udział zaledwie kilku uczestników (z 40 biorących udział w programie). Należy więc uznać, że program będzie de facto realizowany tylko dla tych osób, które uzyskają dostęp do oferowanych świadczeń.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie

.....  
[Redacted]  
[Redacted]

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Rehabilitacja dzieci i młodzieży niepełnosprawnej z terenu Gminy Sułkowice”, nr: AOTM-OT-441-126/2011, Warszawa, lipiec 2012 i aneksu „Programy z zakresu kompleksowej terapii i rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, lipiec 2012.



## Opinia Rady Przejrzystości

nr 147/2012 z dnia 16 lipca 2012

o projekcie programu zdrowotnego „Kompleksowa terapia, opieka i pielęgnacja dzieci niepełnosprawnych z terenu miasta Jaworzna”

*Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Kompleksowa terapia, opieka i pielęgnacja dzieci niepełnosprawnych z terenu miasta Jaworzna”.*

### Uzasadnienie

*Rada rekomenduje przyjęcie projektu, ponieważ program pod względem planowanych interwencji jest dobrze zaplanowany i dopasowany do potrzeb adresatów, które mają istotne znaczenie. Rada zaleca również uzupełnienie budżetu o szczegółowy kosztorys, a precyzyjnie zaplanować finansowanie konkretnych interwencji.*

### Przedmiot opinii

Przedmiotem niniejszej opinii jest projekt jednorocznego programu zdrowotnego, dotyczącego kompleksowej terapii, opieki i pielęgnacji dzieci niepełnosprawnych zamieszkałych w mieście Jaworzno. Adresatami programu są dzieci w wieku od 3 r.ż., które ze względu na dużą niesprawność ruchową, upośledzenie umysłowe lub zaburzony rozwój psychospołeczny nie znalazły miejsca w ogólnodostępnych placówkach oświatowych.

Głównym celem programu jest ograniczenie negatywnych skutków niepełnosprawności u dzieci poprzez rozwijanie indywidualnej samodzielności i społecznych kompetencji.

Pogram zakłada zajęcia z zakresu terapii rewalidacyjnej, funkcjonalnej, codziennych zabiegów i czynności pielęgnacyjno-opiekuńczych oraz zabaw i gier zespołowych, których celem jest rozwijanie sprawności motorycznej, rozwijanie i modelowanie zachowań społecznych, uczenie współdziałania oraz oczekiwania na swoją kolej, a także pobudzanie i rozwijanie aktywności własnej dziecka, stymulowanie spontaniczności, ciekawości oraz uruchamianie pozytywnych przeżyć emocjonalnych (np. zajęcia ruchowe na sali gimnastycznej lub zabawy na świeżym powietrzu oraz zajęcia hipoterapeutyczne).

Całkowity koszt programu oszacowano na 550 tys. zł. Jednostką rozliczeniową w programie jest osobodzień, który wyceniono na 100 zł.

### Problem zdrowotny

Niepełnosprawność jest problemem ogólnoswiatowym, stanowiącym cel szczególnie promowanych działań WHO i Komisji Europejskiej. Według ostatnich szacunków, około 15% ludności świata żyje z jakąś formą niepełnosprawności, z czego 2-4% doświadcza poważnych trudności w życiu codziennym. Mając na uwadze ulegający wydłużeniu średni czas życia, problem ten staje się niezwykle istotny, gdyż dłuższe życie nieuchronnie wiąże się z pogorszeniem sprawności zarówno fizycznej, jak i psychicznej.



## **Alternatywne świadczenia**

Osobom niepełnosprawnym przysługują świadczenia z zakresu opieki zdrowotnej (w tym rehabilitacja lecznicza) - finansowane z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia, świadczenia opieki społecznej (w tym rehabilitacja społeczna i zawodowa) finansowane ze środków wydzielonych z PFRON.

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

### **1) Wnioski z oceny problemu zdrowotnego**

Działania podejmowane w programach wynikają z zadań jednostek samorządów terytorialnych określonych w ustawie o rehabilitacji zawodowej i społecznej oraz zatrudnianiu osób niepełnosprawnych (Dz.U. 2010 nr 214 poz. 1407 z późn. zm.) oraz ustawach odpowiednich dla danych jednostek terytorialnych.

Głównym celem podejmowanych działań jest umożliwienie osobom niepełnosprawnym pełnego uczestnictwa w życiu społecznym oraz tworzenia warunków do niezależnego, samodzielnego i aktywnego życia oraz do korzystania na zasadzie równości z ustawowych praw obywatelskich. Programy te mają również pomóc osobom niepełnosprawnym w skutecznym i efektywnym korzystaniu z wszelkiego rodzaju usług świadczonych na terenie tych jednostek samorządu terytorialnego.

Programy zdrowotne skierowane do osób niepełnosprawnych nie są programami o dobrze zdefiniowanym problemie zdrowotnym i ściśle określonych sposobach jego rozwiązania. Niepełnosprawność jest pojęciem określającym, długotrwały stan, w którym występują pewne ograniczenia w prawidłowym funkcjonowaniu człowieka. Pojęcie to odnosi się do populacji zróżnicowanych pod kątem rodzaju (kategorii) niepełnosprawności, okresu życia, w którym ona wystąpiła, przyczyny, czy stopnia niepełnosprawności, a tym samym populacji o różnych wymaganiach np. terapeutycznych, edukacyjnych i społecznych.

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania znaleziono wiarygodne wytyczne kliniczne dotyczące postępowania leczniczego w przypadku dzieci ze spektrum zaburzeń autystycznych (ASD) oraz dzieci z ADHD; nie odnaleziono natomiast wiarygodnych wytycznych dotyczących interwencji stosowanych w leczeniu dzieci i młodzieży z zespołem Downa, jak również nie odnaleziono wytycznych poświęconych postępowaniu rehabilitacyjnemu w przypadku dzieci głuchych oraz niedosłyszących, niewidomych ani też w przypadku dzieci z zaburzeniami integracji sensorycznej.

Wytyczne są zgodne w kwestii, że wszystkie dzieci w wieku przedszkolnym z ASD powinny zostać poddane możliwie wczesnej interwencji, , ponieważ wczesna interwencja wpływa na poprawę wyników. Istnieją przekonujące dowody na rzecz zastosowania intensywnej wczesnej interwencji behawioralnej (EIBI – *Early Intensive Behaviour Intervention*) w leczeniu dzieci z ASD w wieku przedszkolnym. Wytyczne są zgodne w kwestii rekomendowania czynnego udziału rodziców lub opiekunów dzieci w wieku przedszkolnym z ASD w programach edukacyjnych. Terapia dziecka w wieku przedszkolnym z rozpoznaniem ASD, powinna być zindywidualizowana i prowadzona na podstawie indywidualnego planu interwencji, określającego cele, typy oraz częstotliwość i intensywność działań, odpowiednich dla szczególnych potrzeb rozwojowych i edukacyjnych. Program wczesnej interwencji powinien być dostosowany do indywidualnych potrzeb dziecka i rodziny.

W literaturze dotyczącej metod rehabilitacji dzieci niepełnosprawnych wymienia się najróżniejsze środki i sposoby stymulujące rozwój i pozwalające na lepsze przystosowanie dzieci do życia. Niektóre z tych metod są bardziej skuteczne niż inne. Są też metody, których skuteczności nie da się potwierdzić w sposób naukowy.

Ponieważ nie znaleziono żadnych wiarygodnych dowodów świadczących o skuteczności klinicznej i efektywności kosztowej korzystania ze zwierząt w celach terapeutycznych (tzw. dogoterapia i hipoterapia), nie zaleca się więc tej metody w leczeniu zaburzeń układu nerwowego i zdrowia psychicznego ani korzystania z koni, ani z psów.

Terapia integracji słuchowej (terapia dźwiękowa Samonas i programy słuchowe), masaż i inne interwencje oparte na zmysłach, obciążanie kamizelek, psychoterapia ekspresyjna nie są zalecane jako rutynowe postępowanie dla dzieci w wieku przedszkolnym z ASD z powodu niewystarczających dowodów.

Muzykoterapia nie jest zalecana jako rutynowe postępowanie dla dzieci w wieku przedszkolnym z ASD z powodu niejednoznacznych dowodów.

Ze względu na brak dowodów świadczących o skuteczności oraz potencjalne ryzyko i działania niepożądane lub nadużycia, nie jest zalecane stosowanie u dzieci z ASD: metody ułatwionej komunikacji (Facilitated Communication), tzw. terapii Holdingu (metoda wymuszonego kontaktu) i innych niepotwierdzonych naukowo metod (patterningu z maskowaniem, terapii immunoglobuliną podawaną dożylnie, terapii sekretyną).

Istnieją natomiast przekonujące dowody świadczące o skuteczności systemów AAC (Augmentative and Alternative Communication – tj. alternatywne i wspomagające metody komunikacji) w leczeniu dzieci z ASD w wieku przedszkolnym.

Odnalezione rekomendacje dotyczące terapii i rehabilitacji dzieci i młodzieży z mózgowym porażeniem dziecięcym wskazują na konieczność kompleksowej terapii i rehabilitacji obejmującej realizację programu ćwiczeń fizycznych wzmacniających mięśnie (ogólnorozwojowy trening siłowy, ukierunkowany trening siłowy) uwzględniający wiek i stan pacjenta, czas i częstotliwość terapii. Stosowanie interwencji hydroterapeutycznych może być zalecane w przypadku dzieci z porażeniem mózgowym, które wykazują deficyt wytrzymałości czy deficyt energetyczny, u których za cel terapeutyczny wyznaczono poprawę tych parametrów. Brak jest wiarygodnych rekomendacji dotyczących czasu trwania, częstotliwości, intensywności i strategii stosowanych przy interwencji hydroterapeutycznej.

Co się tyczy leczenia ADHD, zarówno amerykański National Institute of Mental Health, jak i wiele towarzystw naukowych stwierdzają, że są dwie interwencje, które mają solidne podstawy naukowe potwierdzające skuteczność krótkoterminową: behawioralna terapia psychospołeczna oraz farmakoterapia lekami psychostymulującymi. W odniesieniu do zaleceń dotyczących wczesnego wykrywania i wczesnej interwencji u dzieci z grupy ryzyka zaburzeń rozwojowych, zalecenia praktyki klinicznej podkreślają, że obserwacja rozwoju dziecka powinna być elementem każdej wizyty w ramach opieki profilaktycznej.

Mimo ograniczonych dowodów dotyczących skuteczności zastosowania wczesnej interwencji rozwojowej u niemowląt z grupy ryzyka zaburzeń rozwojowych (głównie wcześniaki), stosowanie wczesnej interwencji u dzieci z grupy ryzyka jest powszechnie zalecane i praktykowane. Autorzy przeglądu Cochrane Collaboration doszli do wniosku, że programy wczesnej interwencji dla wcześniaków wykazują pozytywny wpływ na funkcje poznawcze w krótkim i średnim okresie obserwacji. Konieczne są jednak dalsze badania, aby określić, które ze wczesnych interwencji są najbardziej skuteczne w poprawie sprawności poznawczych i motorycznych. Dodatkowo zwrócono uwagę na konieczność oceny efektywności kosztowej jak również dostępności usług, które stanowią istotne czynniki przy rozważaniu wprowadzenia programu wczesnej interwencji rozwojowej u przedwcześnie urodzonych noworodków.

Zadania realizowane w zakresie wczesnego wspomagania rozwoju dziecka obejmują:

- ustalenie wielospecjalistycznej diagnozy: lekarskiej, psychologicznej, logopedycznej oraz ocena sfery ruchowej dziecka (ocena stanu narządu ruchu i rozwoju ruchowego),
- opracowanie i wdrażanie szczegółowego, wielospecjalistycznego i kompleksowego programu postępowania w sferze psychicznej, ruchowej, społecznej i emocjonalnej dziecka,
- śledzenie rozwoju dziecka poprzez systematyczną weryfikację diagnozy oraz dostosowywanie programów rehabilitacyjnych i terapeutycznych do zmieniających się potrzeb rozwojowych i zdrowotnych dziecka,
- prowadzenie indywidualnych form terapii oraz edukacji dziecka,
- przygotowanie i realizowanie psychologicznych programów wsparcia rodziny dziecka niepełnosprawnego,
- przygotowanie i realizowanie programów terapeutyczno-edukacyjno-profilaktycznych dla rodzin, m.in. udzielanie rodzicom szczegółowych wskazówek oraz szkolenie w zakresie metod i technik pielęgnacji, opieki, stymulacji rozwoju i usprawniania dziecka w warunkach domowych.
- dostarczanie rodzicom informacji o uprawnieniach i możliwych formach pomocy, niezbędnych adresach itp., pomoc w skontaktowaniu się rodziców z innymi rodzicami będącymi w podobnej sytuacji i z ich organizacjami.

Wczesne rozpoznanie wad rozwojowych powinno prowadzić do odpowiednio wczesnej oceny, diagnozy i włączenia leczenia, w tym interwencji rozwojowej. Jak wykazała Europejska Agencja Rozwoju Edukacji Uczniów ze Specjalnymi Potrzebami Edukacyjnymi [EUROPEAN Agency], dostępność, bliskość, przystępność finansowa, interdyscyplinarność oraz zróżnicowanie świadczeń to warunki konieczne. aby społeczny model Wczesnej Interwencji [Model INSITE] oraz Wczesnego Wsparcia Rozwoju Dziecka funkcjonował dobrze.

## **2) Wnioski z oceny programu miasta Jaworzno**

- Program dotyczy słabo zdefiniowanego i bardzo rozległego problemu zdrowotnego, którego rozległość można oszacować i którego skutki można ograniczać.
- Istnieje bogata literatura dotycząca samego problemu i podejmowanych w programie interwencji, jakkolwiek bardzo niewiele jest wiarygodnych, wtórnych dowodów naukowych ich skuteczności i bezpieczeństwa, w postaci przeglądów systematycznych i wytycznych klinicznych.
- W opiniach eksperckich podkreślano wielokrotnie, iż program pod względem planowanych interwencji jest dobrze zaplanowany i dopasowany do potrzeb adresatów.
- W projekcie programu przedstawiono całkowity budżet, jednak ze względu na brak szczegółowego kosztorysu nie sposób ustalić, na ile on jest realny, a także jakie środki zaplanowano na finansowanie konkretnych interwencji. Przyjętą jednostką rozliczeniową w programie jest osobodzień.
- Efektywność programu jest oceniana pod kątem ilości uczestników programu oraz odsetka dzieci, które dzięki prowadzonym zajęciom zostaną przyjęte do ogólnodostępnych placówek oświatowych.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie

.....  
[Redacted]  
[Redacted]

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Kompleksowa terapia, opieka i pielęgnacja dzieci niepełnosprawnych z terenu miasta Jaworzna”, nr: AOTM-OT-441-175/2011, Warszawa, lipiec 2012 i aneksu „Programy z zakresu kompleksowej terapii i rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, lipiec 2012.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 148/2012 z dnia 16 lipca 2012  
o projekcie programu zdrowotnego „Program profilaktyczno-  
terapeutyczny dla dzieci zagrożonych i dotkniętych autyzmem  
dziecięcym” miasta Kraków

*Rada wydaje negatywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Program profilaktyczno-terapeutyczny dla dzieci zagrożonych i dotkniętych autyzmem dziecięcym” przedstawianym przez miasto Kraków.*

**Uzasadnienie**

*Program nie powinien być pozytywnie zaopiniowany z uwagi na brak budżetu, opisu interwencji i opisu populacji.*

**Przedmiot opinii**

Przedmiotem niniejszej opinii jest projekt dwuletniego programu zdrowotnego, dotyczącego profilaktyki i terapii dzieci zagrożonych i dotkniętych autyzmem. Adresatami programu są dzieci poniżej 3 r.ż. zagrożone autyzmem dziecięcym oraz starsze dzieci i młodzież dotknięte autyzmem dziecięcym lub z objawami zespołu Aspergera.

Głównym celem programu zwiększenie dostępności wczesnej diagnozy dzieci z autyzmem i całościowymi zaburzeniami rozwoju, zapewnienie im odpowiedniej wielospecjalistycznej terapii oraz zapewnienie rodzinom edukacji i fachowego wsparcia.

Program zakłada szereg kompleksowych działań, w tym diagnozowanie medyczne, pedagogiczne, psychologiczne i logopedyczne, a także zajęcia indywidualne i grupowe dla dzieci przy udziale specjalistów z różnych dziedzin, m.in. logopedy, pedagoga, psychiatry dziecięcego, pielęgniarki, psychologa klinicznego czy zajęcia edukacyjne dla rodziców.

W programie brak jakichkolwiek informacji o całkowitym koszcie, budżecie czy choćby źródle pochodzenia środków finansowych. Przedstawiono szczątkowe informacje o planowanych kosztach cząstkowych.

**Problem zdrowotny**

Niepełnosprawność jest problemem ogólnoswiatowym, stanowiącym cel szczególnie promowanych działań WHO i Komisji Europejskiej. Według ostatnich szacunków, około 15% ludności świata żyje z jakąś formą niepełnosprawności, z czego 2-4% doświadcza poważnych trudności w życiu codziennym. Mając na uwadze ulegający wydłużeniu średni czas życia, problem ten staje się niezwykle istotny, gdyż dłuższe życie nieuchronnie wiąże się z pogorszeniem sprawności zarówno fizycznej, jak i psychicznej.

**Alternatywne świadczenia**

Osobom niepełnosprawnym przysługują świadczenia z zakresu opieki zdrowotnej (w tym rehabilitacja lecznicza) - finansowane z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia, świadczenia





opieki społecznej (w tym rehabilitacja społeczna i zawodowa) finansowane ze środków wydzielonych z PFRON.

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

### **1) Wnioski z oceny problemu zdrowotnego**

Działania podejmowane w programach wynikają z zadań jednostek samorządów terytorialnych określonych w ustawie o rehabilitacji zawodowej i społecznej oraz zatrudnianiu osób niepełnosprawnych (Dz.U. 2010 nr 214 poz. 1407 z późn. zm.) oraz ustawach odpowiednich dla danych jednostek terytorialnych.

Głównym celem podejmowanych działań jest umożliwienie osobom niepełnosprawnym pełnego uczestnictwa w życiu społecznym oraz tworzenia warunków do niezależnego, samodzielnego i aktywnego życia oraz do korzystania na zasadzie równości z ustawowych praw obywatelskich. Programy te mają również pomóc osobom niepełnosprawnym w skutecznym i efektywnym korzystaniu z wszelkiego rodzaju usług świadczonych na terenie tych jednostek samorządu terytorialnego.

Programy zdrowotne skierowane do osób niepełnosprawnych nie są programami o dobrze zdefiniowanym problemie zdrowotnym i ściśle określonych sposobach jego rozwiązania. Niepełnosprawność jest pojęciem określającym, długotrwały stan, w którym występują pewne ograniczenia w prawidłowym funkcjonowaniu człowieka. Pojęcie to odnosi się do populacji zróżnicowanych pod kątem rodzaju (kategorii) niepełnosprawności, okresu życia, w którym ona wystąpiła, przyczyny, czy stopnia niepełnosprawności, a tym samym populacji o różnych wymaganiach np. terapeutycznych, edukacyjnych i społecznych.

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania znaleziono wiarygodne wytyczne kliniczne dotyczące postępowania leczniczego w przypadku dzieci ze spektrum zaburzeń autystycznych (ASD) oraz dzieci z ADHD; nie odnaleziono natomiast wiarygodnych wytycznych dotyczących interwencji stosowanych w leczeniu dzieci i młodzieży z zespołem Downa, jak również nie odnaleziono wytycznych poświęconych postępowaniu rehabilitacyjnemu w przypadku dzieci głuchych oraz niedosłyszących, niewidomych ani też w przypadku dzieci z zaburzeniami integracji sensorycznej.

Wytyczne są zgodne w kwestii, że wszystkie dzieci w wieku przedszkolnym z ASD powinny zostać poddane możliwie wczesnej interwencji, , ponieważ wczesna interwencja wpływa na poprawę wyników. Istnieją przekonujące dowody na rzecz zastosowania intensywnej wczesnej interwencji behawioralnej (EIBI – *Early Intensive Behaviour Intervention*) w leczeniu dzieci z ASD w wieku przedszkolnym. Wytyczne są zgodne w kwestii rekomendowania czynnego udziału rodziców lub opiekunów dzieci w wieku przedszkolnym z ASD w programach edukacyjnych. Terapia dziecka w wieku przedszkolnym z rozpoznaniem ASD, powinna być zindywidualizowana i prowadzona na podstawie indywidualnego planu interwencji, określającego cele, typy oraz częstotliwość i intensywność działań, odpowiednich dla szczególnych potrzeb rozwojowych i edukacyjnych. Program wczesnej interwencji powinien być dostosowany do indywidualnych potrzeb dziecka i rodziny.

W literaturze dotyczącej metod rehabilitacji dzieci niepełnosprawnych wymienia się najróżniejsze środki i sposoby stymulujące rozwój i pozwalające na lepsze przystosowanie dzieci do życia. Niektóre z tych metod są bardziej skuteczne niż inne. Są też metody, których skuteczności nie da się potwierdzić w sposób naukowy.

Ponieważ nie znaleziono żadnych wiarygodnych dowodów świadczących o skuteczności klinicznej i efektywności kosztowej korzystania ze zwierząt w celach terapeutycznych (tzw.

dogoterapia i hipoterapia), nie zaleca się więc tej metody w leczeniu zaburzeń układu nerwowego i zdrowia psychicznego ani korzystania z koni, ani z psów.

Terapia integracji słuchowej (terapia dźwiękowa Samonas i programy słuchowe), masaż i inne interwencje oparte na zmysłach, obciążanie kamizelek, psychoterapia ekspresyjna nie są zalecane jako rutynowe postępowanie dla dzieci w wieku przedszkolnym z ASD z powodu niewystarczających dowodów.

Muzykoterapia nie jest zalecana jako rutynowe postępowanie dla dzieci w wieku przedszkolnym z ASD z powodu niejednoznacznych dowodów.

Ze względu na brak dowodów świadczących o skuteczności oraz potencjalne ryzyko i działania niepożądane lub nadużycia, nie jest zalecane stosowanie u dzieci z ASD: metody ułatwionej komunikacji (Facilitated Communication), tzw. terapii Holdingu (metoda wymuszonego kontaktu) i innych niepotwierdzonych naukowo metod (patterningu z maskowaniem, terapii immunoglobuliną podawaną dożylnie, terapii sekretyną).

Istnieją natomiast przekonujące dowody świadczące o skuteczności systemów AAC (Augmentative and Alternative Communication – tj. alternatywne i wspomagające metody komunikacji) w leczeniu dzieci z ASD w wieku przedszkolnym.

Odnalezione rekomendacje dotyczące terapii i rehabilitacji dzieci i młodzieży z mózgowym porażeniem dziecięcym wskazują na konieczność kompleksowej terapii i rehabilitacji obejmującej realizację programu ćwiczeń fizycznych wzmacniających mięśnie (ogólnorozwojowy trening siłowy, ukierunkowany trening siłowy) uwzględniający wiek i stan pacjenta, czas i częstotliwość terapii. Stosowanie interwencji hydroterapeutycznych może być zalecane w przypadku dzieci z porażeniem mózgowym, które wykazują deficyt wytrzymałości czy deficyt energetyczny, u których za cel terapeutyczny wyznaczono poprawę tych parametrów. Brak jest wiarygodnych rekomendacji dotyczących czasu trwania, częstotliwości, intensywności i strategii stosowanych przy interwencji hydroterapeutycznej.

Co się tyczy leczenia ADHD, zarówno amerykański National Institute of Mental Health, jak i wiele towarzystw naukowych stwierdzają, że są dwie interwencje, które mają solidne podstawy naukowe potwierdzające skuteczność krótkoterminową: behawioralna terapia psychospołeczna oraz farmakoterapia lekami psychostymulującymi. W odniesieniu do zaleceń dotyczących wczesnego wykrywania i wczesnej interwencji u dzieci z grupy ryzyka zaburzeń rozwojowych, zalecenia praktyki klinicznej podkreślają, że obserwacja rozwoju dziecka powinna być elementem każdej wizyty w ramach opieki profilaktycznej.

Mimo ograniczonych dowodów dotyczących skuteczności zastosowania wczesnej interwencji rozwojowej u niemowląt z grupy ryzyka zaburzeń rozwojowych (głównie wcześniaki), stosowanie wczesnej interwencji u dzieci z grupy ryzyka jest powszechnie zalecane i praktykowane. Autorzy przeglądu Cochrane Collaboration doszli do wniosku, że programy wczesnej interwencji dla wcześniaków wykazują pozytywny wpływ na funkcje poznawcze w krótkim i średnim okresie obserwacji. Konieczne są jednak dalsze badania, aby określić, które ze wczesnych interwencji są najbardziej skuteczne w poprawie sprawności poznawczych i motorycznych. Dodatkowo zwrócono uwagę na konieczność oceny efektywności kosztowej jak również dostępności usług, które stanowią istotne czynniki przy rozważaniu wprowadzenia programu wczesnej interwencji rozwojowej u przedwcześnie urodzonych noworodków.

Zadania realizowane w zakresie wczesnego wspomagania rozwoju dziecka obejmują:

- ustalenie wielospecjalistycznej diagnozy: lekarskiej, psychologicznej, logopedycznej oraz ocena sfery ruchowej dziecka (ocena stanu narządu ruchu i rozwoju ruchowego),

- opracowanie i wdrażanie szczegółowego, wielospecjalistycznego i kompleksowego programu postępowania w sferze psychicznej, ruchowej, społecznej i emocjonalnej dziecka,
- śledzenie rozwoju dziecka poprzez systematyczną weryfikację diagnozy oraz dostosowywanie programów rehabilitacyjnych i terapeutycznych do zmieniających się potrzeb rozwojowych i zdrowotnych dziecka,
- prowadzenie indywidualnych form terapii oraz edukacji dziecka,
- przygotowanie i realizowanie psychologicznych programów wsparcia rodziny dziecka niepełnosprawnego,
- przygotowanie i realizowanie programów terapeutyczno-edukacyjno-profilaktycznych dla rodzin, m.in. udzielanie rodzicom szczegółowych wskazówek oraz szkolenie w zakresie metod i technik pielęgnacji, opieki, stymulacji rozwoju i usprawniania dziecka w warunkach domowych.
- dostarczanie rodzicom informacji o uprawnieniach i możliwych formach pomocy, niezbędnych adresach itp., pomoc w skontaktowaniu się rodziców z innymi rodzicami będącymi w podobnej sytuacji i z ich organizacjami.

Wczesne rozpoznanie wad rozwojowych powinno prowadzić do odpowiednio wczesnej oceny, diagnozy i włączenia leczenia, w tym interwencji rozwojowej. Jak wykazała Europejska Agencja Rozwoju Edukacji Uczniów ze Specjalnymi Potrzebami Edukacyjnymi [EUROPEAN Agency], dostępność, bliskość, przystępność finansowa, interdyscyplinarność oraz zróżnicowanie świadczeń to warunki konieczne. aby społeczny model Wczesnej Interwencji [Model INSITE] oraz Wczesnego Wsparcia Rozwoju Dziecka funkcjonował dobrze.

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

- Program dotyczy dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, którego rozległość można oszacować i którego skutki można ograniczać.
- Istnieje bogata literatura dotycząca samego problemu i podejmowanych w programie interwencji, odnaleziono też szereg wiarygodnych, wtórnych dowodów naukowych na ten temat.
- Nie można ocenić precyzyjnie skuteczności działań, które mają być podjęte w ramach realizacji programu. Rodzaj proponowanych interwencji jest generalnie zgodny z zaleceniami wynikającymi z zebranych dowodów naukowych. Choć autorzy opisali planowane interwencje, nie doprecyzowano w jakim wymiarze będą one realizowane.
- W projekcie programu brak jest informacji na temat całkowitych kosztów jego realizacji czy budżetu. Przedstawiono jedynie bardzo ograniczone dane na temat planowanych kosztów częściowych świadczeń.
- Brak jest danych na temat wymiaru świadczeń – zarówno całkowitego, jak i przypadającego na jednego uczestnika.
- Populacja programu została przedstawiona w sposób budzący wątpliwości- nie jest jasne, czy są to dzieci zamieszkałe tylko w Krakowie, czy też dopuszcza się udział innych. Ponadto, w projekcie nie oszacowano rozmiarów populacji programu- nie wiadomo, do jak dużej grupy jest on adresowany i jaka frekwencja jest spodziewana.

- W programie nie opisano żadnych szczegółowych celów ani metod ewaluacji realizacji programu.
- W programie nie opisano części postulowanych interwencji dla części populacji- tj. dzieci starszych niż 3 lata. Nie wiadomo, na jakich zasadach będą one diagnozowane, włączane do programu i jak zostanie ustalony plan terapeutyczny.
- W projekcie programu dość dokładnie opisano kryteria oceny kwalifikacji realizatora programu.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie

.....  
[Redacted]  
[Redacted]

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Program profilaktyczno-terapeutyczny dla dzieci zagrożonych i dotkniętych autyzmem dziecięcym” realizowanym przez miasto Kraków, nr: AOTM-OT-441-12/2012, Warszawa, lipiec 2012 i aneksu „Programy z zakresu kompleksowej terapii i rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, lipiec 2012.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 149/2012 z dnia 16 lipca 2012

o programie zdrowotnym „Rehabilitacja lecznicza dla osób chorych oraz kompleksowa rehabilitacja, terapia, opieka, pielęgnacja dzieci i młodzieży niepełnosprawnej mieszkającej na terenie gminy Racibórz w latach 2012-2016”

*Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Rehabilitacja lecznicza dla osób chorych oraz kompleksowa rehabilitacja, terapia, opieka, pielęgnacja dzieci i młodzieży niepełnosprawnej mieszkającej na terenie gminy Racibórz w latach 2012-2016”.*

**Uzasadnienie**

*Jest to program, który dotyczy ważnego problemu zdrowotnego. Bez względu na przyczyny i stopień niepełnosprawności, dzieci niepełnosprawne nie powinny być pozostawione bez pomocy. Jest to elementarna zasada etyczna obowiązująca w każdym bez wyjątku społeczeństwie cywilizowanym. Rada sugeruje stosowanie jedynie tych środków i metod terapeutycznych, których skuteczność, bezpieczeństwo oraz efektywność kosztową potwierdzają wiarygodne badania naukowe.*

**Przedmiot opinii**

Przedmiotem niniejszej opinii jest projekt czteroletniego programu zdrowotnego, dotyczącego rehabilitacji i terapii pięćdziesięciu siedmiu różnych problemów zdrowotnych osób dorosłych oraz niepełnosprawnych dzieci i młodzieży. Adresatami programu są dorosłe osoby chore oraz niepełnosprawne dzieci i młodzież zamieszkałe na terenie gminy Racibórz.

Głównym celem programu jest poprawa stanu zdrowia mieszkańców gminy Racibórz, głównie poprzez polepszenie jakości życia oraz przywracanie sprawności, a także ograniczanie negatywnych skutków choroby i niepełnosprawności.

Program zakłada zastosowanie trzydziestu siedmiu różnych interwencji, przy czym nie jest do końca jasne, które z nich stosowane będą wobec jakiego problemu zdrowotnego.

Całkowity koszt realizacji programu wyceniono na 3 606 408,00 zł. W projekcie przedstawiono szczegółowy i wewnętrznie spójny kosztorys.

**Problem zdrowotny**

Niepełnosprawność jest problemem ogólnoswiatowym, stanowiącym cel szczególnie promowanych działań WHO i Komisji Europejskiej. Według ostatnich szacunków, około 15% ludności świata żyje z jakąś formą niepełnosprawności, z czego 2-4% doświadcza poważnych trudności w życiu codziennym. Mając na uwadze ulegający wydłużeniu średni czas życia,



problem ten staje się niezwykle istotny, gdyż dłuższe życie nieuchronnie wiąże się z pogorszeniem sprawności zarówno fizycznej, jak i psychicznej.

### **Alternatywne świadczenia**

Osobom niepełnosprawnym przysługują świadczenia z zakresu opieki zdrowotnej (w tym rehabilitacja lecznicza) - finansowane z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia, świadczenia opieki społecznej (w tym rehabilitacja społeczna i zawodowa) finansowane ze środków wydzielonych z PFRON.

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

#### **1) Wnioski z oceny problemu zdrowotnego**

Działania podejmowane w programach wynikają z zadań jednostek samorządów terytorialnych określonych w ustawie o rehabilitacji zawodowej i społecznej oraz zatrudnianiu osób niepełnosprawnych (Dz.U. 2010 nr 214 poz. 1407 z późn. zm.) oraz ustawach odpowiednich dla danych jednostek terytorialnych.

Głównym celem podejmowanych działań jest umożliwienie osobom niepełnosprawnym pełnego uczestnictwa w życiu społecznym oraz tworzenia warunków do niezależnego, samodzielnego i aktywnego życia oraz do korzystania na zasadzie równości z ustawowych praw obywatelskich. Programy te mają również pomóc osobom niepełnosprawnym w skutecznym i efektywnym korzystaniu z wszelkiego rodzaju usług świadczonych na terenie tych jednostek samorządu terytorialnego.

Programy zdrowotne skierowane do osób niepełnosprawnych nie są programami o dobrze zdefiniowanym problemie zdrowotnym i ściśle określonych sposobach jego rozwiązania. Niepełnosprawność jest pojęciem określającym długotrwały stan, w którym występują pewne ograniczenia w prawidłowym funkcjonowaniu człowieka. Pojęcie to odnosi się do populacji zróżnicowanych pod kątem rodzaju (kategorii) niepełnosprawności, okresu życia, w którym ona wystąpiła, przyczyny, czy stopnia niepełnosprawności, a tym samym populacji o różnych wymaganiach np. terapeutycznych, edukacyjnych i społecznych.

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania znaleziono wiarygodne wytyczne kliniczne dotyczące postępowania leczniczego w przypadku dzieci ze spektrum zaburzeń autystycznych (ASD) oraz dzieci z ADHD; nie odnaleziono natomiast wiarygodnych wytycznych dotyczących interwencji stosowanych w leczeniu dzieci i młodzieży z zespołem Downa, jak również nie odnaleziono wytycznych poświęconych postępowaniu rehabilitacyjnemu w przypadku dzieci głuchych oraz niedosłyszących, niewidomych ani też w przypadku dzieci z zaburzeniami integracji sensorycznej.

Wytyczne są zgodne w kwestii, że wszystkie dzieci w wieku przedszkolnym z ASD powinny zostać poddane możliwie wczesnej interwencji, ponieważ wczesna interwencja wpływa na poprawę wyników. Istnieją przekonujące dowody na rzecz zastosowania intensywnej wczesnej interwencji behawioralnej (EIBI – *Early Intensive Behaviour Intervention*) w leczeniu dzieci z ASD w wieku przedszkolnym. Wytyczne są zgodne w kwestii rekomendowania czynnego udziału rodziców lub opiekunów dzieci w wieku przedszkolnym z ASD w programach edukacyjnych. Terapia dziecka w wieku przedszkolnym z rozpoznaniem ASD, powinna być zindywidualizowana i prowadzona na podstawie indywidualnego planu interwencji, określającego cele, typy oraz częstotliwość i intensywność działań, odpowiednich dla szczególnych potrzeb rozwojowych i edukacyjnych. Program wczesnej interwencji powinien być dostosowany do indywidualnych potrzeb dziecka i rodziny.

W literaturze dotyczącej metod rehabilitacji dzieci niepełnosprawnych wymienia się najróżniejsze środki i sposoby stymulujące rozwój i pozwalające na lepsze przystosowanie

dzieci do życia. Niektóre z tych metod są bardziej skuteczne niż inne. Są też metody, których skuteczności nie da się potwierdzić w sposób naukowy.

Ponieważ nie znaleziono żadnych wiarygodnych dowodów świadczących o skuteczności klinicznej i efektywności kosztowej korzystania ze zwierząt w celach terapeutycznych (tzw. dogoterapia i hipoterapia), nie zaleca się więc tej metody w leczeniu zaburzeń układu nerwowego i zdrowia psychicznego ani korzystania z koni, ani z psów.

Terapia integracji słuchowej (terapia dźwiękowa Samonas i programy słuchowe), masaż i inne interwencje oparte na zmysłach, obciążanie kamizelek, psychoterapia ekspresyjna nie są zalecane jako rutynowe postępowanie dla dzieci w wieku przedszkolnym z ASD z powodu niewystarczających dowodów.

Muzykoterapia nie jest zalecana jako rutynowe postępowanie dla dzieci w wieku przedszkolnym z ASD z powodu niejednoznacznych dowodów.

Ze względu na brak dowodów świadczących o skuteczności oraz potencjalne ryzyko i działania niepożądane lub nadużycia, nie jest zalecane stosowanie u dzieci z ASD: metody ułatwionej komunikacji (Facilitated Communication), tzw. terapii Holdingu (metoda wymuszonego kontaktu) i innych niepotwierdzonych naukowo metod (patterningu z maskowaniem, terapii immunoglobuliną podawaną dożylnie, terapii sekretyną).

Istnieją natomiast przekonujące dowody świadczące o skuteczności systemów AAC (Augmentative and Alternative Communication – tj. alternatywne i wspomagające metody komunikacji) w leczeniu dzieci z ASD w wieku przedszkolnym.

Odnalezione rekomendacje dotyczące terapii i rehabilitacji dzieci i młodzieży z mózgowym porażeniem dziecięcym wskazują na konieczność kompleksowej terapii i rehabilitacji obejmującej realizację programu ćwiczeń fizycznych wzmacniających mięśnie (ogólnorozwojowy trening siłowy, ukierunkowany trening siłowy) uwzględniający wiek i stan pacjenta, czas i częstotliwość terapii. Stosowanie interwencji hydroterapeutycznych może być zalecane w przypadku dzieci z porażeniem mózgowym, które wykazują deficyt wytrzymałości czy deficyt energetyczny, u których za cel terapeutyczny wyznaczono poprawę tych parametrów. Brak jest wiarygodnych rekomendacji dotyczących czasu trwania, częstotliwości, intensywności i strategii stosowanych przy interwencji hydroterapeutycznej.

Co się tyczy leczenia ADHD, zarówno amerykański National Institute of Mental Health, jak i wiele towarzystw naukowych stwierdzają, że są dwie interwencje, które mają solidne podstawy naukowe potwierdzające skuteczność krótkoterminową: behawioralna terapia psychospołeczna oraz farmakoterapia lekami psychostymulującymi. W odniesieniu do zaleceń dotyczących wczesnego wykrywania i wczesnej interwencji u dzieci z grupy ryzyka zaburzeń rozwojowych, zalecenia praktyki klinicznej podkreślają, że obserwacja rozwoju dziecka powinna być elementem każdej wizyty w ramach opieki profilaktycznej.

Mimo ograniczonych dowodów dotyczących skuteczności zastosowania wczesnej interwencji rozwojowej u niemowląt z grupy ryzyka zaburzeń rozwojowych (głównie wcześniaki), stosowanie wczesnej interwencji u dzieci z grupy ryzyka jest powszechnie zalecane i praktykowane. Autorzy przeglądu Cochrane Collaboration doszli do wniosku, że programy wczesnej interwencji dla wcześniaków wykazują pozytywny wpływ na funkcje poznawcze w krótkim i średnim okresie obserwacji. Konieczne są jednak dalsze badania, aby określić, które ze wczesnych interwencji są najbardziej skuteczne w poprawie sprawności poznawczych i motorycznych. Dodatkowo zwrócono uwagę na konieczność oceny efektywności kosztowej jak również dostępności usług, które stanowią istotne czynniki przy

rozważaniu wprowadzenia programu wczesnej interwencji rozwojowej u przedwcześnie urodzonych noworodków.

Zadania realizowane w zakresie wczesnego wspomaganie rozwoju dziecka obejmują:

- ustalenie wielospecjalistycznej diagnozy: lekarskiej, psychologicznej, logopedycznej oraz ocena sfery ruchowej dziecka (ocena stanu narządu ruchu i rozwoju ruchowego),
- opracowanie i wdrażanie szczegółowego, wielospecjalistycznego i kompleksowego programu postępowania w sferze psychicznej, ruchowej, społecznej i emocjonalnej dziecka,
- śledzenie rozwoju dziecka poprzez systematyczną weryfikację diagnozy oraz dostosowywanie programów rehabilitacyjnych i terapeutycznych do zmieniających się potrzeb rozwojowych i zdrowotnych dziecka,
- prowadzenie indywidualnych form terapii oraz edukacji dziecka,
- przygotowanie i realizowanie psychologicznych programów wsparcia rodziny dziecka niepełnosprawnego,
- przygotowanie i realizowanie programów terapeutyczno-edukacyjno-profilaktycznych dla rodzin, m.in. udzielanie rodzicom szczegółowych wskazówek oraz szkolenie w zakresie metod i technik pielęgnacji, opieki, stymulacji rozwoju i usprawniania dziecka w warunkach domowych.
- dostarczanie rodzicom informacji o uprawnieniach i możliwych formach pomocy, niezbędnych adresach itp., pomoc w skontaktowaniu się rodziców z innymi rodzicami będącymi w podobnej sytuacji i z ich organizacjami.

Wczesne rozpoznanie wad rozwojowych powinno prowadzić do odpowiednio wczesnej oceny, diagnozy i włączenia leczenia, w tym interwencji rozwojowej. Jak wykazała Europejska Agencja Rozwoju Edukacji Uczniów ze Specjalnymi Potrzebami Edukacyjnymi], dostępność, bliskość, przystępność finansowa, interdyscyplinarność oraz zróżnicowanie świadczeń to warunki konieczne. aby społeczny model Wczesnej Interwencji [Model INSITE] oraz Wczesnego Wsparcia Rozwoju Dziecka funkcjonował dobrze.

## **2) Wnioski z oceny programu gminy Racibórz**

Program dotyczy pięćdziesięciu siedmiu różnych problemów zdrowotnych, odnoszących się w różnym stopniu zarówno do osób dorosłych, jak i niepełnosprawnych dzieci i młodzieży. Problemy te można w różnym stopniu mierzyć, zapobiegać im oraz ograniczać ich skutki.

Istnieje bogata literatura dotycząca wszystkich problemów zdrowotnych wymienionych w projekcie programu i podejmowanych interwencji. Ze względu na rozległość przedstawionego do oceny tematu nie było możliwe przeprowadzenie wyszukiwania dowodów naukowych.

Nie można ocenić precyzyjnie skuteczności działań, które mają być podjęte w ramach realizacji programu. Proponowane interwencje są powszechnie stosowane i akceptowane, nie wiadomo jednak, które z nich i w jakim zakresie stosowane będą względem jakich problemów zdrowotnych.

W projekcie programu przedstawiono wiarygodny i kompletny budżet oraz dość szczegółowy kosztorys. Wątpliwości budzi jedynie dość niska zakładana stopa wzrostu kosztów w czasie.

W programie opisano sto siedem szczegółowych celów oraz sześć mierników efektywności „odpowiadających celom programu”. Wymienione mierniki funkcjonują w oderwaniu od



przeważającej większości celów szczegółowych. Z tego powodu ocena realizacji większości celów będzie niemożliwa.

W projekcie programu dość dokładnie opisano kryteria oceny kwalifikacji realizatora programu.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie

.....  
[Redacted]  
[Redacted]

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Rehabilitacja lecznicza dla osób chorych oraz kompleksowa rehabilitacja, terapia, opieka, pielęgnacja dzieci i młodzieży niepełnosprawnej mieszkającej na terenie gminy Racibórz w latach 2012-2016”, nr: AOTM-OT-441-21/2012, Warszawa, lipiec 2012 i aneksu „Programy z zakresu kompleksowej terapii i rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, lipiec 2012.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 150/2012 z dnia 16 lipca 2012  
o programie zdrowotnym „Kompleksowa rehabilitacja i terapia dzieci niepełnosprawnych z terenu gminy Gorzyce”

*Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Kompleksowa rehabilitacja i terapia dzieci niepełnosprawnych z terenu gminy Gorzyce”.*

**Uzasadnienie**

*Jest to program, który dotyczy ważnego problemu zdrowotnego. Bez względu na przyczyny i stopień niepełnosprawności, dzieci niepełnosprawne nie powinny być pozostawione bez pomocy. Jest to elementarna zasada etyczna obowiązująca w każdym bez wyjątku społeczeństwie cywilizowanym. Biorąc pod uwagę ograniczony budżet przeznaczony na realizację tego programu, Rada sugeruje stosowanie jedynie tych środków i metod terapeutycznych, których skuteczność, bezpieczeństwo oraz efektywność kosztową potwierdzają wiarygodne badania naukowe. Rada zaleca również przygotowanie szczegółowego preliminarza definiującego koszty planowanych świadczeń i interwencji.*

**Przedmiot opinii**

Przedmiotem niniejszej opinii jest projekt pięcioletniego programu zdrowotnego, dotyczącego kompleksowej rehabilitacji dzieci niepełnosprawnych zamieszkałych w gminie Gorzyce. Adresatami programu są dzieci z zaburzeniami rozwoju ośrodkowego układu nerwowego, układu ruchu, w wieku 0-7 lat (z zaburzeniami rozwojowymi i okołoporodowymi oraz spowodowanymi ciężką wysokiemu ryzyka), 3-18 lat (z dysfunkcjami ośrodkowego układu nerwowego i głęboką sprzężoną niepełnosprawnością), 7-18 lat (z dysfunkcjami narządu ruchu) oraz ich rodzice.

Głównym celem programu jest zapewnienie adresatom programu możliwości kontynuowania procesu rehabilitacji, gdy wykorzystano już gwarantowane przez Ustawę i finansowane z budżetu NFZ świadczenia zdrowotne.

Pogram zakłada szereg kompleksowych działań, w tym diagnozowanie medyczne, pedagogiczne, psychologiczne i logopedyczne, realizację świadczeń zdrowotnych zmierzających do rozwijania umiejętności wykonywania czynności życia codziennego, nauki samoobsługi, przygotowania do życia w środowisku społecznym, rozwijania umiejętności komunikowania się, rehabilitację leczniczą, prowadzenie terapii psychologicznej dzieci i rodziców, prowadzenie terapii logopedycznej, edukowanie rodziców w zakresie opieki, pielęgnacji i stymulacji rozwoju dziecka, udzielanie rodzicom porad i instruktażu i w zakresie metod i technik stosowanych w rehabilitacji dziecka, organizowanie spotkań zespołów



terapeutycznym z udziałem rodziców dzieci niepełnosprawnych, objęcie opieką i wsparciem rodziców dzieci niepełnosprawnych w ramach organizowanych form pomocowych: grupa wsparcia, spotkania integracyjno - edukacyjne i terapeutyczne oraz uczestnictwo dzieci i rodziców w różnego rodzaju imprezach sportowo - rekreacyjnych i kulturalno - oświatowych o charakterze integracyjnym.

Całkowity koszt programu oszacowano na 83 tys. zł. Nie przedstawiono szczegółowego kosztorysu ani kosztów poszczególnych świadczeń.

### **Problem zdrowotny**

Niepełnosprawność jest problemem ogólnoswiatowym, stanowiącym cel szczególnie promowanych działań WHO i Komisji Europejskiej. Według ostatnich szacunków, około 15% ludności świata żyje z jakąś formą niepełnosprawności, z czego 2-4% doświadcza poważnych trudności w życiu codziennym. Mając na uwadze ulegający wydłużeniu średni czas życia, problem ten staje się niezwykle istotny, gdyż dłuższe życie nieuchronnie wiąże się z pogorszeniem sprawności zarówno fizycznej, jak i psychicznej.

### **Alternatywne świadczenia**

Osobom niepełnosprawnym przysługują świadczenia z zakresu opieki zdrowotnej (w tym rehabilitacja lecznicza) - finansowane z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia, świadczenia opieki społecznej (w tym rehabilitacja społeczna i zawodowa) finansowane ze środków wydzielonych z PFRON.

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

#### **1) Wnioski z oceny problemu zdrowotnego**

Działania podejmowane w programach wynikają z zadań jednostek samorządów terytorialnych określonych w ustawie o rehabilitacji zawodowej i społecznej oraz zatrudnianiu osób niepełnosprawnych (Dz.U. 2010 nr 214 poz. 1407 z późn. zm.) oraz ustawach odpowiednich dla danych jednostek terytorialnych.

Głównym celem podejmowanych działań jest umożliwienie osobom niepełnosprawnym pełnego uczestnictwa w życiu społecznym oraz tworzenia warunków do niezależnego, samodzielnego i aktywnego życia oraz do korzystania na zasadzie równości z ustawowych praw obywatelskich. Programy te mają również pomóc osobom niepełnosprawnym w skutecznym i efektywnym korzystaniu z wszelkiego rodzaju usług świadczonych na terenie tych jednostek samorządu terytorialnego.

Programy zdrowotne skierowane do osób niepełnosprawnych nie są programami o dobrze zdefiniowanym problemie zdrowotnym i ściśle określonych sposobach jego rozwiązania. Niepełnosprawność jest pojęciem określającym długotrwały stan, w którym występują pewne ograniczenia w prawidłowym funkcjonowaniu człowieka. Pojęcie to odnosi się do populacji zróżnicowanych pod kątem rodzaju (kategorii) niepełnosprawności, okresu życia, w którym ona wystąpiła, przyczyny, czy stopnia niepełnosprawności, a tym samym populacji o różnych wymaganiach np. terapeutycznych, edukacyjnych i społecznych.

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania znaleziono wiarygodne wytyczne kliniczne dotyczące postępowania leczniczego w przypadku dzieci ze spektrum zaburzeń autystycznych (ASD) oraz dzieci z ADHD; nie odnaleziono natomiast wiarygodnych wytycznych dotyczących interwencji stosowanych w leczeniu dzieci i młodzieży z zespołem Downa, jak również nie odnaleziono wytycznych poświęconych postępowaniu rehabilitacyjnemu w przypadku dzieci głuchych oraz niedosłyszących, niewidomych ani też w przypadku dzieci z zaburzeniami integracji sensorycznej.

Wytyczne są zgodne w kwestii, że wszystkie dzieci w wieku przedszkolnym z ASD powinny zostać poddane możliwie wczesnej interwencji, ponieważ wczesna interwencja wpływa na poprawę wyników. Istnieją przekonujące dowody na rzecz zastosowania intensywnej wczesnej interwencji behawioralnej (EIBI – *Early Intensive Behaviour Intervention*) w leczeniu dzieci z ASD w wieku przedszkolnym. Wytyczne są zgodne w kwestii rekomendowania czynnego udziału rodziców lub opiekunów dzieci w wieku przedszkolnym z ASD w programach edukacyjnych. Terapia dziecka w wieku przedszkolnym z rozpoznaniem ASD, powinna być zindywidualizowana i prowadzona na podstawie indywidualnego planu interwencji, określającego cele, typy oraz częstotliwość i intensywność działań, odpowiednich dla szczególnych potrzeb rozwojowych i edukacyjnych. Program wczesnej interwencji powinien być dostosowany do indywidualnych potrzeb dziecka i rodziny.

W literaturze dotyczącej metod rehabilitacji dzieci niepełnosprawnych wymienia się najróżniejsze środki i sposoby stymulujące rozwój i pozwalające na lepsze przystosowanie dzieci do życia. Niektóre z tych metod są bardziej skuteczne niż inne. Są też metody, których skuteczności nie da się potwierdzić w sposób naukowy.

Ponieważ nie znaleziono żadnych wiarygodnych dowodów świadczących o skuteczności klinicznej i efektywności kosztowej korzystania ze zwierząt w celach terapeutycznych (tzw. dogoterapia i hipoterapia), nie zaleca się więc tej metody w leczeniu zaburzeń układu nerwowego i zdrowia psychicznego ani korzystania z koni, ani z psów.

Terapia integracji słuchowej (terapia dźwiękowa Samonas i programy słuchowe), masaż i inne interwencje oparte na zmysłach, obciążanie kamizelek, psychoterapia ekspresyjna nie są zalecane jako rutynowe postępowanie dla dzieci w wieku przedszkolnym z ASD z powodu niewystarczających dowodów.

Muzykoterapia nie jest zalecana jako rutynowe postępowanie dla dzieci w wieku przedszkolnym z ASD z powodu niejednoznacznych dowodów.

Ze względu na brak dowodów świadczących o skuteczności oraz potencjalne ryzyko i działania niepożądane lub nadużycia, nie jest zalecane stosowanie u dzieci z ASD: metody ułatwionej komunikacji (Facilitated Communication), tzw. terapii Holdingu (metoda wymuszonego kontaktu) i innych niepotwierdzonych naukowo metod (patterningu z maskowaniem, terapii immunoglobuliną podawaną dożylnie, terapii sekretyną).

Istnieją natomiast przekonujące dowody świadczące o skuteczności systemów AAC (Augmentative and Alternative Communication – tj. alternatywne i wspomagające metody komunikacji) w leczeniu dzieci z ASD w wieku przedszkolnym.

Odnalezione rekomendacje dotyczące terapii i rehabilitacji dzieci i młodzieży z mózgowym porażeniem dziecięcym wskazują na konieczność kompleksowej terapii i rehabilitacji obejmującej realizację programu ćwiczeń fizycznych wzmacniających mięśnie (ogólnorozwojowy trening siłowy, ukierunkowany trening siłowy) uwzględniający wiek i stan pacjenta, czas i częstotliwość terapii. Stosowanie interwencji hydroterapeutycznych może być zalecane w przypadku dzieci z porażeniem mózgowym, które wykazują deficyt wytrzymałości czy deficyt energetyczny, u których za cel terapeutyczny wyznaczono poprawę tych parametrów. Brak jest wiarygodnych rekomendacji dotyczących czasu trwania, częstotliwości, intensywności i strategii stosowanych przy interwencji hydroterapeutycznej.

Co się tyczy leczenia ADHD, zarówno amerykański National Institute of Mental Health, jak i wiele towarzystw naukowych stwierdzają, że są dwie interwencje, które mają solidne podstawy naukowe potwierdzające skuteczność krótkoterminową: behawioralna terapia psychospołeczna oraz farmakoterapia lekami psychostymulującymi. W odniesieniu do

zaleceń dotyczących wczesnego wykrywania i wczesnej interwencji u dzieci z grupy ryzyka zaburzeń rozwojowych, zalecenia praktyki klinicznej podkreślają, że obserwacja rozwoju dziecka powinna być elementem każdej wizyty w ramach opieki profilaktycznej.

Mimo ograniczonych dowodów dotyczących skuteczności zastosowania wczesnej interwencji rozwojowej u niemowląt z grupy ryzyka zaburzeń rozwojowych (głównie wcześniaki), stosowanie wczesnej interwencji u dzieci z grupy ryzyka jest powszechnie zalecane i praktykowane. Autorzy przeglądu Cochrane Collaboration doszli do wniosku, że programy wczesnej interwencji dla wcześniaków wykazują pozytywny wpływ na funkcje poznawcze w krótkim i średnim okresie obserwacji. Konieczne są jednak dalsze badania, aby określić, które ze wczesnych interwencji są najbardziej skuteczne w poprawie sprawności poznawczych i motorycznych. Dodatkowo zwrócono uwagę na konieczność oceny efektywności kosztowej jak również dostępności usług, które stanowią istotne czynniki przy rozważaniu wprowadzenia programu wczesnej interwencji rozwojowej u przedwześnie urodzonych noworodków.

Zadania realizowane w zakresie wczesnego wspomaganie rozwoju dziecka obejmują:

- ustalenie wielospecjalistycznej diagnozy: lekarskiej, psychologicznej, logopedycznej oraz ocena sfery ruchowej dziecka (ocena stanu narządu ruchu i rozwoju ruchowego),
- opracowanie i wdrażanie szczegółowego, wielospecjalistycznego i kompleksowego programu postępowania w sferze psychicznej, ruchowej, społecznej i emocjonalnej dziecka,
- śledzenie rozwoju dziecka poprzez systematyczną weryfikację diagnozy oraz dostosowywanie programów rehabilitacyjnych i terapeutycznych do zmieniających się potrzeb rozwojowych i zdrowotnych dziecka,
- prowadzenie indywidualnych form terapii oraz edukacji dziecka,
- przygotowanie i realizowanie psychologicznych programów wsparcia rodziny dziecka niepełnosprawnego,
- przygotowanie i realizowanie programów terapeutyczno-edukacyjno-profilaktycznych dla rodzin, m.in. udzielanie rodzicom szczegółowych wskazówek oraz szkolenie w zakresie metod i technik pielęgnacji, opieki, stymulacji rozwoju i usprawniania dziecka w warunkach domowych.
- dostarczanie rodzicom informacji o uprawnieniach i możliwych formach pomocy, niezbędnych adresach itp., pomoc w skontaktowaniu się rodziców z innymi rodzicami będącymi w podobnej sytuacji i z ich organizacjami.

Wczesne rozpoznanie wad rozwojowych powinno prowadzić do odpowiednio wczesnej oceny, diagnozy i włączenia leczenia, w tym interwencji rozwojowej. Jak wykazała Europejska Agencja Rozwoju Edukacji Uczniów ze Specjalnymi Potrzebami Edukacyjnymi, dostępność, bliskość, przystępność finansowa, interdyscyplinarność oraz zróżnicowanie świadczeń to warunki konieczne. aby społeczny model Wczesnej Interwencji [Model INSITE] oraz Wczesnego Wsparcia Rozwoju Dziecka funkcjonował dobrze.

## **2) Wnioski z oceny programu gminy Gorzyce**

Program dotyczy słabo zdefiniowanego i bardzo rozległego problemu zdrowotnego. Istnieje bogata literatura dotycząca samego problemu i podejmowanych w programie interwencji. Niewiele jest jednak wiarygodnych dowodów naukowych świadczących o ich skuteczności i bezpieczeństwie.

Nie można ocenić precyzyjnie skuteczności działań, które mają być podjęte w ramach realizacji programu. Choć autorzy opisali możliwe i planowane interwencje, nie wiadomo, które z nich będą stosowane i w jakim wymiarze, wobec których grup adresatów programu. O większości z planowanych interwencji można powiedzieć, że są choć bywają stosowane w rehabilitacji dzieci, niewiele z nich jednak posiada udowodnioną, mierzalną skuteczność kliniczną.

W projekcie programu przedstawiono całkowity budżet, jednak ze względu na brak szczegółowego kosztorysu czy przedstawienia kosztów jednostkowych, nie sposób ustalić, na ile on jest realny, a także jakie środki zaplanowano na finansowanie konkretnych interwencji.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie

.....  
[Redacted signature block]

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Kompleksowa rehabilitacja i terapia dzieci niepełnosprawnych z terenu gminy Gorzyce”, nr: AOTM-OT-441-30/2012, Warszawa, lipiec 2012 i aneksu „Programy z zakresu kompleksowej terapii i rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, lipiec 2012.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 151/2012 z dnia 16 lipca 2012r.

o programie zdrowotnym „Program profilaktyki chorób nowotworowych – prewencja i wczesne wykrywanie raka prostaty w ramach Gminnego Programu Zdrowotnego na lata 2012 - 2014” miasta Cieszyn.

*Rada wydaje pozytywną opinię o programie zdrowotnym „Program profilaktyki chorób nowotworowych – prewencja i wczesne wykrywanie raka prostaty w ramach Gminnego Programu Zdrowotnego na lata 2012 - 2014” miasta Cieszyn.*

**Uzasadnienie**

*Rada podkreśla, iż dostępne dane z dobrej jakości badań klinicznych są niewystarczające, aby uznać za uzasadnione prowadzenie populacyjnego skriningu w kierunku raka stercza u bezobjawowych mężczyzn. Nie ma wprawdzie dowodów skuteczności skriningu populacyjnego w kierunku raka stercza, ale w Polsce zbyt rzadko wykonuje się badanie per rectum, które powinno być standardem badania przedmiotowego mężczyzny. Z tego względu Rada Przejrzystości akceptuje program, pod następującymi warunkami wymagającymi zmian:*

- jako grupę docelową określono mężczyzn po 50 roku życia, natomiast brak zaleceń co do badań przesiewowych w kierunku raka prostaty po 75 roku życia;*
- zaplanowano uczestniczenie w programie jedynie 20% mężczyzn z populacji docelowej w przypadku części edukacyjnej i 5% jeśli chodzi o skierowanie na badanie PSA, nie precyzując kryteriów kwalifikacji;*
- nie określona jaka wartość PSA będzie wskazaniem do dalszego postępowania medycznego przez lekarza POZ;*
- brak dobrze zaplanowanej akcji edukacyjnej, informującej badanych o działaniach niepożądanych badania przesiewowego, autorzy nie wskazali dokładnie tematyki zajęć, harmonogramu spotkań ani przykładowych materiałów edukacyjnych;*
- nie odniesiono się do monitorowania skuteczności planowanych działań.*

**Przedmiot opinii**

Przedmiotem opinii jest projekt programu badań profilaktycznych, adresowany do mężczyzn po 50 r.ż. stale lub czasowo zameldowanych na terenie Gminy Cieszyn, aktualnie



nie podlegających leczeniu z powodu raka gruczołu krokowego ani nie diagnozowanych w kierunku raka prostaty w ciągu ostatnich 12 miesięcy (5900 mężczyzn). Za główny cel programu przyjęto wzrost świadomości mężczyzn znajdujących się w grupie ryzyka w kwestii problematyki związanej z zagrożeniem chorobą nowotworową stercza, jej objawami oraz możliwością wykrycia we wczesnym stadium rozwoju. Jako cele szczegółowe wskazano edukację zdrowotną mężczyzn po 50 r. ż. i wzrost świadomości zdrowotnej w tej grupie, wykrycie przypadków łagodnego rozrostu stercza, wykrycie przypadków raka stercza, wzrost świadomości personelu medycznego pierwszego kontaktu w zakresie zagrożeń związanych z rakiem stercza i możliwościami jego wczesnego wykrycia. Planowane działania obejmują przeprowadzenie ankiety wg standardu „International Prostate Symptom Score” (IPSS) oraz wręczenie ulotki informacyjnej o zagrożeniach związanych z rakiem stercza, konsultację lekarza pierwszego kontaktu lub lekarza specjalisty w sprawie podjęcia dalszych badań diagnostycznych, w uzasadnionych przypadkach oznaczenie poziomu antygenu swoistego dla prostaty (PSA) oraz kolejną konsultację lekarską.

Program ma być realizowany w okresie 2012–2014, projekt zawiera koszty orientacyjne, oszacowane na podstawie danych z lat poprzednich. Projekt ma być finansowany z budżetu Gminy Cieszyn.

### **Problem zdrowotny**

Rak gruczołu krokowego (stercza, RGK, C 61) – jest nowotworem złośliwym, wywodzącym się pierwotnie z obwodowej strefy gruczołu krokowego. Ponadto jest najczęstszym nowotworem złośliwym u mężczyzn w krajach wysokorozwiniętych.

Czynnikami ryzyka są wiek oraz obciążenie genetyczne. Ryzyko zachorowania wzrasta dwukrotnie, jeżeli w rodzinie chorował krewny 1-stopnia pokrewieństwa, oraz 5-11-krotnie, jeżeli chorowało 2 i więcej krewnych 1-stopnia pokrewieństwa. Nowotwór rzadko pojawia się przed 40 r.ż., zaś średni wiek zachorowania to 70 lat. W rozwoju nowotworu istotną rolę odgrywają androgeny. Dodatkowym czynnikiem ryzyka zachorowania może być pochodzenie etniczne.

W Polsce co roku odnotowuje się około 7 tys. nowych zachorowań. Z powodu RGK każdego roku umiera ponad 3,5 tys. mężczyzn. Pod względem zachorowalności jak i umieralności z powodu nowotworów złośliwych wśród mężczyzn, RGK zajmuje w Polsce 2. miejsce, za nowotworem złośliwym oskrzela i płuca. W 2007 r. RGK stanowił 11,8% wszystkich nowo diagnozowanych nowotworów u mężczyzn.

Chorzy z miejscowym lub regionalnym zaawansowaniem RGK zazwyczaj nie mają objawów lub mają objawy typowe dla łagodnego przerostu prostaty (częstomocz, nykturia, nagłące parcie na mocz, pieczenie w czasie mikcji, uczucie niepełnego wypróżnienia, wąski strumień moczu). W zaawansowanym stadium choroby mogą wystąpić: ból kostny (m.in. w okolicy lędźwiowego odcinka kręgosłupa), utrata masy ciała, rzadziej objawy ucisku na rdzeń kręgowy. Podczas badania per rectum możliwe jest wykrycie guza zlokalizowanego w tylnej i bocznych częściach stercza (25-30% guzów jest niewyczuwalnych palpacyjnie). Stosunkowo często raka stercza stwierdza się w badaniu histologicznym materiału sekcyjnego, co wskazuje na istnienie postaci utajonych, niepowodujących objawów klinicznych, a więc niezagrażających życiu i niewymagających leczenia.

Badania stosowane w rozpoznawaniu raka gruczołu krokowego obejmują badania laboratoryjne (stężenie PSA – swoisty antygen gruczołu krokowego, odsetek wolnego PSA), badania obrazowe (przezodbytnicza ultrasonografia, TRUS) oraz badania mikroskopowe. Rozpoznanie ustala się na podstawie badania cytologicznego lub histologicznego. Złotym standardem jest badanie histologiczne wycinków pobranych w biopsji gruboigłowej



rdzeniowej, wykonanej pod kontrolą przezodbytniczego USG. Należy pobrać nie mniej niż 6 wycinków w celu zwiększenia prawdopodobieństwa znalezienia komórek nowotworowych i ustalenia stopnia złośliwości. Rzadziej pobiera się wycinki operacyjnie.

W stadium bezobjawowym wskazaniem do badania mikroskopowego jest najczęściej stwierdzenie zwiększonego stężenia PSA w surowicy. W niektórych przypadkach nowotwór prostaty może być wykryty z wykorzystaniem badania per rectum. Jednakże przydatność tego badania jest ograniczona i zależy w dużej mierze od doświadczenia wykonującego je lekarza. Pomimo to zalecane jest regularne badanie per rectum mężczyzn po 50 r.ż. Czynniki takie jak podwyższone stężenie PSA, obciążenie rodzinne, nieprawidłowe wyniki badania per rectum wskazują na podwyższone ryzyko wykrycia raka stercza w badaniu biopsyjnym, podczas gdy uprzednio uzyskane wyniki negatywne badania biopsyjnego świadczą o zmniejszonym ryzyku wykrycia raka stercza. Metody stosowane do rozpoznawania raka gruczołu krokowego, pomimo zdolności do wykrywania wczesnych etapów choroby, nie pozwalają odróżnić nowotworu prowadzącego do zgonu od zmian stanowiących niewielkie zagrożenie dla życia. W badaniu laboratoryjnym oznacza się podwyższenie stężenia PSA oraz zwiększony odsetek wolnego PSA. W 85% przypadków RGK stężenie PSA  $\geq 4$  ng/ml oraz wolny PSA stanowi  $\geq 25\%$  całkowitego PSA. Należy zaznaczyć, że badanie to nie jest swoiste dla raka stercza.

### **Alternatywne świadczenia**

Badanie stercza per rectum jest podstawowym badaniem, które powinno być regularnie wykonywane przez urologa, ale także internistę lub lekarza rodzinnego.

Podobnie jak konsultacja urologiczna, oznaczenie stężenia PSA (całkowitego oraz wolnego) oraz ewentualne dalsze badania diagnostyczne w kierunku raka gruczołu krokowego (jak np. transrektalne USG) ograniczone są do ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Konsultacja urologiczna w ramach ubezpieczenia zdrowotnego możliwa jest wyłącznie na podstawie skierowania od lekarza POZ lub innego lekarza udzielającego świadczenia w ramach ważnej umowy z NFZ. Lekarz POZ, kierujący pacjenta do lekarza specjalisty, zobowiązany jest dołączyć do skierowania wyniki niezbędnych badań diagnostycznych umożliwiających potwierdzenie wstępnego rozpoznania.

Jeżeli pacjent objęty opieką specjalisty – w tym wypadku urologa, wymaga wykonania dodatkowych badań diagnostycznych, jak oznaczenie PSA, skierowania na te badania wystawia świadczeniodawca udzielający świadczeń ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

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

Wyniki przeglądu polskich i światowych rekomendacji dotyczących wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego można podsumować w następujących punktach:

- Wytyczne wskazują na oznaczenie PSA z lub bez badania stercza palcem przez odbytnicę jako standardową metodę diagnostyczną, stosowaną w badaniach przesiewowych w kierunku wczesnego wykrywania raka stercza. Podkreślają jednak, że żadna z dostępnych metod nie jest doskonała.
- Wszystkie odnalezione wytyczne są zgodne, że dostępne dane z będących jeszcze w toku dobrej jakości badań klinicznych są niewystarczające, aby uznać za uzasadnione prowadzenie populacyjnego skriningu w kierunku raka stercza u bezobjawowych mężczyzn.
- Większość wytycznych kładzie silny nacisk na istotność przedstawiania pacjentom rzetelnych informacji w zakresie korzyści oraz ryzyka związanego z udziałem w badaniu przesiewowym w kierunku raka stercza. Na podstawie tych informacji

oraz rozmowy z lekarzem pacjent powinien osobiście podejmować decyzję o udziale w badaniu.

- Proces podejmowania świadomej decyzji powinien składać się z następujących etapów: zrozumienia przez pacjenta podstawowych informacji na temat raka stercza oraz roli badania skriningowego, zrozumienia niepewności, ryzyka i potencjalnych korzyści związanych z poddaniem lub niepoddaniem się badaniom diagnostycznym, rozważenia własnych preferencji, ustalenia stopnia udziału w podejmowaniu decyzji (wspólnie z lekarzem) oraz podjęcia (lub odroczenia) decyzji na temat realizacji badania, na podstawie własnych preferencji i wartości.
- Wytyczne nie są do końca zgodne w kwestii wieku, kiedy powinno się zacząć oznaczać PSA. Zdecydowana większość zaleca jednak, by w przypadku bezobjawowych mężczyzn oznaczenie PSA wykonywać od 50 r.ż.; w przypadku mężczyzn z wysokim ryzykiem choroby, wytyczne zalecają lub dopuszczają rozpoczęcie badania PSA przed 50 r.ż. (najczęściej od 40 r.ż.).
- Wytyczne raczej zgodnie wskazują wiek 75 lat lub oczekiwany czas przeżycia wynoszący <10 lat jako moment, w którym powinno się zaprzestać udziału w badaniach przesiewowych w kierunku raka stercza;
- Wytyczne nie są zgodne w kwestii górnej granicy prawidłowego stężenia PSA stosowanej w badaniach przesiewowych w kierunku raka stercza; część wytycznych zaleca stosowanie określonych wartości granicznych w zależności do wieku, najczęściej jednak za górną granicę przyjmuje się stężenie PSA 4 ng/ml; podkreśla się jednak, że nie zostało dotychczas określone stężenie PSA, poniżej którego bardzo mało prawdopodobna jest obecność raka stercza, a powyżej którego prawdopodobieństwo nowotworu jest wystarczająco wysokie, aby uzasadnić dalsze inwazyjne badania diagnostyczne.

Grupa docelowa pacjentów została wybrana zgodnie ze wskazaniami wytycznych postępowania klinicznego. Mając na uwadze sugestie, że badanie stercza palcem przez odbytnicę pozwala wykryć niektóre nowotwory nie wychwycone przez oznaczenie PSA, zalecane jest uwzględnienie obu tych badań.

Ze względu na skalę problemu (wysoką chorobowość), niezadawalające wyniki leczenia raka stercza w Polsce, wynikające głównie z rozpoznawania nowotworu w późnych stadiach zaawansowania, niepozwalającego na wdrożenie skutecznej terapii leczniczej oraz ograniczony dostęp do badań przesiewowych, w opinii ekspertów prowadzenie programów profilaktyki raka gruczołu krokowego opartego na badaniu przesiewowym PSA z badaniem per rectum uznawane jest za wartościowe.

Wszelkie działania związane z promocją badań przesiewowych, ułatwieniem dostępu do nich, finansowaniem i wykonaniem, mogą zdaniem ekspertów przynieść zakładane korzyści jedynie wówczas, gdy mają charakter stały.

Poza badaniami przesiewowymi w kierunku raka stercza określonej grupy mężczyzn, wskazana jest realizacja działań edukacyjnych z wykorzystaniem mediów (prasa, internet, ulotki, plakaty). Mając na uwadze niepewność korzyści związanych ze wczesnym wykryciem i leczeniem raka stercza, ważne jest, by przekazywane informacje zawierały rzetelne dane co do spodziewanych korzyści, jak też ryzyka związanego z uczestnictwem w badaniu przesiewowym.

Mając na uwadze, że stosowane w badaniach przesiewowych oznaczenie PSA z lub bez badania per rectum nie jest wystarczające do postawienia diagnozy, konieczne jest zapewnienie wszystkim pacjentom z nieprawidłowymi wynikami jednego lub obu badań biopsji stercza pod kontrolą TRUS, potrzebnej do potwierdzenia diagnozy; optymalnie

byłoby, by biopsja wykonana była w ramach programu, w innym przypadku należy zastanowić się i wypracować sposób zapewnienia dostępu do dalszej diagnostyki w ramach świadczeń finansowanych przez NFZ wszystkim wymagającym tego pacjentom.

Dostępne obecnie metody diagnostyczne nie pozwalają na różnicowanie nowotworów stercza istotnych klinicznie i wolno rosnących, niezagrażających życiu pacjenta. Dostępne terapie w raku stercza zastosowane na odpowiednio wczesnym etapie choroby pozwalają na skuteczne wyleczenie, jakkolwiek wiążą się z działaniami niepożądanymi wpływającymi na życie codzienne pacjentów. W związku z powyższym konieczne wydaje się zapewnienie pacjentom z rozpoznaniem raka stercza (na podstawie przeprowadzonej biopsji) odpowiedniej konsultacji, mającej na celu omówienie dostępnych opcji postępowania oraz przedstawienie rzetelnych informacji dotyczących korzyści oraz ryzyka związanego z ich zastosowaniem, aby uwzględniając własne preferencje pacjent mógł w porozumieniu z lekarzem podjąć świadomą decyzję co do dalszego postępowania.

Oceniany Program odnosi się do określonego problemu zdrowotnego – wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego u mężczyzn. Głównym celem programu jest wzrost świadomości wśród mężczyzn z grupy ryzyka w kwestii problematyki związanej z zagrożeniami wystąpienia choroby nowotworowej stercza, jej objawów oraz możliwością wykrycia we wczesnym stadium rozwoju. Programem objęci mają zostać mężczyźni powyżej 50 r. ż. w liczbie ok. 5900 w pierwszym roku trwania, którzy mieszkają na terenie miasta Cieszyn. Program zaplanowano na lata 2012 – 2014. Autorzy projektu zaplanowali najpierw badanie per rectum u pacjentów, a następnie w razie stwierdzonych nieprawidłowości badanie poziomu PSA – schemat postępowania zgodny jest z wytycznymi praktyki klinicznej. W projekcie programu zawarto informacje o celach, oczekiwanych efektach oraz sposobie monitorowania i ewaluacji planowanych działań. Pacjenci w przypadku odchyłeń zdrowotnych związanych z gruczołem krokowym będą mieć zapewnioną opiekę specjalistyczną w ramach kontraktów z NFZ.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie

.....

[REDACTED]

[REDACTED]

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu nr AOTM-OT-441-200/2012, „Program profilaktyki chorób nowotworowych – prewencja i wczesne wykrywanie raka prostaty” realizowany przez: Miasto Cieszyn (ocena projektu programu), Warszawa, czerwiec 2012 i aneksu „Programy wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, czerwiec 2012.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 152/2012 z dnia 16 lipca 2012r.  
o programie zdrowotnym „Powiatowy Program Profilaktyczny  
Wczesnego Wykrywania Raka Prostaty na lata 2012-2013” powiatu  
brzeskiego

*Rada wydaje negatywną opinię o programie zdrowotnym „Powiatowy Program Profilaktyczny Wczesnego Wykrywania Raka Prostaty na lata 2012-2013” powiatu brzeskiego.*

**Uzasadnienie**

*Rada podkreśla, iż dostępne dane z dobrej jakości badań klinicznych są niewystarczające, aby uznać za uzasadnione prowadzenie populacyjnego skriningu w kierunku raka stercza u bezobjawowych mężczyzn. Rada zwraca uwagę na istotne braki które uniemożliwiają jego realizację przez jst:*

- nie podano pełnych kosztów budżetu na realizację tego programu - brak planowanych kosztów i budżetu na rok 2013;*
- zaplanowano uczestniczenie w programie jedynie 3,12% mężczyzn z populacji docelowej, nie precyzując kryteriów kwalifikacji;*
- badanie gruczołu krokowego powinno poprzedzać oznaczanie PSA, brak dobrze zaplanowanej akcji edukacyjnej, autorzy nie wskazali dokładnie tematyki zajęć, harmonogramu spotkań ani przykładowych materiałów edukacyjnych;*
- nie odniesiono się do monitorowania skuteczności planowanych działań.*

**Przedmiot opinii**

Przedmiotem opinii jest projekt programu badań skriningowych, adresowany do mężczyzn w przedziale wiekowym 50–65 lat, będących mieszkańcami powiatu brzeskiego. Za główny cel przyjęto poprawę stanu zdrowia mieszkańców poprzez zwiększenie dostępności profilaktyki chorób nowotworowych. Planowane działania obejmują przeprowadzenie ankiety IPSS, oznaczenie poziomu PSA, konsultację urologiczną w tym badanie per rectum, edukację pacjentów w zakresie objawów i profilaktyki dotyczącej raka prostaty. Program adresowany jest do 300 mężczyzn zamieszkałych w powiecie Brzesko. Program ma być realizowany w okresie 2012–2013, projekt zawiera oszacowanie budżetu na 2012 r.

**Problem zdrowotny**



Rak gruczołu krokowego (stercza, RGK, C 61) – jest nowotworem złośliwym, wywodzącym się pierwotnie z obwodowej strefy gruczołu krokowego. Ponadto jest najczęstszym nowotworem złośliwym u mężczyzn w krajach wysokorozwiniętych.

Czynnikami ryzyka są wiek oraz obciążenie genetyczne. Ryzyko zachorowania wzrasta dwukrotnie, jeżeli w rodzinie chorował krewny 1-stopnia pokrewieństwa, oraz 5-11-krotnie, jeżeli chorowało 2 i więcej krewnych 1-stopnia pokrewieństwa. Nowotwór rzadko pojawia się przed 40 r.ż., zaś średni wiek zachorowania to 70 lat. W rozwoju nowotworu istotną rolę odgrywają androgeny. Dodatkowym czynnikiem ryzyka zachorowania może być pochodzenie etniczne.

W Polsce co roku odnotowuje się około 7 tys. nowych zachorowań. Z powodu RGK każdego roku umiera ponad 3,5 tys. mężczyzn. Pod względem zachorowalności jak i umieralności z powodu nowotworów złośliwych wśród mężczyzn, RGK zajmuje w Polsce 2. miejsce, za nowotworem złośliwym oskrzela i płuca. W 2007 r. RGK stanowił 11,8% wszystkich nowo diagnozowanych nowotworów u mężczyzn.

Chorzy z miejscowym lub regionalnym zaawansowaniem RGK zazwyczaj nie mają objawów lub mają objawy typowe dla łagodnego przerostu prostaty (częstomocz, nykturia, nagłaćce parcie na mocz, pieczenie w czasie mikcji, uczucie niepełnego wypróżnienia, wąski strumień moczu). W zaawansowanym stadium choroby mogą wystąpić: ból kostny (m.in. w okolicy lędźwiowego odcinka kręgosłupa), utrata masy ciała, rzadziej objawy ucisku na rdzeń kręgowy. Podczas badania per rectum możliwe jest wykrycie guza zlokalizowanego w tylnej i bocznych częściach stercza (25-30% guzów jest niewyczuwalnych palpacyjnie). Stosunkowo często raka stercza stwierdza się w badaniu histologicznym materiału sekcyjnego, co wskazuje na istnienie postaci utajonych, niepowodujących objawów klinicznych, a więc niezagrażających życiu i niewymagających leczenia.

Badania stosowane w rozpoznawaniu raka gruczołu krokowego obejmują badania laboratoryjne (stężenie PSA – swoisty antygen gruczołu krokowego, odsetek wolnego PSA), badania obrazowe (przezodbytnicza ultrasonografia, TRUS) oraz badania mikroskopowe. Rozpoznanie ustala się na podstawie badania cytologicznego lub histologicznego. Złotym standardem jest badanie histologiczne wycinków pobranych w biopsji gruboigłowej rdzeniowej, wykonanej pod kontrolą przezodbytniczego USG. Należy pobrać nie mniej niż 6 wycinków w celu zwiększenia prawdopodobieństwa znalezienia komórek nowotworowych i ustalenia stopnia złośliwości. Rzadziej pobiera się wycinki operacyjnie.

W stadium bezobjawowym wskazaniem do badania mikroskopowego jest najczęściej stwierdzenie zwiększonego stężenia PSA w surowicy. W niektórych przypadkach nowotwór prostaty może być wykryty z wykorzystaniem badania per rectum. Jednakże przydatność tego badania jest ograniczona i zależy w dużej mierze od doświadczenia wykonującego je lekarza. Pomimo to zalecane jest regularne badanie per rectum mężczyzn po 50 r.ż. Czynniki takie jak podwyższone stężenie PSA, obciążenie rodzinne, nieprawidłowe wyniki badania per rectum wskazują na podwyższone ryzyko wykrycia raka stercza w badaniu biopsyjnym, podczas gdy uprzednio uzyskane wyniki negatywne badania biopsyjnego świadczą o zmniejszonym ryzyku wykrycia raka stercza. Metody stosowane do rozpoznawania raka gruczołu krokowego, pomimo zdolności do wykrywania wczesnych etapów choroby, nie pozwalają odróżnić nowotworu prowadzącego do zgonu od zmian stanowiących niewielkie zagrożenie dla życia. W badaniu laboratoryjnym oznacza się podwyższenie stężenia PSA oraz zwiększony odsetek wolnego PSA. W 85% przypadków RGK stężenie PSA  $\geq 4$  ng/ml oraz wolny PSA stanowi  $\geq 25\%$  całkowitego PSA. Należy zaznaczyć, że badanie to nie jest swoiste dla raka stercza.

## **Alternatywne świadczenia**

Badanie stercza per rectum jest podstawowym badaniem, które powinno być regularnie wykonywane przez urologa, ale także internistę lub lekarza rodzinnego.

Podobnie jak konsultacja urologiczna, oznaczenie stężenia PSA (całkowitego oraz wolnego) oraz ewentualne dalsze badania diagnostyczne w kierunku raka gruczołu krokowego (jak np. transrektalne USG) ograniczone są do ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Konsultacja urologiczna w ramach ubezpieczenia zdrowotnego możliwa jest wyłącznie na podstawie skierowania od lekarza POZ lub innego lekarza udzielającego świadczenia w ramach ważnej umowy z NFZ. Lekarz POZ, kierujący pacjenta do lekarza specjalisty, zobowiązany jest dołączyć do skierowania wyniki niezbędnych badań diagnostycznych umożliwiających potwierdzenie wstępnego rozpoznania.

Jeżeli pacjent objęty opieką specjalisty – w tym wypadku urologa, wymaga wykonania dodatkowych badań diagnostycznych, jak oznaczenie PSA, skierowania na te badania wystawia świadczeniodawca udzielający świadczeń ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

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

Wyniki przeglądu polskich i światowych rekomendacji dotyczących wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego można podsumować w następujących punktach:

- Wytyczne wskazują na oznaczenie PSA z lub bez badania stercza palcem przez odbytnicę jako standardową metodę diagnostyczną, stosowaną w badaniach przesiewowych w kierunku wczesnego wykrywania raka stercza. Podkreślają jednak, że żadna z dostępnych metod nie jest doskonała.
- Wszystkie odnalezione wytyczne są zgodne, że dostępne dane z będących jeszcze w toku dobrej jakości badań klinicznych są niewystarczające, aby uznać za uzasadnione prowadzenie populacyjnego skriningu w kierunku raka stercza u bezobjawowych mężczyzn.
- Większość wytycznych kładzie silny nacisk na istotność przedstawiania pacjentom rzetelnych informacji w zakresie korzyści oraz ryzyka związanego z udziałem w badaniu przesiewowym w kierunku raka stercza. Na podstawie tych informacji oraz rozmowy z lekarzem pacjent powinien osobiście podejmować decyzję o udziale w badaniu.
- Proces podejmowania świadomej decyzji powinien składać się z następujących etapów: zrozumienia przez pacjenta podstawowych informacji na temat raka stercza oraz roli badania skriningowego, zrozumienia niepewności, ryzyka i potencjalnych korzyści związanych z poddaniem lub niepoddaniem się badaniom diagnostycznym, rozważenia własnych preferencji, ustalenia stopnia udziału w podejmowaniu decyzji (wspólnie z lekarzem) oraz podjęcia (lub odroczenia) decyzji na temat realizacji badania, na podstawie własnych preferencji i wartości.
- Wytyczne nie są do końca zgodne w kwestii wieku, kiedy powinno się zacząć oznaczać PSA. Zdecydowana większość zaleca jednak, by w przypadku bezobjawowych mężczyzn oznaczenie PSA wykonywać od 50 r.ż.; w przypadku mężczyzn z wysokim ryzykiem choroby, wytyczne zalecają lub dopuszczają rozpoczęcie badania PSA przed 50 r.ż. (najczęściej od 40 r.ż.).
- Wytyczne raczej zgodnie wskazują wiek 75 lat lub oczekiwany czas przeżycia wynoszący <10 lat jako moment, w którym powinno się zaprzestać udziału w badaniach przesiewowych w kierunku raka stercza;
- Wytyczne nie są zgodne w kwestii górnej granicy prawidłowego stężenia PSA stosowanej w badaniach przesiewowych w kierunku raka stercza; część wytycznych

zaleca stosowanie określonych wartości granicznych w zależności do wieku, najczęściej jednak za górną granicę przyjmuje się stężenie PSA 4 ng/ml; podkreśla się jednak, że nie zostało dotychczas określone stężenie PSA, poniżej którego bardzo mało prawdopodobna jest obecność raka stercza, a powyżej którego prawdopodobieństwo nowotworu jest wystarczająco wysokie, aby uzasadnić dalsze inwazyjne badania diagnostyczne.

Grupa docelowa pacjentów została wybrana zgodnie ze wskazaniami wytycznych postępowania klinicznego. Mając na uwadze sugestie, że badanie stercza palcem przez odbytnicę pozwala wykryć niektóre nowotwory nie wychwycone przez oznaczenie PSA, zalecane jest uwzględnienie obu tych badań.

Ze względu na skalę problemu (wysoką chorobowość), niezadawalające wyniki leczenia raka stercza w Polsce, wynikające głównie z rozpoznawania nowotworu w późnych stadiach zaawansowania, niepozwalającego na wdrożenie skutecznej terapii leczniczej oraz ograniczony dostęp do badań przesiewowych, w opinii ekspertów prowadzenie programów profilaktyki raka gruczołu krokowego opartego na badaniu przesiewowym PSA z badaniem per rectum uznawane jest za wartościowe.

Wszelkie działania związane z promocją badań przesiewowych, ułatwieniem dostępu do nich, finansowaniem i wykonaniem, mogą zdaniem ekspertów przynieść zakładane korzyści jedynie wówczas, gdy mają charakter stały.

Poza badaniami przesiewowymi w kierunku raka stercza określonej grupy mężczyzn, wskazana jest realizacja działań edukacyjnych z wykorzystaniem mediów (prasa, internet, ulotki, plakaty). Mając na uwadze niepewność korzyści związanych ze wczesnym wykryciem i leczeniem raka stercza, ważne jest, by przekazywane informacje zawierały rzetelne dane co do spodziewanych korzyści, jak też ryzyka związanego z uczestnictwem w badaniu przesiewowym.

Mając na uwadze, że stosowane w badaniach przesiewowych oznaczenie PSA z lub bez badania per rectum nie jest wystarczające do postawienia diagnozy, konieczne jest zapewnienie wszystkim pacjentom z nieprawidłowymi wynikami jednego lub obu badań biopsji stercza pod kontrolą TRUS, potrzebnej do potwierdzenia diagnozy; optymalnie byłoby, by biopsja wykonana była w ramach programu, w innym przypadku należy zastanowić się i wypracować sposób zapewnienia dostępu do dalszej diagnostyki w ramach świadczeń finansowanych przez NFZ wszystkim wymagającym tego pacjentom.

Dostępne obecnie metody diagnostyczne nie pozwalają na różnicowanie nowotworów stercza istotnych klinicznie i wolno rosnących, niezagrażających życiu pacjenta. Dostępne terapie w raku stercza zastosowane na odpowiednio wczesnym etapie choroby pozwalają na skuteczne wyleczenie, jakkolwiek wiążą się z działaniami niepożądanymi wpływającymi na życie codzienne pacjentów. W związku z powyższym konieczne wydaje się zapewnienie pacjentom z rozpoznaniem raka stercza (na podstawie przeprowadzonej biopsji) odpowiedniej konsultacji, mającej na celu omówienie dostępnych opcji postępowania oraz przedstawienie rzetelnych informacji dotyczących korzyści oraz ryzyka związanego z ich zastosowaniem, aby uwzględniając własne preferencje pacjent mógł w porozumieniu z lekarzem podjąć świadomą decyzję co do dalszego postępowania.

Oceniany Program odnosi się do określonego problemu zdrowotnego – wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego u mężczyzn. Głównym celem programu jest poprawa stanu zdrowia mieszkańców Powiatu Brzeskiego - mężczyzn w wieku od 50 lat do 65 r. ż. poprzez zwiększenie dostępności do profilaktyki chorób nowotworowych. W 2012 roku ma to być 300 mężczyzn zamieszkałych na terenie Powiatu Brzesko. Program zaplanowano

na lata 2012 – 2013. Dobór populacji pod względem wieku zgodny jest z wytycznymi, które wskazują, że w kierunku wykrywania raka gruczołu krokowego populacyjne programy przesiewowe powinny być skierowane dla mężczyzn powyżej 50 r. ż. Autorzy projektu zaplanowali najpierw oznaczenie poziomu PSA, a następnie badanie per rectum u pacjentów. Lekarz urolog ma także poinformować pacjentów podczas konsultacji o objawach i profilaktyce dotyczącej raka prostaty.

Pacjenci w przypadku odchyień zdrowotnych (w przypadku PSA > 4 ng/ml) związanych z gruczołem krokowym będą kierowani do poradni urologicznej ramach kontraktów z NFZ.

Autorzy projektu podjęli próbę oszacowania budżetu i kosztów przeprowadzenia programu. Budżet na rok 2012 wynosić będzie 25000 zł. Podjęto także próbę oszacowania składowych kosztów przeprowadzenia całego programu w roku 2012. Brak jest informacji o planowanych kosztach i budżecie na rok 2013.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie

.....  
[Redacted]  
[Redacted]

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu nr AOTM-OT-441-134/2012, „Powiatowy Program Profilaktyczny Wczesnego Wykrywania Raka Prostaty na lata 2012 – 2013” realizowany przez: powiat Brzesko (ocena projektu programu), Warszawa, czerwiec 2012 i aneksu „Programy wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, czerwiec 2012.





Opinia Rady Przejrzystości  
nr 153/2012 z dnia 16 lipca 2012  
o projekcie programu „Program edukacji zdrowotnej  
dla dzieci w wieku przedszkolnym oraz ich rodziców  
na terenie gminy Pilchowice w latach 2012-2015”

*Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Program edukacji zdrowotnej dla dzieci w wieku przedszkolnym oraz ich rodziców na terenie gminy Pilchowice w latach 2012-2015”.*

**Uzasadnienie**

*Program odnosi się do ważnego i dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego – edukacji zdrowego żywienia, profilaktyki otyłości u dzieci i młodzieży, zapobiegania próchnicy i chorobom zakaźnym poprzez kształtowanie prawidłowych nawyków higienicznych u dzieci w wieku 3-5 lat. Objęcie programem rodziców oraz prowadzenie go przez 4 lata powinno zapewnić jego większą skuteczność.*

*Program należy uzupełnić o informacje, na jakiej podstawie będzie stwierdzana otyłość i nadwaga, podanie harmonogramu prowadzonych zajęć, czy w ramach programu przewiduje się akcję szczepień ochronnych. Wskazane byłoby podanie kosztów przeprowadzenia zajęć dla jednej grupy oraz uwzględnienie w kosztorysie wynagrodzeń dla lekarzy pediatrów i edukatorów.*

**Przedmiot opinii**

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego „Program edukacji zdrowotnej dla dzieci w wieku przedszkolnym oraz ich rodziców na terenie gminy Pilchowice w latach 2012-2015”, mający na celu propagowanie wśród dzieci przedszkolnych i ich rodziców zdrowego, aktywnego trybu życia poprzez kształtowanie prawidłowych nawyków i przyzwyczajzeń żywieniowych. Jest to program zdrowotny z zakresu wczesniej profilaktyki otyłości i chorób z niej wynikających. Populacją docelową są przedszkolaki od 3 do 5 r. ż. z terenu Gminy Pilchowice oraz ich rodzice. Roczny koszt programu oszacowano na ok. 29 880 zł (na jednego przedszkolaka ok. 83 zł). Program w całości finansowany ma być z budżetu Gminy Pilchowice.

**Problem zdrowotny**

Światowa Organizacja Zdrowia definiuje nadwagę i otyłość jako nieprawidłową lub nadmierną akumulację tłuszczu, stanowiącą zagrożenie dla zdrowia ludzkiego. Otyłość jest jedną z najważniejszych przewlekłych chorób niezakaźnych, która przybrała charakter epidemii. Nadwaga i otyłość są głównymi czynnikami ryzyka dla wieku chorób przewlekłych, a według ekspertów klinicznych, niosą za sobą szereg negatywnych konsekwencji dla funkcjonowania fizycznego, psychicznego i społecznego otyłego człowieka. Otyłość ma wpływ na samoocenę pacjenta,



niezadowolenie z kształtów i masy swojego ciała, poczucie winy i bezradności, depresji, nadużywania alkoholu, leków lub narkotyków. Złe nawyki żywieniowe nabyte w dzieciństwie utrwala się i mają wpływ na rozwój otyłości w społeczeństwie, a ta z kolei przyczynia się do problemów społecznych, np. bezrobocia.

### **Alternatywne świadczenia**

W 2007 roku na mocy art. 48 ust. 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. 2004 Nr 210, poz. 2135, z późn. zm.) przyjęto Narodowy Program Zapobiegania Nadwadze i Otyłości oraz przewlekłym chorobom niezakaźnym poprzez poprawę żywienia i aktywności fizycznej na lata 2007-2011. Program został oparty na prewencji pierwotnej. Wdrożenie programu jest następstwem przyjęcia do realizacji przez delegację rządowe uczestniczące w 57 Światowym Zgromadzeniu Zdrowia w dniu 22 maja 2004 r. „Globalnej Strategii dotyczącej Żywienia, Aktywności Fizycznej i Zdrowia”. Program uwzględnia również Stanowisko Rządu RP (sygnatura: KE nr COM (2005)637; Rada UE nr 15700/005), popierające inicjatywę Komisji Europejskiej promowania na poziomie wspólnotowym zdrowego sposobu żywienia i aktywności fizycznej zaprezentowaną w Zielonej Księdze pt.: „Promowanie zdrowego żywienia i aktywności fizycznej: europejski wymiar zapobiegania nadwadze, otyłości i chorobom przewlekłym”. Obecnie w Agencji opiniowana jest nowa wersja programu na lata 2012 – 2014, która jednak nie została jeszcze wdrożona.

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

Wnioski z przeprowadzonego przeglądu dowodów naukowych, rekomendacji klinicznych oraz opinii ekspertów, dotyczących programów edukacji w zakresie zdrowego odżywiania oraz profilaktyki i leczenia nadwagi i otyłości Agencja podsumowuje następująco:

- Programy dotyczące edukacji z zakresu zdrowego odżywiania oraz profilaktyki i leczenia nadwagi i otyłości powinny być realizowane przez jst ze względu na bliski kontakt z pacjentami oraz znajomość potrzeb społeczności lokalnej.
- Programy profilaktyki powinny obejmować zarówno populację zdrową (profilaktyka pierwotna), jak i populację cierpiącą na nadwagę i otyłość (profilaktyka wtórna).
- Edukacja jest podstawą wszelkich interwencji medycznych. Edukacją zdrowotną powinny zajmować się osoby wykwalifikowane w tym kierunku.
- Programy zdrowotne dotyczące nadwagi i otyłości powinny być prowadzone począwszy od dzieci przedszkolnych i szkolnych ze szczególnym uwzględnieniem tych grup wiekowych. Prowadzenie programów wśród młodzieży i dorosłych również jest zalecane, jednak może przynieść mniejsze korzyści z perspektywy służby zdrowia.
- Programy polegające na edukacji dzieci powinny obejmować także rodziców i opiekunów oraz całe rodziny.
- Najskuteczniejsze są programy wieloletnie oraz programy wielokomponentowe. Należy włączać w nie dietę, aktywność fizyczną oraz psychologiczne terapie behawioralno-poznawcze.
- Należy także wprowadzać zmiany środowiskowe sprzyjające utrzymaniu zdrowego stylu życia.
- Interwencje edukacyjne powinny aktywnie włączać uczestników w zajęcia.
- Badania przesiewowe w szkołach powinny odbywać się z zachowaniem prawa do intymności.
- Zalecanym wskaźnikiem nadwagi i otyłości u dzieci jest pomiar BMI skorygowany o wiek i płeć w postaci centylów. Normy w populacji polskiej to: dla nadwagi pomiędzy 90 a 97 centylem, dla otyłości powyżej 97 centyli.
- Zalecanym wskaźnikiem nadwagi i otyłości u dorosłych jest pomiar BMI, obwodu talii oraz WHR. Otyłość stwierdza się dla wartości powyżej 80 cm u kobiet i 94 cm u mężczyzn.
- W przypadku potwierdzonej nadwagi i otyłości zaleca się wykonać podstawowe badania laboratoryjne w celu wykluczenia chorób towarzyszących: nadanie ciśnienia krwi, badanie poziomu glukozy we krwi, lipidogram.

- Programy obejmujące zmianę diety u dorosłych powinny polegać na ograniczeniu kaloryczności dziennej racji żywieniowej o 500-1000 kcal/dzień. Zaleca się redukcję wagi o 5-10% w ciągu 6 miesięcy lub 0,5-1/tydz.
- Nieliczne dostępne dane na temat efektywności kosztowej wskazują na potencjalną efektywność kosztową programów profilaktyki otyłości.
- Otyłość jest jednym z podstawowych czynników etiologicznych choroby zwyrodnieniowej kolan, bioder oraz kręgosłupa. Zasadnym jest łączenie diagnostyki i terapii choroby zwyrodnieniowej stawów z profilaktyką i leczeniem otyłości.
- Odnalezione dane oraz opinie ekspertów potwierdzają bezpieczeństwo interwencji profilaktyki otyłości oraz edukacji w zakresie zdrowego żywienia.

W raporcie Agencji odnoszącym się do programu gminy Plichowice odnotowano, że program ten odnosi się do ważnego i dobrze zdefiniowanego w literaturze problemu zdrowotnego. Program ma charakter edukacyjno – informacyjny. Tematyka, jaka zostanie poruszona podczas zajęć edukacyjnych dotyczyć będzie przede wszystkim zdrowego i racjonalnego odżywiania. Autorzy projektu wskazują nawet dokładnie na zagadnienia i tematy, które będą poruszane. Program zakłada włączenie w działania rodziców. Wytyczne wskazują, że najskuteczniejsze są programy wieloletnie oraz programy wielokomponentowe. Należy włączać w nie dietę, aktywność fizyczną oraz psychologiczne terapie behawioralno-poznawcze. W przypadku opiniowanego programu będzie on trwał 4 lata, a także będzie propagował wzmożony wysiłek fizyczny wśród przedszkolaków. W treści projektu odnaleźć można informacje o roli psychologa w działaniach profilaktycznych przeciwko nadwadze i otyłości, jednak w żadnym miejscu nie są opisane działania i interwencje, jakie psycholog będzie podejmował. Zapisy odnośnie terapii psychologicznych nie są do końca jasne i sprecyzowane. W programie nie opisano systemu monitorowania jego realizacji. Określony został budżet, który oszacowano na 29 880 zł. Podano także koszt jednostkowy w przeliczeniu na jedno biorące udział w programie dziecko. Na podstawie informacji zawartych w nadesłanym projekcie nie wiadomo jednak, na jakiej podstawie oszacowano ten koszt. W budżecie nie sprecyzowano informacji na temat kosztów poprowadzenia przez edukatorów zajęć, ani materiałów niezbędnych do realizacji zadania.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie

.....  
[Redacted signature]

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Program edukacji zdrowotnej dla dzieci w wieku przedszkolnym oraz ich rodziców na terenie gminy Pilchowice w latach 2012-2015” realizowanym przez gminę Pilchowice, nr: AOTM-OT-441-22/2012, Warszawa, czerwiec 2012 i aneksu „Edukacja w zakresie zdrowego odżywiania oraz profilaktyka i leczenie nadwagi i otyłości – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, czerwiec 2012.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 154/2012 z dnia 16 lipca 2012  
o projekcie programu „Edukacja prozdrowotna – Dbam o zdrowie” w  
ramach Powiatowego Programu Promocji Zdrowia na rok 2012  
realizowanego przez powiat Legionowo

*Rada wydaje negatywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Edukacja prozdrowotna – Dbam o zdrowie” powiatu Legionowo.*

**Uzasadnienie**

*Projekt nie zawiera wielu kluczowych informacji, w tym nie określono budżetu, nie opisano prawidłowo problemu zdrowotnego, nie podano danych na temat epidemiologii, nie sprecyzowano rodzaju planowanych interwencji np. liczby warsztatów czy spotkań edukacyjnych, nie określono efektów, ani mierników efektywności, nie podano informacji na temat monitorowania i ewaluacji.*

**Przedmiot opinii**

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego „Edukacja prozdrowotna – Dbam o zdrowie”, mający na celu propagowanie wśród dzieci odpowiedzialności za własne zdrowie oraz wiedzy na temat higieny jamy ustnej i całego ciała. W ramach programu organizowane mają być warsztaty edukacyjne w zakresie zdrowego i higienicznego trybu życia. Zajęcia obejmować będą tematykę zdrowego odżywiania się, rozróżniania zdrowych i niezdrowych produktów, sposobu dbania o higienę jamy ustnej, w tym naukę prawidłowej techniki mycia zębów i ogólnej higieny. Populacją docelową są przedszkolaki z najmłodszych grup z terenu powiatu legionowskiego. Nie podano żadnych informacji na temat środków finansowych przeznaczonych na program.

**Problem zdrowotny**

Problem zdrowotny nie został dokładnie sprecyzowany przez autorów projektu, jednak z treści programu wynika, że główny nacisk położony będzie na edukację w kierunku zdrowego i racjonalnego odżywiania.

Światowa Organizacja Zdrowia definiuje nadwagę i otyłość jako nieprawidłową lub nadmierną akumulację tłuszczu, stanowiącą zagrożenie dla zdrowia ludzkiego. Otyłość jest jedną z najważniejszych przewlekłych chorób niezakaźnych, która przybrała charakter epidemii. Nadwaga i otyłość są głównymi czynnikami ryzyka dla wieku chorób przewlekłych, a według ekspertów klinicznych, niosą za sobą szereg negatywnych konsekwencji dla funkcjonowania fizycznego, psychicznego i społecznego otyłego człowieka. Otyłość ma wpływ na samoocenę pacjenta, niezadowolenie z kształtów i masy swojego ciała, poczucie winy i bezradności, depresji, nadużywania alkoholu, leków lub narkotyków. Złe nawyki żywieniowe nabyte w dzieciństwie utrwala się i mają wpływ na rozwój otyłości w społeczeństwie, a ta z kolei przyczynia się do problemów społecznych, np. bezrobocia.

**Alternatywne świadczenia**

Nie dotyczy.



## Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

Wnioski z przeprowadzonego przeglądu dowodów naukowych, rekomendacji klinicznych oraz opinii ekspertów, dotyczących programów edukacji w zakresie zdrowego odżywiania oraz profilaktyki i leczenia nadwagi i otyłości Agencja podsumowuje następująco:

- Programy dotyczące edukacji z zakresu zdrowego odżywiania oraz profilaktyki i leczenia nadwagi i otyłości powinny być realizowane przez jst ze względu na bliski kontakt z pacjentami oraz znajomość potrzeb społeczności lokalnej.
- Programy profilaktyki powinny obejmować zarówno populację zdrową (profilaktyka pierwotna), jak i populacje cierpiące na nadwagę i otyłość (profilaktyka wtórna).
- Edukacja jest podstawą wszelkich interwencji medycznych. Edukacją zdrowotną powinny zajmować się osoby wykwalifikowane w tym kierunku.
- Programy zdrowotne dotyczące nadwagi i otyłości powinny być prowadzone począwszy od dzieci przedszkolnych i szkolnych ze szczególnym uwzględnieniem tych grup wiekowych. Prowadzenie programów wśród młodzieży i dorosłych również jest zalecane, jednak może przynieść mniejsze korzyści z perspektywy służby zdrowia.
- Programy polegające na edukacji dzieci powinny obejmować także rodziców i opiekunów oraz całe rodziny.
- Najskuteczniejsze są programy wieloletnie oraz programy wielokomponentowe. Należy włączać w nie dietę, aktywność fizyczną oraz psychologiczne terapie behawioralno-poznawcze.
- Należy także wprowadzać zmiany środowiskowe sprzyjające utrzymaniu zdrowego stylu życia.
- Interwencje edukacyjne powinny aktywnie włączać uczestników w zajęcia.
- Badania przesiewowe w szkołach powinny odbywać się z zachowaniem prawa do intymności.
- Zalecanym wskaźnikiem nadwagi i otyłości u dzieci jest pomiar BMI skorygowany o wiek i płeć w postaci centyli. Normy w populacji polskiej to: dla nadwagi pomiędzy 90 a 97 centylem, dla otyłości powyżej 97 centyli.
- Zalecanym wskaźnikiem nadwagi i otyłości u dorosłych jest pomiar BMI, obwodu talii oraz WHR. Otyłość stwierdza się dla wartości powyżej 80 cm u kobiet i 94 cm u mężczyzn.
- W przypadku potwierdzonej nadwagi i otyłości zaleca się wykonać podstawowe badania laboratoryjne w celu wykluczenia chorób towarzyszących: nadanie ciśnienia krwi, badanie poziomu glukozy we krwi, lipidogram.
- Programy obejmujące zmianę diety u dorosłych powinny polegać na ograniczeniu kaloryczności dziennej racji żywieniowej o 500-1000 kcal/dzień. Zaleca się redukcję wagi o 5-10% w ciągu 6 miesięcy lub 0,5-1/tydz.
- Nieliczne dostępne dane na temat efektywności kosztowej wskazują na potencjalną efektywność kosztową programów profilaktyki otyłości.
- Otyłość jest jednym z podstawowych czynników etiologicznych choroby zwyrodnieniowej kolan, bioder oraz kręgosłupa. Zasadnym jest łączenie diagnostyki i terapii choroby zwyrodnieniowej stawów z profilaktyką i leczeniem otyłości.
- Odnalezione dane oraz opinie ekspertów potwierdzają bezpieczeństwo interwencji profilaktyki otyłości oraz edukacji w zakresie zdrowego żywienia.

W raporcie Agencji odnoszącym się do programu powiatu Legionowo odnotowano, że projekt nie zawiera wielu kluczowych informacji, m.in.:

- nie wskazano autora projektu,
- nie opisano w sposób precyzyjny problemu zdrowotnego i w związku z tym nie wiadomo, jaki problem zdrowotny jest poruszany,
- nie zawarto informacji na temat epidemiologii,
- nie określono budżetu ani żadnych kosztów jednostkowych,
- nie sprecyzowano dokładnie, jakie interwencje będą zastosowane – z treści programu wynika, że będą to warsztaty edukacyjne w zakresie zdrowego i higienicznego życia,

- nie wskazano dokładnej liczby warsztatów ani spotkań edukacyjnych, nie wiadomo, jakie kompetencje powinien posiadać edukator,
- nie określono oczekiwanych efektów ani mierników efektywności,
- nie opisano organizacji programu,
- brak jest części poświęconej monitorowaniu i ewaluacji.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie

.....  
[Redacted]  
[Redacted]

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Edukacja prozdrowotna - Dbam o zdrowie” w ramach Powiatowego Programu Promocji Zdrowia na rok 2012 realizowanym przez powiat Legionwo, nr: AOTM-OT-441-71/2012, Warszawa, czerwiec 2012 i aneksu „Edukacja w zakresie zdrowego odżywiania oraz profilaktyka i leczenie nadwagi i otyłości – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, czerwiec 2012.



Uchwała Rady Przejrzystości nr 195  
z dnia 16 lipca 2012 ws. uzasadnienia  
opinii nr 1/2012 z dnia 13 lutego 2012 r.  
w sprawie utworzenia odrębnych grup limitowych  
dla donosowych postaci farmaceutycznych desmopresyny oraz  
doustnych postaci farmaceutycznych desmopresyny

*Rada Przejrzystości uzupełnia opinię nr 1/2012 z dnia 13 lutego 2012 r. w sprawie utworzenia odrębnych grup limitowych dla donosowych postaci farmaceutycznych desmopresyny oraz doustnych postaci farmaceutycznych desmopresyny poniższym uzasadnieniem.*

**Uzasadnienie**

*Wspólna grupa limitowa dla postaci donosowej i doustnej, z postacią donosową stanowiącą podstawę do wyznaczania limitu finansowania, spowodowała wzrost odpłatności pacjenta dla postaci doustnej. Dawka desmopresyny stosowana u dzieci z moczówką prostą ośrodkową to 5-10 mcg od 1 do 2 razy na dobę. Aerosol występuje w jednorazowej dawce 10 mcg, co niesie ryzyko przewodnienia i innych poważnych powikłań. Zmiana stosowanej terapii z postaci donosowej na aerosol spowoduje konieczność ustalenia właściwej dawki dobowej, co pogarsza jakość życia pacjentów, natomiast w przypadku chorych z nawracającymi nieżytami błony śluzowej czy nieżytami alergicznymi, skuteczność leku jest znacznie mniejsza, co wyklucza jego stosowanie. Ponadto aerosol do nosa powinien być stosowany tylko wówczas, gdy nie jest możliwe stosowanie doustnych postaci farmaceutycznych.*

*Utworzenie odrębnych grup limitowych dla donosowych oraz doustnych postaci farmaceutycznych desmopresyny spowoduje, że podjęzykowe postacie farmaceutyczne desmopresyny nie będą miały wspólnego limitu z postaciami stosowanymi do nosa. Opłata ryczałtowa bez dopłat pacjenta dla postaci doustnej umożliwi dalsze stosowanie terapii z zastosowaniem podjęzykowych postaci desmopresyny, która daje możliwość precyzyjnego dobrania dawki.*



## Przedmiot opinii

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczyło przygotowania opinii Rady Przejrzystości odnośnie utworzenia odrębnych grup limitowych dla: donosowych postaci farmaceutycznych desmopresyny oraz doustnych postaci farmaceutycznych desmopresyny.

Podmiot odpowiedzialny wnioskuje o utworzenie odrębnych grup limitowych i zastąpienie obecnego zapisu „Hormony przysadki i podwzgórza” określeniem „Hormony przysadki i podwzgórza – donosowe postacie farmaceutyczne”. Argumentem przemawiającym za takim rozwiązaniem jest fakt, że u dzieci lek podawany jest w dawce 5-10 mcg 1-2 razy na dobę, a aerozol występuje w jednorazowej dawce 10 mcg. Zatem dzieci obecnie leczone Minirin Melt, wymagające mniejszych dawek desmopresyny, zostaną pozbawione możliwości skutecznego leczenia. Stosowanie u nich dawki 10 mcg niesie ryzyko przewodnienia i idących za tym poważnych powikłań. Dodatkowo podkreślono, że większość pacjentów cierpiących z powodu moczówki prostej ośrodkowej (przysadkowej) przyjmuje podjęzykowo postacie desmopresyny – Minirin Melt 0,06 mg i Minirin Melt 0,12 mg. Ta postać leku nie wymaga popijania i polykania oraz umożliwia precyzyjne dobranie dawki, tak istotne dla pacjentów z tym schorzeniem. Zwiększenie dopłaty do postaci doustnych może oznaczać dla wielu pacjentów konieczność zmiany terapii Minirin Melt na Minirin (aerozol), co pogorszyłoby ich jakość życia. Minirin (aerozol) jako postać podawana donosowo jest nieakceptowany przez wielu pacjentów, a w przypadku chorych z nawracającymi nieżytami błony śluzowej czy nieżytami alergicznymi, skuteczność leku jest znacznie mniejsza, co wyklucza jego stosowanie.

## Opis technologii ujętych w proponowanej grupie limitowej

Desmopresyna to strukturalny analog naturalnego hormonu antydiuretycznego wydzielanego przez tylny płat przysadki mózgowej - argininowazopresyny. Zmiany w budowie chemicznej cząsteczki desmopresyny w porównaniu do argininowazopresyny polegają na dezaminacji cysteiny oraz zastąpieniu L-argininy D-argininą. Wynikiem tego jest wydłużenie działania przeciwdiuretycznego i całkowity brak działania skurczowego w stosowanych klinicznie dawkach.

Minirin (aerozol do nosa) stosowany jest zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego we wskazaniach: moczówka prosta ośrodkowa; badanie zdolności zagęszczania moczu przez nerki. W ChPL zamieszczono specjalne ostrzeżenie, że lek powinien być stosowany tylko wówczas, gdy nie jest możliwe stosowanie doustnych postaci farmaceutycznych.

Minirin w postaci liofilizatu doustnego (0,06 mg i 0,12 mg) stosowany jest we wskazaniach: moczówka prosta ośrodkowa; pierwotne izolowane moczenie nocne u pacjentów powyżej 6 lat z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu; nokturia u dorosłych związana z nocnym wielomoczem (objętość moczu produkowanego w nocy przekracza pojemność pęcherza moczowego).

Obecnie poziom finansowania przedmiotowych leków regulowany jest przez Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 29 grudnia 2011 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1. stycznia 2012 r. Zgodnie z przytoczonym dokumentem, istnieje aktualnie jedna grupa limitowa (78.0, Hormony przysadki i podwzgórza - desmopressyna), w której znajdują się trzy leki: Minirin (0,01 mg/5 ml, aerozol do nosa), Minirin Melt (0,06 mg, 30 tabl., liofilizat ustny), Minirin Melt (0,12 mg, 30 tabl., liofilizat ustny) finansowane we wskazaniu: moczówka prosta przysadkowa. Lek w postaci aerozolu do nosa stanowi podstawę limitu w tej grupie, w związku z najniższą ceną hurtową za DDD (7,11 zł) oraz obrotem ilościowym znacznie przekraczającym 15%. Ceny hurtowe za DDD dla leków w postaci doustnej są wyższe i wynoszą odpowiednio: 20,78 zł i 20,62 zł. Leki zostały zakwalifikowane do odpłatności ryczałtowej. Z powodu znacznie niższej ceny hurtowej za DDD podstawy limitu, limit finansowania dla leków doustnych jest niski, co w praktyce oznacza, że pacjent musi dopłacić do opakowania Minirin Melt 0,06 mg 47,38 zł, a do Minirin Melt 0,12 mg 84,33 zł. Może to spowodować, że Minirin (aerozol do nosa) będzie lekiem stosowanym w pierwszej kolejności przez pacjentów z moczówką prostą, co



nie jest zgodne z zapisem charakterystyki tego produktu. Dodatkowo, biorąc pod uwagę zapisy Charakterystyki Produktu Leczniczego Minirin (aerozol do nosa) o sposobie dawkowania tego preparatu u dzieci, może to prowadzić do ograniczenia możliwości leczenia dzieci z moczówką prostą.

Przed wejściem w życie aktualnie obowiązującego obwieszczenia, każdy z leków dostępny był dla pacjenta w cenie 3,2 zł. W przypadku utworzenia odrębnych grup limitowych dla preparatu Minirin (postać aerozol do nosa) i Minirin Melt (postać doustna), odpłatność pacjenta za preparaty Minirin Melt 0,12 mg i Minirin Melt 0,06 mg spadnie i wyniesie odpowiednio 3,2 zł i 8,47 zł.

### **Skuteczność kliniczna**

Z uwagi na krótki termin wydania opinii Agencja nie dokonała oceny skuteczności klinicznej, zasięgnięto natomiast opinii ekspertów klinicznych w sprawie zasadności wprowadzenia proponowanego rozwiązania.

Zdaniem eksperta nie jest uzasadnione zróżnicowanie cenowe preparatów donosowych i doustnych we wskazaniu: moczówka prosta przysadkowa. W moczówce prostej przysadkowej u dzieci stosuje się preparaty doustne w dawce ustalonej indywidualnie – do uzyskania pozytywnej odpowiedzi organizmu. Te preparaty powinny być z minimalną dopłatą świadczeniobiorcy. Istotnie, preparat donosowy jest stosowany w moczówce prostej przysadkowej bardzo rzadko. Przewaga preparatu donosowego jest jedynie we wskazaniu: moczenie nocne.

### **Tryb przygotowania opinii**

W piśmie zlecającym wydanie opinii (MZ-PLA-460-12525-40/KKU/12 z 12 stycznia 2012 r.) Minister Zdrowia powołuje się na art. 15 ust. 3 pkt. 1 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych z dnia 12 maja 2011 r. (Dz.U. Nr 122 poz. 696).

Niniejsza opinia wydana została przez Radę Przejrzystości na podstawie art. 31 s ust. 6 pkt. 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych z dnia 27 sierpnia 2004 r. (Dz.U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.) w oparciu o zestawienie informacji „Przygotowanie opinii Rady Konsultacyjnej odnośnie utworzenia odrębnych grup limitowych dla:

- donosowych postaci farmaceutycznych desmopresyny;
- doustnych postaci farmaceutycznych desmopresyny” nr AOTM-OT-434-2/2012”.

.....

.....

.....

### **Tryb wydania opinii**

Uzasadnienie dodano na prośbę Ministra Zdrowia z dnia 23.05.2012 r., w trybie uzgodnionym z Ministerstwem Zdrowia.



Uchwała Rady Przejrzystości nr 196  
z dnia 16 lipca 2012 ws. uzasadnienia  
opinii nr 3/2012 z dnia 15 lutego 2012  
o utworzeniu odrębnej grupy limitowej dla Flixotide (fluticasonum)  
we wskazaniu refundacyjnym: astma u dzieci w wieku od 1 do 4 roku  
życia

*Rada Przejrzystości uzupełnia opinię nr 3/2012 z dnia 15 lutego 2012 r. w sprawie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla Flixotide (fluticasonum) we wskazaniu refundacyjnym: astma u dzieci w wieku od 1 do 4 roku życia poniższym uzasadnieniem.*

**Uzasadnienie**

*Z powodu zawężenia wskazania refundacyjnego wyłącznie do grupy dzieci w wieku od 1 do 4 roku życia, Rada nie rekomenduje utworzenia odrębnej grupy limitowej dla Flixotide (fluticasonum). Konsekwencją bowiem ujęcia tych leków wyłącznie w nowej grupie limitowej będzie brak możliwości finansowania tych leków u dzieci powyżej 4 roku życia i osób dorosłych.*

**Przedmiot zlecenia**

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia było wydanie opinii Rady Przejrzystości w sprawie zasadności utworzenia odrębnej, wspólnej grupy limitowej dla produktów leczniczych, zawierających substancję czynną fluticasonum, zarejestrowanych dla dzieci od 1 roku życia: Flixotide, 125 µg/dawkę inhalacyjną, 60 dawek; Flixotide, 125 µg/dawkę inhalacyjną, 120 dawek; Flixotide, 50 µg/dawkę inhalacyjną, 120 dawek, we wskazaniu refundacyjnym: astma u dzieci w wieku od 1 do 4 roku życia (odpłatność ryczałtowa).

**Opis technologii ujętych w proponowanej grupie limitowej**

Rozpatrywane produkty lecznicze zawierają substancję czynną *Fluticasoni propionas* (propionian flutykazonu mikronizowany) i są dostępne w postaci farmaceutycznej aerozolu inhalacyjnego, zawiesina. Zarejestrowane wskazania do stosowania są takie same dla każdego z rozpatrywanych produktów – produkty te są wskazane do stosowania zapobiegawczo w astmie oskrzelowej, u dorosłych (astma łagodna - u pacjentów, którzy wymagają codziennego objawowego leczenia lekami rozszerzającymi oskrzela; astma umiarkowana – niestabilna lub nasilająca się astma, mimo regularnego stosowania leków zapobiegających napadom astmy lub tylko rozszerzających oskrzela; astma ciężka – u pacjentów z ciężką postacią przewlekłej astmy oskrzelowej oraz wymagających stosowania doustnych steroidów w celu opanowania objawów astmy) oraz u dzieci wymagających zapobiegawczego podawania leków, włącznie z pacjentami nieskutecznie leczonymi innymi dostępnymi lekami zapobiegawczo.

Obecnie produkty lecznicze stanowiące przedmiot zlecenia, wchodzi w skład grupy limitowej „200.1, Wziewne kortykosteroidy - produkty jednoskładnikowe - proszki i aerozole”, obejmującej 33 produkty lecznicze, zawierające pięć różnych substancji czynnych (beklometazon – 4 produkty,



budezonid – 13 produktów, cyklezonid – 4 produkty, flutykazon – 11 produktów, mometazon – 1 produkt), różniących się postacią i zarejestrowanymi wskazaniami do stosowania.

Proponowane z zleceniu wskazanie refundacyjne jest zawężone, w stosunku do wskazań rejestracyjnych wymienionych produktów leczniczych - nie obejmuje podawania u dorosłych i dzieci powyżej 4 lat. Aktualny sposób finansowania nie nakłada takiego ograniczenia. W zleceniu Ministra Zdrowia nie określono, czy włączenie wymienionych leków do nowej grupy limitowej spowoduje ich usunięcie z obecnej grupy limitowej.

### **Skuteczność kliniczna**

Z uwagi na krótki termin wydania opinii informacje dotyczące skuteczności klinicznej rozpatrywanych produktów leczniczych pozyskano od ekspertów klinicznych.

Na podstawie uzyskanych opinii można stwierdzić, że produkty lecznicze, które wg propozycji MZ miałyby zostać ujęte we wspólnej grupie limitowej mają porównywalną skuteczność i bezpieczeństwo we wskazaniu: astma u dzieci w wieku od 1 do 4 rż., pod warunkiem prawidłowej techniki podawania i dostosowania dawki leku do stopnia nasilenia objawów astmy.

Natomiast grupa limitowa, w której obecnie finansowane są analizowane produkty lecznicze (200.1), obejmuje leki o podobnym mechanizmie działania, natomiast różniące się formulacją farmaceutyczną preparatu i rodzajem inhalatora oraz charakterystyką produkowanego aerozolu, która wpływa na skuteczność i bezpieczeństwo leczenia.

### **Konsekwencje finansowe**

W przypadku utworzenia odrębnej, wspólnej grupy limitowej dla preparatów leczniczych FLIXOTIDE w aerozolu inhalacyjnym w opakowaniach 50 µg i 125 µg przynajmniej jeden z leków byłby dostępny dla pacjenta za dopłatą 3,20 zł. Dopłata do pozostałych leków w tej grupie będzie uzależniona od tego, który z leków w grupie będzie wyznaczał podstawę limitu, w związku z czym możliwe są trzy różne warianty rozwoju sytuacji w grupie limitowej. Zmniejszenie odpłatności pacjenta wiąże się ze wzrostem kosztów refundacji NFZ od 22,73 zł do 59,43 zł za opakowanie (w zależności od opakowania i podstawy limitu w nowej grupie). Jednocześnie utworzenie nowej grupy limitowej w porównaniu z sytuacją sprzed ogłoszenia aktualnego wykazu leków refundowanych zmniejszy koszty refundacji NFZ o od 20,76 zł do 8,40 zł na opakowanie (w zależności od opakowania i podstawy limitu w nowej grupie).

Analizując konsekwencje proponowanego rozwiązania należy jednak mieć na uwadze, że proponowane wskazanie refundacyjne jest zawężone, w stosunku do wskazań rejestracyjnych wymienionych produktów leczniczych – nie obejmuje podawania u dorosłych i dzieci powyżej 4 lat. Konsekwencją ujęcia tych leków wyłącznie w nowej, proponowanej grupie limitowej byłby zatem brak możliwości finansowania tych leków u dorosłych i dzieci powyżej 4 rż.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty Rada Przejrzystości wydała opinie jak na wstępie.

.....  
[Redacted signature area]

### **Tryb wydania opinii**

Uzasadnienie dodano na prośbę Ministra Zdrowia z dnia 23.05.2012 r., w trybie uzgodnionym z Ministerstwem Zdrowia.



Uchwała Rady Przejrzystości nr 197  
z dnia 16 lipca 2012 ws. uzasadnienia  
opinii nr 4/2012 z dnia 15 lutego 2012  
w sprawie objęcia refundacją leków onkologicznych i pediatrycznych,  
określonych w załącznikach do pisma, w zakresie wskazań do  
stosowania/dawkowania/sposobu podawania odmiennych niż  
określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

*Rada Przejrzystości uzupełnia opinię nr 4/2012 z dnia 15 lutego 2012 r. w sprawie objęcia refundacją leków onkologicznych i pediatrycznych, określonych w załącznikach do pisma, w zakresie wskazań do stosowania/dawkowania/sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego poniższym uzasadnieniem.*

**Uzasadnienie**

*Wymieniono najważniejsze leki do stosowania w pediatrii i onkologii, które są stosowane zgodnie z aktualnymi dowodami naukowymi oraz wytycznymi międzynarodowych medycznych organizacji i towarzystw naukowych. Wprowadzenie tych leków na listę refundowanych uzupełnia istotną lukę w terapii dzieci i chorych onkologicznych, stosownie do międzynarodowych standardów postępowania.*

**Tryb wydania opinii**

Uzasadnienie dodano na prośbę Ministra Zdrowia z dnia 23.05.2012 r., w trybie uzgodnionym z Ministerstwem Zdrowia.





Uchwała Rady Przejrzystości nr 198  
z dnia 16 lipca 2012 ws. uzasadnienia  
opinii nr 5/2012 z dnia 15 lutego 2012  
w sprawie objęcia refundacją heparyn drobnocząsteczkowych,  
we wskazaniu „zespół antyfosfolipidowy w ciąży, zespół  
antyfosfolipidowy u kobiet leczonych z powodu niepłodności,  
zaburzenia krążenia w tętnicach macicznych u kobiet w ciąży,  
opóźnienie wzrostu wewnątrzmacicznego płodu, w leczeniu  
poronień nawykowych”, w zakresie wskazań do  
stosowania/dawkowania/sposobu podawania odmiennych niż  
określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

*Rada Przejrzystości uzupełnia opinię nr 5/2012 z dnia 15 lutego 2012 r. w sprawie objęcia refundacją heparyn drobnocząsteczkowych, we wskazaniu „zespół antyfosfolipidowy w ciąży, zespół antyfosfolipidowy u kobiet leczonych z powodu niepłodności, zaburzenia krążenia w tętnicach macicznych u kobiet w ciąży, opóźnienie wzrostu wewnątrzmacicznego płodu, w leczeniu poronień nawykowych”, w zakresie wskazań do stosowania/dawkowania/sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego poniższym uzasadnieniem.*

**Uzasadnienie**

*Skuteczność leczenia heparynami drobnocząsteczkowymi jedynie w przypadkach stwierdzonej obecności przeciwciał antykardiolipidowych (zespół antyfosfolipidowy) jest dowiedziona.*



**Przedmiot zlecenia**

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia było przygotowanie przez Radę Przejrzystości opinii w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją heparyn drobnocząsteczkowych, we wskazaniu „zespół antyfosfolipidowy w ciąży, zespół antyfosfolipidowy u kobiet leczonych z powodu niepłodności, zaburzenia krążenia w tętnicach macicznych u kobiet w ciąży, opóźnienie wzrostu wewnątrzmacicznego płodu, w leczeniu poronień nawykowych” (wskazanie pozarejestacyjne), dla których wydano decyzje o objęciu refundacją, o której mowa w ustawie o refundacji.

.....

A large black rectangular redaction box covers the signature area, with dotted lines above and below it.

**Tryb wydania opinii**

Uzasadnienie dodano na prośbę Ministra Zdrowia z dnia 23.05.2012 r., w trybie uzgodnionym z Ministerstwem Zdrowia.



Uchwała Rady Przejrzystości nr 199  
z dnia 16 lipca 2012 ws. uzasadnienia  
opinii nr 6/2012 z dnia 15 lutego 2012  
w sprawie objęcia refundacją leków stosowanych w chorobach  
z autoagresji, zawierających substancje czynne: metotreksat,  
chlorochina, sulfasalazyna, cyklosporyna A,  
w zakresie wskazań do stosowania/dawkowania/sposobu podawania  
odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

*Rada Przejrzystości uzupełnia opinię nr 6/2012 z dnia 15 lutego 2012 r. w sprawie objęcia refundacją leków stosowanych w chorobach z autoagresji, zawierających substancje czynne: metotreksat, chlorochina, sulfasalazyna, cyklosporyna A, w zakresie wskazań do stosowania/dawkowania/sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego poniższym uzasadnieniem.*

**Uzasadnienie**

*Leki zawierające substancje czynne metotreksat, chlorochina, sulfasalazyna, cyklosporyna A zgodnie z opiniami krajowych ekspertów z dziedziny hematologii, dermatologii, gastroenterologii, immunologii klinicznej, reumatologii, neurologii oraz według informacji zaczerpniętych z piśmiennictwa znajdują zastosowanie w leczeniu szeregu chorób z autoagresji. Z tego powodu winny być objęte refundacją w zakresie wskazań do stosowania, sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego. Warunkiem jest jednak stosowanie ich w poszczególnych chorobach z autoagresji w oparciu o aktualne dowody naukowe oraz wytyczne międzynarodowych organizacji medycznych i towarzystw naukowych.*



**Przedmiot zlecenia**

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia było wydanie opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków stosowanych w chorobach z autoagresji zawierających substancje czynne: metotreksat, chlorochina, sulfalazyna, cyklosporyna A oraz cyklofosfamid, dla których wydano decyzje o objęciu refundacją, o której mowa w ustawie o refundacji.

W związku ze stwierdzonym przez Agencję faktem, że wobec cyklofosfamidu nie wydano decyzji o objęciu refundacją (o której mowa w zleceniu), prace w Agencji zostały przeprowadzone wyłącznie w odniesieniu do pozostałych substancji czynnych wymienionych w zleceniu i niniejsza opinia Rady nie dotyczy cyklofosfamidu.

.....



**Tryb wydania opinii**

Uzasadnienie dodano na prośbę Ministra Zdrowia z dnia 23.05.2012 r., w trybie uzgodnionym z Ministerstwem Zdrowia.





Uchwała Rady Przejrzystości nr 200  
z dnia 16 lipca 2012 ws. uzasadnienia  
opinii nr 7/2012 z dnia 15 lutego 2012  
w sprawie objęcia refundacją leków immunosupresyjnych  
po przeszczepie narządu unaczynionego, kończyny lub jej części,  
w zakresie wskazań do stosowania/dawkowania/sposobu podawania  
odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

*Rada Przejrzystości uzupełnia opinię nr 7/2012 z dnia 15 lutego 2012 r. w sprawie objęcia refundacją leków immunosupresyjnych po przeszczepie narządu unaczynionego, kończyny lub jej części, w zakresie wskazań do stosowania/dawkowania/sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego poniższym uzasadnieniem.*

#### **Uzasadnienie**

*Stosowanie zaakceptowanych leków immunosupresyjnych jest standardową metodą zapobiegania odrzucaniu przeszczepów narządów unaczynionych, kończyny lub jej części, stosownie do wytycznych międzynarodowych organizacji i stowarzyszeń lekarskich. Decyzja ta uzupełnia lukę w leczeniu immunosupresyjnym po transplantacji narządów unaczynionych oraz kończyny lub jej części w Polsce.*

#### **Przedmiot zlecenia**

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia było wydanie opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leku przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określono w Charakterystyce Produktu Leczniczego” w zakresie leków immunosupresyjnych po przeszczepie narządu unaczynionego, kończyny lub jej części – w zastosowaniu do przeszczepów innych niż wymienione w ChPL, dla których wydano decyzje o objęciu refundacją, o której mowa w ustawie o refundacji.

.....  
[Redacted signature area]

#### **Tryb wydania opinii**

Uzasadnienie dodano na prośbę Ministra Zdrowia z dnia 23.05.2012 r., w trybie uzgodnionym z Ministerstwem Zdrowia.





Uchwała Rady Przejrzystości nr 201  
z dnia 16 lipca 2012 ws. uzasadnienia  
opinii nr 14/2012 z dnia 22 lutego 2012  
w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego zawierającego  
substancję czynną pegfilgrastim w zakresie wskazań do stosowania  
odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

*Rada Przejrzystości uzupełnia opinię nr 14/2012 z dnia 22 lutego 2012 r. w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego zawierającego substancję czynną pegfilgrastim w zakresie wskazań do stosowania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego poniższym uzasadnieniem.*

#### Uzasadnienie

*Aktualne dowody naukowe oraz wytyczne międzynarodowych organizacji medycznych wskazują, że pegfilgrastim może być stosowany w szerszym zakresie niż określony w ChPL.*

#### Przedmiot zlecenia

Wydanie opinii w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leku przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w ChPL w zakresie produktu leczniczego zawierającego substancję czynną pegfilgrastim we wskazaniu: profilaktyka pierwotna i wtórna neutropenii w czasie chemioterapii o ryzyku występowania neutropenicznej gorączki powyżej 20% oraz w uzasadnionych przypadkach u chorych z niższym ryzykiem, w szczególności u chorych poddawanych chemioterapii o założeniu radykalnym.

#### Problem zdrowotny

Neutropenia - obniżenie liczby granulocytów obojętnochłonnych – neutrofilii we krwi (ANC) do wartości poniżej  $1,5 \times 10^9/l$ .

Neutropenia należy do najczęstszych powikłań chemioterapii przeciwnowotworowej i jest jednocześnie najważniejszym czynnikiem ograniczającym możliwość jej stosowania. Występuje u 25-40% chorych po raz pierwszy poddawanych chemioterapii w zależności od charakterystyki leczonej grupy i indywidualnych czynników ryzyka. W wypadku chorych wcześniej leczonych mielotoksycznymi schematami chemioterapii ryzyko wystąpienia neutropenii szacuje się na niemal 100%.

Neutropenia u chorych na nowotwory powstaje najczęściej wskutek mielotoksycznego oddziaływania chemioterapii (60–80%) i radioterapii na układ krwiotwórczy, ale może być również spowodowana naciekaniami szpiku kostnego lub zakażeniami.

Gorączka neutropeniczna (GN) oznacza sytuację, gdy temperatura w jamie ustnej pacjenta w pojedynczym pomiarze wynosi  $38,3^{\circ}C$  bądź więcej lub przez ponad 60 minut utrzymuje wartość przynajmniej  $38^{\circ}C$ , a liczba neutrofilii wynosi mniej niż  $0,5 \times 10^9/l$  lub poniżej  $1 \times 10^9/l$ , jeśli przewidywane jest dalsze obniżenie do wartości niższej niż  $0,5 \times 10^9/l$ . 1



Neutropenia wywołana leczeniem przeciwnowotworowym związana jest z podwyższonym ryzykiem infekcji oraz zgonu pacjenta a także może wpływać na modyfikację leczenia chemioterapeutycznego, w tym obniżenie lub opuszczanie dawek chemioterapeutyku.

### **Opis rozpatrywanej technologii medycznej**

Neulasta 6 mg, roztwór do wstrzykiwań, data pierwszego pozwolenia: 22 sierpnia 2002, lek wydawany na receptę. Wskazania zarejestrowane: Skrócenie czasu trwania neutropenii i częstości występowania neutropenii z gorączką u pacjentów leczonych chemioterapią cytotoksyczną z powodu choroby nowotworowej (z wyjątkiem przewlekłej białaczki szpikowej i zespołów mielodysplastycznych). Zaleca się stosowanie jednej dawki zawierającej 6 mg produktu Neulasta (jedna ampułkostrzykawka) w każdym cyklu chemioterapii. Lek należy podawać we wstrzyknięciu podskórnym, około 24 godziny po zakończeniu chemioterapii cytotoksycznej.

Zgodnie z obwieszczeniem MZ wydanym na dzień 1 stycznia 2012 r. pegfilgrastim jest finansowany w ramach wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych w ramach grupy limitowej 133.0 „Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące - immunostymulujące - czynniki stymulujące wzrost granulocytów”, która obejmuje również filgrastimum i lenogrostimum.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Filgrastym (Neupogen, Tevagrastim, Zarzio ): lek stosuje się 1 x/d do czasu powrotu liczby neutrofilów do wartości prawidłowych po maks. zmniejszeniu ich liczby (nadir); w zależności od zastosowanej chemioterapii czas podawania filgrastymu może wynosić 14-38 dni.

Lenograstym (Granocyte 34): leczenie rozpoczyna się 24 h po przeszczepieniu lub zakończeniu chemioterapii i utrzymuje do powrotu liczby neutrofilów do porównywalnej z liczbą stwierdzaną przed leczeniem, maks. przez 28 kolejnych dni.

Okres podawania filgrastimu i lenograstimu charakterystyczny dla aktualnej praktyki klinicznej wynosi średnio 7 dni. Zgodnie z badaniami klinicznymi – wynosi 11 dni.

### **Dowody naukowe**

Zawarte w opracowaniu AOTM dowody naukowe odnoszą się do zarejestrowanych wskazań pegfilgrastimu.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Zawarte w opracowaniu AOTM rekomendacje odnoszą się do zarejestrowanych wskazań pegfilgrastimu.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie.

.....  
[Redacted signature area]

### **Tryb wydania opinii**

Uzasadnienie dodano na prośbę Ministra Zdrowia z dnia 23.05.2012 r., w trybie uzgodnionym z Ministerstwem Zdrowia.



Uchwała Rady Przejrzystości nr 202  
z dnia 16 lipca 2012 ws. uzasadnienia  
stanowiska nr 1/2012 z dnia 13 lutego 2012 r.  
w zakresie zakwalifikowania leku Brilique (ticagrelor) we wskazaniu:  
w skojarzeniu z kwasem acetylosalicylowym (ang. ASA), w celu  
zapobiegania zdarzeniom sercowo-naczyniowym u dorosłych  
pacjentów z ostrym zespołem wieńcowym (niestabilna dusznica  
bolesna, zawał mięśnia sercowego bez uniesienia odcinka ST  
(NSTEMI) lub z uniesieniem odcinka ST (STEMI), w tym u pacjentów  
leczonych farmakologicznie lub za pomocą przezskórnej interwencji  
wieńcowej (PCI) lub pomostowania aortalno-wieńcowego (CABG),  
jako świadczenia gwarantowanego

*Rada Przejrzystości uzupełnia stanowisko nr 1/2012 z dnia 13 lutego 2012 r. w sprawie zakwalifikowania leku Brilique (ticagrelor) we wskazaniu: w skojarzeniu z kwasem acetylosalicylowym (ang. ASA), w celu zapobiegania zdarzeniom sercowo-naczyniowym u dorosłych pacjentów z ostrym zespołem wieńcowym (niestabilna dusznica bolesna, zawał mięśnia sercowego bez uniesienia odcinka ST (NSTEMI) lub z uniesieniem odcinka ST (STEMI), w tym u pacjentów leczonych farmakologicznie lub za pomocą przezskórnej interwencji wieńcowej (PCI) lub pomostowania aortalno-wieńcowego (CABG), jako świadczenia gwarantowanego poniższym uzasadnieniem.*

#### **Uzasadnienie**

*Lek Brilique (tikagrelor), dopuszczony do obrotu dwa lata temu, daje niewielkie dodatkowe korzyści kliniczne w porównaniu do leczenia kłopidogrelem. Jego skuteczność została udowodniona w badaniu klinicznym PLATO. Dużą barierą jest obecna cena leku, co powoduje, że ewentualne wprowadzenie go do refundacji wiązałoby się ze zwiększonymi wydatkami dla płatnika ok. 300 milionów złotych rocznie.*

#### **Przedmiot zlecenia**

Zlecenie wydania stanowiska Rady Przejrzystości dotyczy wniosków o umieszczenie produktu leczniczego Brilique (ticagrelorum), 90 mg, 56 tabletek w Wykazie leków i wyrobów medycznych przepisanych chorującym na choroby zakaźne lub psychiczne oraz upośledzonym umysłowo, a także chorującym na niektóre choroby przewlekłe, wrodzone lub nabyte. Proponowane wskazanie: „w skojarzeniu z kwasem acetylosalicylowym (ang. ASA), w celu zapobiegania zdarzeniom sercowo-naczyniowym u dorosłych pacjentów z ostrym zespołem wieńcowym (niestabilna dusznica bolesna,



zawał mięśnia sercowego bez uniesienia odcinka ST (NSTEMI) lub z uniesieniem odcinka ST (STEMI), w tym u pacjentów leczonych farmakologicznie lub za pomocą przezskórnej interwencji wieńcowej (PCI) lub pomostowania aortalno-wieńcowego (CABG)”. Lek miałby być wydawany [REDAKTOWANE]

### **Problem zdrowotny**

Ostre zespoły wieńcowe (OZW) to grupa schorzeń, których wspólną cechą jest znaczne ograniczenie lub ustanie przepływu w tętnicach wieńcowych. Najczęstszą przyczyną tych zaburzeń krążenia jest zakrzep powstający w miejscu pęknięcia blaszki miażdżycowej. Do OZW zaliczane są: niestabilna choroba wieńcowa (ang. *Unstable Angina*, UA), zawał serca bez przetrwałego uniesienia odcinka ST (ang. *No ST Elevation Myocardial Infarction*, NSTEMI) oraz zawał serca z przetrwałym uniesieniem odcinka ST (ang. *ST Elevation Myocardial Infarction*, STEMI). OZW stanowią poważny problem epidemiologiczny i ekonomiczny. Według szacunków z 2005 r. w Polsce dochodzi do ok. 250 000 przypadków OZW rocznie.

Mniejsze ograniczenia przepływu doprowadzają do rozwinięcia się objawów UA lub NSTEMI, natomiast całkowite ustanie przepływu doprowadza do rozwoju STEMI - konsekwencją tego podziału są różnice w postępowaniu. Podstawową formą leczenia w STEMI jest udrożnienie mechaniczne tętnicy odpowiadającej za zawał, czyli pierwotna przezskórna interwencja wieńcowa (PCI) lub leczenie farmakologiczne - fibrynolityczne. Jako leczenie wspomagające u pacjentów, u których rozważana jest PCI podaje się kwas acetylosalicylowy (ASA) oraz dawkę nasycającą klopidogrelu oraz bolus heparyny niefrakcjonowanej. Postępowanie w NSTEMI lub UA zależy od ryzyka zgonu i powikłań krwotocznych. Leczenie inwazyjne wykonuje się tak jak w przypadku STEMI. W farmakoterapii stosuje się ASA i klopidogrel. Pacjenci poddawani wczesnemu leczeniu inwazyjnemu przyjmują dodatkowo heparynę niefrakcjonowaną. W pierwszych dobach leczenia OZW bez uniesienia odcinka ST zaleca się też podawanie leków beta-adrenolitycznych lub antagonistów wapnia, azotanów i statyn.

### **Opis wnioskowanego świadczenia**

Produkt leczniczy Brilique został dopuszczony do obrotu w Polsce w 2010 roku. Brilique zawiera tikagrelor, który jest selektywnym antagonistą receptora adenylozyndifosforanowego (ADP), działającym w sposób odwracalny na receptor płytkowy ADP P2Y12. Grupa farmakoterapeutyczna: leki hamujące agregację płytek z wyłączeniem heparyny, kod ATC: B01AC24.

Leczenie rozpoczyna się od pojedynczej dawki nasycającej 180 mg (2 tabletki o mocy 90 mg) i jest kontynuowane w dawce 90 mg dwa razy na dobę. Pacjenci przyjmujący produkt leczniczy Brilique powinni codziennie stosować również ASA, jeśli nie jest to indywidualnie przeciwwskazane, w dawce podtrzymującej od 75 do 150 mg. Leczenie powinno trwać do 12 miesięcy.

Produkt Brilique jest zarejestrowany do stosowania we wskazaniu proponowanym we wniosku o refundację.

### **Alternatywne świadczenie**

Wytyczne praktyki klinicznej i opinie ekspertów klinicznych wskazują, że wnioskowany lek może w praktyce klinicznej zastępować przede wszystkim klopidogrel (liczne preparaty generyczne), pomimo braku pełnej zgodności wskazań rejestracyjnych. Produkty lecznicze zawierające klopidogrel są finansowane ze środków publicznych, w ramach wykazów leków refundowanych, wydawanych za odpłatnością 30%, w grupie limitowej „23.1, Doustne leki przeciwplatekcyjne – klopidogrel”.

W wybranych wskazaniach tikagrelor może być również rozpatrywany jako opcja dla prasugrelu (produkt leczniczy Efixent), lek ten jednak nie jest obecnie objęty refundacją ze środków publicznych i nie jest w Polsce stosowany na większą skalę.

### **Skuteczność kliniczna**

Wnioskodawca przedstawił analizę kliniczną – przegląd systematyczny, w której ocenie poddano skuteczność i bezpieczeństwo tikagreloru stosowanego w skojarzeniu z ASA w prewencji wtórnej ostrych zespołów wieńcowych (w tym: STEMI, NSTEMI i UA), w porównaniu z klopidogrelem w skojarzeniu z ASA. Do przeglądu włączono 2 badania z randomizacją (PLATO – badanie III fazy, DISPERSE-2 – badanie II fazy) i 6 opracowań wtórnych.

Głównym źródłem dowodów klinicznych opisanych w analizie wnioskodawcy jest badanie PLATO porównujące tikagrelor z kłopidogrelem u pacjentów z OZW w 12-miesięcznym okresie obserwacji. Tikagrelor w porównaniu z kłopidogrelem okazał się lepszy w zapobieganiu zdarzeniom sercowo-naczyniowym, mierzonym za pomocą złożonego pierwszorzędowego punktu końcowego: zgon z przyczyn naczyniowych, zawał, udar mózgu [9,8% vs 11,7%, HR=0,84 (95% CI: 0,77; 0,92)]. Redukcja ryzyka wystąpienia pierwszorzędowego punktu końcowego była spowodowana przede wszystkim przez znaczące obniżenie ryzyka zawału [5,8% vs 6,9%, HR=0,84 (95% CI: 0,75; 0,95)] oraz zgonu z przyczyn naczyniowych [4,0% vs 5,1%, HR=0,79 (95% CI: 0,69; 0,91)]. Liczba udarów była większa w grupie przyjmujących tikagrelor w porównaniu z kłopidogrelem, ale różnica nie osiągnęła znamienności statystycznej. Podobne wyniki otrzymano w przypadku analizy w podgrupach. W populacji europejskiej (n = 11 446), analizowanej w badaniu PLATO, w tym polskiej (n=2 666), wyniki dla pierwszorzędowego punktu końcowego przedstawiają się podobnie jak dla całej populacji badania.

Agencja zwróciła uwagę na szereg ograniczeń przedstawionych dowodów naukowych, w tym na ograniczoną wartość dowodową porównań opartych na złożonych punktach końcowych (m. in. ze względu na możliwość uwzględniania w tego typu statystykach więcej niż jednego zdarzenia, które wystąpiło u jednego pacjenta) oraz na nieuzasadnione ograniczenie ekstrakcji danych w analizie wnioskodawcy do pacjentów ze STEMI u których planowano PCI; przytoczono również ograniczenia metodologiczne do badania PLATO wskazane w raporcie grupy weryfikującej dane przesyłane przez podmioty odpowiedzialne na potrzeby brytyjskiej agencji NICE (Raport ERG z 2011 roku).

W analizie przedstawionej przez wnioskodawcę nie wskazano dowodów naukowych skuteczności praktycznej wnioskowanego leku.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Głównym parametrem oceny bezpieczeństwa w analizie przedstawionej przez wnioskodawcę był czas do pierwszego powikłania krwotocznego. W badaniu PLATO częstość ciężkich krwawień (wg definicji przyjętej w tym badaniu) była zbliżona w obu ramionach badania, ale istotnie statystycznie wyższa w grupie tikagreloru w porównaniu z kłopidogrelem. W przypadku krwawień ciężkich i małych ogółem wyniosła odpowiednio 16,1% vs 14,6% [HR= 1,11 (95% CI: 1,03; 1,2), p=0,008], a w przypadku ciężkich krwawień niezwiązanych z CABG - 4,5% vs 3,8% [HR=1,19 (95% CI: 1,02; 1,38), p=0,03]. Istotnie statystycznie częściej w grupie leczonych tikagrelorem w porównaniu z grupą kłopidogrelu występowały również duszności, w tym duszności prowadzące do przerwania leczenia.

Wyniki badania II fazy, DISPERSE-2, porównującego tikagrelor z kłopidogrelem u pacjentów z NSTEMI/UA w 12 tygodniowym okresie obserwacji, są zbieżne w zakresie działań niepożądanych z wynikami badania PLATO.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

W przedstawionej przez wnioskodawcę analizie ekonomicznej inkrementalny koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość (QALY), przy zastosowaniu tikagreloru zamiast kłopidogrelu, w prewencji wtórnej ostrych zespołów wieńcowych z uniesieniem odcinka ST i bez uniesienia odcinka ST, oszacowano na ██████████ - w dożywotnim horyzoncie czasowym, z perspektywy płatnika publicznego. Po aktualizacji kosztów kłopidogrelu (oszacowanie własne Agencji, na podstawie modelu dostarczonego przez podmiot odpowiedzialny) wspomniana wartość ICUR uległa nieznacznemu podwyższeniu – ██████████. Przytoczona wartość ICUR nie przekracza progu opłacalności w wysokości 3xPKB *per capita*. Wartość ICUR oszacowana w 1-rocznym horyzoncie czasowym wynosi ponad ██████████ i kilkakrotnie przekracza wspomniany próg opłacalności.

W ramach przeprowadzonej oceny raportu Agencja wskazała na liczne ograniczenia przedstawionej analizy ekonomicznej, między innymi wykorzystanie wyników nieopublikowanego badania, jako źródła danych dotyczących użyteczności stanów zdrowia w modelu, brak uzasadnienia niektórych założeń dotyczących prawdopodobieństw przejść między stanami oraz na brak możliwości pełnej weryfikacji modelu, z uwagi na właściwości przesłanego arkusza kalkulacyjnego.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Według szacunków wnioskodawcy, w zależności od przewidywanej liczebności populacji objętej leczeniem, docelowe (V rok finansowania) roczne inkrementalne koszty związane z wprowadzeniem refundacji tikagreloru w terapii OZW, oceniane z perspektywy płatnika publicznego (NFZ), wyniosą od [REDAKTOWANE] (w wariantcie wskazanym jako najbardziej prawdopodobny: ok. [REDAKTOWANE]). Przyjmując perspektywę pacjentów, wprowadzenie refundacji tikagreloru docelowo może wiązać się z oszczędnościami w wysokości od [REDAKTOWANE].

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianego świadczenia**

Agencja dokonała przeglądu rekomendacji postępowania klinicznego w przedmiotowym wskazaniu, a także rekomendacji dotyczących finansowania wnioskowanego leku ze środków publicznych w innych krajach. Odnaleziono 15 wytycznych postępowania klinicznego oraz 13 rekomendacji finansowych.

W świetle odnalezionych wytycznych klinicznych, tikagrelor stanowi opcję terapeutyczną dla klopidogrelu i prasugrelu. Tym samym kluczowa wydaje się indywidualizacja stosowanej terapii przeciwplatekcyjnej poprzez ocenę ryzyka krwawień oraz niedokrwienia i jego skutków w postaci incydentów sercowo-naczyniowych. Tikagrelor jest zalecany do stosowania u pacjentów z umiarkowanym lub wysokim ryzykiem wystąpienia incydentów niedokrwiennych, niezależnie od wcześniejszego leczenia, włączając w to pacjentów leczonych wcześniej klopidogrelem. Wraz z prasugrelem jest także wskazany u pacjentów, którzy wykazują słaby metabolizm klopidogrelu do formy aktywnej.

Odnalezione rekomendacje finansowe są pozytywne wobec finansowania tikagreloru ze środków publicznych, w leczeniu pacjentów z OZW. Wskazują jednocześnie na wysokie koszty stosowania tikagreloru w porównaniu z terapią klopidogrelem lub prasugrelem, jakkolwiek w niektórych krajach (Irlandia, Australia, Dania, Niemcy) stosunek kosztów do efektów zdrowotnych uznano za akceptowalny. W uzasadnieniach odnalezionych rekomendacji powoływano się również na mocne dowody skuteczności tikagreloru u pacjentów z OZW (MTRAC – Wielka Brytania); w jednej z rekomendacji (IQWiG- Niemcy) dodatkową korzyść tikagreloru oceniono jako znaczną u chorych z NSTEMI i UA, ale nie u chorych ze STEMI.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....  
[REDAKTOWANE]  
[REDAKTOWANE]

### **Tryb wydania opinii**

Uzasadnienie dodano na prośbę Ministra Zdrowia z dnia 23.05.2012 r., w trybie uzgodnionym z Ministerstwem Zdrowia.



**Uchwała Rady Przejrzystości nr 203  
z dnia 16 lipca 2012 ws. uzasadnienia  
stanowiska nr 2/2012 z dnia 13 lutego 2012 r.  
w zakresie zakwalifikowania leków Kreon 25 000 i Kreon 40 000  
(pancreatinum) we wskazaniu: zewnątrzwydzielnicza niewydolność  
trzustki w przebiegu przewlekłego zapalenia trzustki (PZT), jako  
świadczenia gwarantowanego**

*Rada Przejrzystości uzupełnia stanowisko nr 2/2012 z dnia 13 lutego 2012 r. w sprawie zakwalifikowania leków Kreon 25 000 i Kreon 40 000 (pancreatinum) we wskazaniu: zewnątrzwydzielnicza niewydolność trzustki w przebiegu przewlekłego zapalenia trzustki (PZT), jako świadczenia gwarantowanego poniższym uzasadnieniem.*

**Uzasadnienie**

*W Rekomendacjach Grupy Roboczej Konsultanta Krajowego w dziedzinie Gastroenterologii i Polskiego Klubu Trzustkowego (2011) jednoznacznie zaleca się stosowanie preparatów enzymów trzustkowych o wysokim stężeniu lipazy, w rozpatrywanym wskazaniu. Rada uznaje za zasadne zakwalifikowanie leków Kreon 25000 i Kreon 40000 w przebiegu PZT jako świadczenia gwarantowanego, ale tylko w przypadkach potwierdzonej przez specjalistę gastroenterologa, zewnątrzwydzielniczej niewydolności trzustki.*

**Przedmiot zlecenia**

Zlecenie wydania stanowiska Rady Przejrzystości dotyczy wniosków o refundację dwóch produktów leczniczych:

- Kreon 25 000 (pancreatinum), 300 mg pankreatyny o aktywności : 25 000 j.Ph.Eur. lipazy, 18 000 j.Ph.Eur. amylazy, 1 000 j.Ph.Eur. proteazy, kapsułki dojelitowe , 50 sztuk;
- Kreon 40 000 (pancreatinum), 400 mg pankreatyny o aktywności : 40 000 j.Ph.Eur. lipazy, 25 000 j.Ph.Eur. amylazy, 1 600 j.Ph.Eur. proteazy, kapsułki dojelitowe, 50 sztuk.

Wnioski dotyczą umieszczenia ww. produktów leczniczych w Wykazie leków i wyrobów medycznych przepisywanych chorującym na choroby zakaźne lub psychiczne oraz upośledzonym umysłowo, a także chorującym na niektóre choroby przewlekłe, wrodzone lub nabyte. Proponowane wskazanie: „Zewnątrzwydzielnicza niewydolność trzustki w przebiegu przewlekłego zapalenia trzustki”. Poziom odpłatności – ryczałt.

**Problem zdrowotny**

Przewlekłe zapalenie trzustki (PZT) jest przewlekłym procesem zapalnym powodującym postępujące, nieodwracalne zmiany w miększu (zanik, włóknienie) oraz stopniowy rozwój niewydolności zewnątrzwydzielniczej i wewnątrzwydzielniczej trzustki. Rozpowszechnienie PZT szacuje się na 0,04-





5% populacji. Niewydolność zewnątrzwydzielnicza trzustki prowadzi do upośledzenia wchłaniania, niedożywienia, ubytku masy ciała, wyniszczenia i w konsekwencji - przedwczesnego zgonu. Uciążliwe objawy ze strony przewodu pokarmowego (w tym biegunka tłuszczowa) i związana z chorobą niezdolność do pracy powodują obniżenie jakości życia chorego, istnieją również dane wskazujące na związek jakości życia ze stopniem odżywienia.

Podstawę leczenia zewnątrzwydzielniczej niewydolności trzustki w przebiegu PZT stanowi terapia substytucyjna – suplementacja enzymów trzustkowych, która ze względu na brak zdolności trzustki do samoistnej regeneracji, musi być prowadzona przez całe życie.

### **Opis ocenianego świadczenia**

Produkt leczniczy Kreon 25 000 został dopuszczony do obrotu w Polsce w 2000 roku; produkt Kreon 40 000 – w 2009 r. Produkty lecznicze Kreon 25 000 i Kreon 40 000 zawierają pankreatynę wieprzową w postaci minimikrosfer, umieszczonych w otoczce dojelitowej, odpornej na działanie kwasu żołądkowego. W jelicie cienkim uwalniane są enzymy o działaniu lipolitycznym, amylolitycznym i proteolitycznym, które umożliwiają trawienie tłuszczów, skrobi i białek.

Dawkowanie zależy od nasilenia zaburzeń trawienia i zawartości tłuszczu w pożywieniu. Dawka mieści się w przedziale od około 25 000 do 80 000 j. Ph.Eur. lipazy, w przypadku głównego posiłku oraz stanowi połowę indywidualnie wyznaczonej dawki w przypadku przekąsek między posiłkami.

Wskazania zarejestrowane, oprócz wskazań wnioskowanych i już objętych finansowaniem (w przypadku produktu Kreon 25 000), obejmują leczenie zewnątrzwydzielniczej niewydolności trzustki związanej z innymi schorzeniami: po usunięciu żołądka, z rakiem trzustki, po zespoleniu żołądkowo-jelitowym, zwężeniem przewodu trzustkowego lub przewodu żółciowego wspólnego, zespołem Shwachmana-Diamonda, ostrym zapaleniem trzustki.

### **Alternatywne świadczenia**

Zgodnie z wytycznymi praktyki klinicznej i opiniami ekspertów klinicznych nie ma obecnie alternatywy dla leczenia substytucyjnego. Obecnie w Polsce żaden produkt zawierający enzymy trzustkowe nie jest finansowany w leczeniu zewnątrzwydzielniczej niewydolności trzustki w przebiegu PZT. W wykazach leków refundowanych znajdują się produkty Kreon 25 000 i Lipancrea 16 000, jednak są one finansowane we wskazaniach: mukowiscydoza i stan po resekcji trzustki. Leczenie dla pacjentów z PZT jest więc pełnopłatne. Innym dostępnym na rynku preparatem (nieobjętym refundacją), zawierającym co najmniej 25 000 jednostek lipazy, jest Pangrol 25 000 (1 kaps. zawiera: 25 000 j. Ph. Eur. lipazy, 22 500 j. Ph. Eur. amylazy, 1 250 j. Ph. Eur. proteazy); dostępne są również inne preparaty zawierające mniejszą dawkę lipazy.

### **Skuteczność kliniczna**

Wnioskodawca przedstawił analizę kliniczną – przegląd systematyczny, w której jako komparatory dla wnioskowanych produktów leczniczych wskazano produkt leczniczy Lipancrea 16 000 oraz brak leczenia/placebo, jednak odnaleziono wyłącznie badania porównujące Kreon (Kreon 25 000, Kreon 40 000, Kreon w dawkach zbliżonych lub stanowiących wielokrotność dawek wnioskowanych) z placebo. Do przeglądu systematycznego włączono siedem badań klinicznych, z których trzy (SOLID 2011a, *Whitcomb 2010* i *Safdi 2006*) stanowiły próby kliniczne z randomizacją, w dwóch kolejnych publikacjach (SOLID 2011b oraz *Gubergrits 2011*) opisano przedłużenia prób SOLID 2011a i *Whitcomb 2010*, w których wszyscy pacjenci przyjmowali Kreon. Do analizy włączono również jedno badanie obserwacyjne (*Czako 2003*).

We wszystkich badaniach porównującym Kreon z placebo (SOLID 2011a, *Whitcomb 2010* i *Safdi 2006*) odnotowano istotne statystycznie różnice na korzyść Kreonu przy ocenie takich punktów końcowych jak: CFA (współczynnik absorpcji tłuszczu), CNA (współczynnik absorpcji azotu), zawartość tłuszczu/azotu w stolcu, masa stolca, częstość wypróżnień. Jedyne punkty, które nie osiągnęły nominalnej istotności statystycznej to oceniana w badaniu *Safdi 2006* jakość życia związana z objawami choroby wg. kwestionariusza CGIDS.

W badaniu przedłużonym (SOLID 2011b – okres obserwacji 323 dni) oceniano jakość życia wg. kwestionariusza SF-36. Wynik istotny statystycznie, na korzyść leczenia Kreonem, uzyskano w 6 na 10 podgrup pacjentów. Ponadto we włączonych przedłużeniach badań eksperymentalnych, u około 50%

pacjentów leczonych produktem Kreon odnotowano redukcję nasilenia objawów przewlekłego zapalenia trzustki: bólów brzucha, gazów jelitowych, nieprawidłowej konsystencji stolca. U osób przyjmujących Kreon, w stosunku do wartości wyjściowych, uległa redukcji częstość wypróżniania, wzrosła masa ciała i BMI.

Agencja zwróciła uwagę na następujące ograniczenia przedstawionych dowodów naukowych: małe populacje pacjentów w dostępnych badaniach eksperymentalnych (do kilkudziesięciu osób), krótkie okresy obserwacji, punkty końcowe w większości o niewielkim znaczeniu klinicznym (wyniki pośrednie – surogaty), brak publikacji wyników jednego z badań (SOLID 2011), pominięcie niektórych badań na etapie wyszukiwania lub włączenia do przedstawionej analizy.

W ramach wyszukiwania własnego Agencja zidentyfikowała 1 opublikowany przegląd systematyczny badań klinicznych z randomizacją, oceniający skuteczność stosowania doustnych preparatów enzymów trzustkowych u chorych z przewlekłym zapaleniem trzustki (*Shafiq 2010 – Cochrane Review*; czas objęty wyszukiwaniem – do lutego 2009) – przegląd ten nie został uwzględniony w analizie przedstawionej przez wnioskodawcę (został uznany za nieaktualny); ze względu na mniej restrykcyjne kryteria włączenia dotyczące prezentacji wyników uwzględniono w nim jednak więcej badań, niż w przeglądzie wnioskodawcy. Zgodnie z wnioskami autorów wspomnianego przeglądu, rola enzymów trzustkowych w leczeniu bólów brzucha, utraty masy ciała, biegunki tłuszczowej oraz w ograniczaniu zużycia środków przeciwbólowych i poprawie jakości życia pacjentów z PZT pozostaje niejednoznaczna; konieczne jest przeprowadzenie dobrych jakościowo badań, o odpowiedniej mocy statystycznej.

Jako dowody efektywności praktycznej stosowania wnioskowanych leków w analizie przedstawionej przez wnioskodawcę wskazano jedno badanie obserwacyjne (*Czako 2003*), w którym oceniano jakość życia przy użyciu zmodyfikowanego kwestionariusza EORTC QLQ-30, w okresie obserwacji wynoszącym 28 dni. Wśród pacjentów leczonych produktem Kreon, w obydwu podgrupach, stwierdzono statystycznie istotną poprawę jakości życia przy ocenie następujących parametrów: zwiększenie masy ciała, zmniejszenie częstości wypróżniania, zwiększenie aktywności zawodowej, zmniejszenie objawów ogólnych i chorobowych oraz bólu oraz jakości życia ogółem. Odnotowano również istotne zwiększenie obciążeń finansowych związanych z chorobą lub leczeniem.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

W przedstawionej przez wnioskodawcę analizie bezpieczeństwa opisano trzy badania porównujące stosowanie Kreonu z placebo w okresie 7-14 dni (SOLID 2011a, *Whitcomb 2010, Safdi 2006*) oraz trzy badania opisujące stosowanie Kreonu bez grupy porównawczej (*Halm 1999 – 28 dni, Gubertgrits 2011 – 182 dni, SOLID 2011b – 323 dni*).

W badaniach porównujących Kreon z placebo (SOLID 2011a, *Whitcomb 2010, Safdi 2006 – okres obserwacji 7-14 dni*) nie odnotowano różnic w częstości występowania zdarzeń niepożądanych. Tylko w jednym z trzech badań stwierdzono różnicę na niekorzyść Kreonu w porównaniu z placebo odnośnie częstości występowania zaburzeń przewodu pokarmowego.

W opisanych badaniach jednoramiennych (SOLID 2011b, *Gubertgrits 2011, Halm 1999*) zdarzenia niepożądane związane z leczeniem występowały u 7,8% (*Gubertgrits 2011*) i 13,1% (SOLID 2011b) leczonych. Do najczęściej występujących zdarzeń niepożądanych należały zdarzenia związane z układem pokarmowym - zaburzenia przewodu pokarmowego ogółem (*Gubertgrits 2011*), atoniczne zaburzenia przewodu pokarmowego i trawienia (SOLID 2011b) czy ból brzucha i ból w obrębie przewodu pokarmowego (SOLID 2011b).

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

W przedstawionej przez wnioskodawcę analizie ekonomicznej inkrementalny koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego jakością (QALY), przy użyciu produktu leczniczego Kreon (Kreon 25 000 lub Kreon 40 000) zamiast nieleczenia, oszacowano na [REDAKTOWANE] – z perspektywy Narodowego Funduszu Zdrowia, w dożywotnym horyzoncie czasowym. Przytoczona wartość ICUR [REDAKTOWANE] progu opłacalności w wysokości 3xPKB *per capita*.

W ramach przeprowadzonej oceny raportu Agencja wskazała na liczne ograniczenia przedstawionej analizy ekonomicznej, między innymi brak pełnego opisu założeń przyjętych w modelu oraz brak uzasadnienia przyjętych zakresów zmienności parametrów, jak również brak oceny wiarygodności

danych wejściowych. Wskazano również na błędy w obliczeniach, użycie w obliczeniach nieprawidłowych wzorów i wprowadzenie do modelu nieprawidłowych rozkładów. Ograniczeniem potencjalnie zaniżającym wartość ICUR jest przyjęcie założenia o rzadkim stosowaniu (małym udziale w rynku) preparatu droższego (z dwóch wnioskowanych), w przeliczeniu na dawkę, tj. produktu Kreon 40 000. Nie przedstawiono odrębnych oszacowań wartości ICUR dla produktów Kreon 25 000 i Kreon 40 000.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

W przedstawionej przez wnioskodawcę analizie wpływu na system ochrony zdrowia inkrementalny koszt refundacji wnioskowanych produktów leczniczych oszacowano [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] finansowania ze środków publicznych. Wyniki analizy przeprowadzonej z perspektywy wspólnej (NFZ + pacjenci) wskazują na możliwość wystąpienia [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]. Liczebność populacji z zewnątrzwydzielniczą niewydolnością trzustki w ZTP oszacowano [REDAKTOWANE], na podstawie badania ankietowego. W przedstawionych szacunkach nie uwzględniono kosztów stosowania wnioskowanych produktów we wskazaniach innych niż wnioskowane.

Ograniczeniem analizy wnioskodawcy, potencjalnie zaniżającym koszty refundacji wnioskowanych produktów, jest założenie o rzadkim stosowaniu (małym udziale w rynku) preparatu droższego (z dwóch wnioskowanych), w przeliczeniu na dawkę, tj. produktu Kreon 40 000.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczącej oceny świadczenia**

Agencja dokonała przeglądu wytycznych praktyki klinicznej, dotyczących stosowania suplementacji enzymów trzustki u pacjentów z zewnątrzwydzielniczą niewydolnością trzustki w przebiegu PZT. Odnaleziono jeden dokument polski i 5 rekomendacji zagranicznych. W *Rekomendacjach Grupy Roboczej Konsultanta Krajowego w dziedzinie Gastroenterologii i Polskiego Klubu Trzustkowego* (2011) zaleca się stosowanie preparatów enzymów trzustkowych w formie kapsułek dojelitowych, zawierających wrażliwe na pH otoczenia mikrosfery, o wysokim stężeniu lipazy. Zalecana dawka minimalna wynosi 25 000 jednostek lipazy, podczas lub bezpośrednio po każdym posiłku. *Hepato-Pancreatico-Biliary Association of South Africa* i *the South African Gastroenterology Society* (2010) zaleca substytucję enzymów trzustkowych w postaci powlekanych kapsułek dojelitowych, w dawce 25 000 jednostek lipazy do posiłków i 10 000 – 25 000 jednostek lipazy do przekąsek. W *Australasian treatment guidelines for the management of pancreatic exocrine insufficiency* (2010) zaleca się suplementację w dawce 25 000 – 50 000 jednostek lipazy na posiłek - jako leczenie pierwszej linii. W wytycznych *European Society for Clinical Nutrition and Metabolism* (2006), dotyczących żywienia dojelitowego, wskazano, że ponad 80% pacjentów z PZT może być odpowiednio leczonych za pomocą pożywienia zwykłego, wspomaganego enzymami trzustkowymi.

Wytyczne NICE (2010) i *Italian Association for the Study of the Pancreas* (2010) dotyczyły stosowania suplementów enzymatycznych u osób z PZT o podłożu alkoholowym. W tej populacji NICE zaleca stosowanie suplementów enzymatycznych osobom, u których występują biegunka (stolce tłuszczowe) lub niedożywienie związane z zewnątrzwydzielniczą niewydolnością trzustki, natomiast negatywnie rekomendowano stosowanie tych środków u osób, u których jedynym objawem schorzenia jest ból. IASP zaleca suplementację enzymami trzustkowymi przy użyciu preparatów o wysokiej dawce lipazy, w postaci powlekanych kapsułek z minimikrosferami 25 000 – 40 000 lipazy, najlepiej w trakcie lub tuż po każdym posiłku.

Odnaleziono 2 rekomendacje dotyczące finansowania produktów Kreon ze środków publicznych – obie zostały wydane przez francuską agencję HAS (2006 i 2010). W 2006 roku rekomendowano finansowanie opiniowanych produktów (Kreon 12 000 i Kreon 25 000) na poziomie 65%, tylko w określonych wskazaniach, w tym u dorosłych i dzieci z zewnątrzwydzielniczą niewydolnością trzustki spowodowaną udokumentowanym przewlekłym zapaleniem trzustki (w tym zwapnienia w obrębie trzustki) i zawartością tłuszczu w stolcu przekraczającą 6g/24h. W uzasadnieniu zwrócono uwagę, że zewnątrzwydzielnicza niewydolność trzustki jest poważnym schorzeniem i może stanowić zagrożenie dla życia; opiniowane leki stosowane są w pierwszej linii leczenia, jednak istnieją dla nich alternatywy (wymieniono produkty Eurobiol 12 500, Eurobiol 25 000, Lcrease); stosunek

skuteczności do działań niepożądanych określono jako korzystny. W 2010 roku HAS pozytywnie rekomendował utrzymanie refundacji preparatów Kreon (w tych samych wskazaniach, których dotyczyła rekomendacja z 2006 roku). W uzasadnieniu podtrzymano argumenty z 2006 roku, zwrócono również uwagę na 2 nowe badania dotyczące skuteczności stosowania opiniowanych produktów w populacji z mukowiscydozą.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....  
.....  
[Redacted signature block]

**Tryb wydania opinii**

Uzasadnienie dodano na prośbę Ministra Zdrowia z dnia 23.05.2012 r., w trybie uzgodnionym z Ministerstwem Zdrowia.



Uchwała Rady Przejrzystości nr 204  
z dnia 16 lipca 2012 ws. uzasadnienia  
stanowiska nr 03/2012 z dnia 13 lutego 2012r.  
w zakresie zakwalifikowania/niezasadności zakwalifikowania  
leków Adenuric 80 mg i Adenuric 120 mg (febuksostat)  
we wskazaniu: leczenie przewlekłej hiperurykemii w chorobach,  
w których wystąpiło już odkładanie się złogów moczanowych  
(w tym guzki dnawe i (lub) zapalenie stawów dnawe czynne  
lub w wywiadzie), jako świadczenia gwarantowanego

*Rada Przejrzystości uzupełnia stanowisko nr 3/2012 z dnia 13 lutego 2012 r. w sprawie zakwalifikowania/niezasadności zakwalifikowania leków Adenuric 80 mg i Adenuric 120 mg (febuksostat) we wskazaniu: leczenie przewlekłej hiperurykemii w chorobach, w których wystąpiło już odkładanie się złogów moczanowych (w tym guzki dnawe i (lub) zapalenie stawów dnawe czynne lub w wywiadzie), poniższym uzasadnieniem.*

#### **Uzasadnienie**

*Wobec braku danych o znacząco wyższej skuteczności febeksostatu w stosunku do allopurinolu, ██████████, uznano za niezasadne finansowanie tego leku ze środków publicznych.*

#### **Przedmiot zlecenia**

Zlecenie wydania stanowiska Rady Przejrzystości dotyczy wniosków o refundację dwóch produktów leczniczych:

- Adenuric (febeksostat) 80 mg, tabletki powlekane, 28 sztuk;
- Adenuric (febeksostat) 120 mg, tabletki powlekane, 28 sztuk.

Wnioski dotyczą umieszczenia ww. produktów leczniczych w Wykazie leków i wyrobów medycznych przepisywanych chorującym na przewlekłą hiperurykemię, a także chorującym na niektóre choroby przewlekłe, wrodzone lub nabyte. Proponowane wskazanie: „Leczenie przewlekłej hiperurykemii w chorobach, w których wystąpiło już odkładanie się złogów moczanowych (w tym guzki dnawe i (lub) zapalenie stawów dnawe czynne lub w wywiadzie)”. Poziom odpłatności – ryczałt.

#### **Problem zdrowotny**

Za hiperurykemię uważa się stężenie kwasu moczowego w surowicy przekraczające 7 mg/dl (416 pmol/l) u mężczyzn i 6 mg/dl (356 pmol/l) u kobiet. Za stan ten odpowiada zwiększone wytwarzanie kwasu moczowego w ustroju lub jego niewystarczające wydalanie. Obydwie te przyczyny mogą ze sobą współistnieć. Zwiększone wytwarzanie kwasu moczowego może być wywołane przez czynniki wrodzone lub nabyte. Za pierwotną hiperurykemię odpowiedzialne mogą być zaburzenia enzymatyczne uwarunkowane genetycznie, sprzężone z chromosomem X. Najczęściej jest to



zwiększona aktywność syntetazy fosforybozylpirofosforanowej (syntetaza PRPP) lub częściowy niedobór fosforybozylotransferazy hipoksantynowoguaninowej (HG-PRT). U chorych z tymi defektami obserwuje się wczesny początek występowania dny moczanowej i częste współistnienie kamicy nerkowej. Całkowity brak HG-PRT prowadzi do objawów zespołu Lesha-Nyhana (opóźnienie rozwoju umysłowego, objawy spastyczne, płasawica, skłonność do samookaleczeń). Zwiększone wytwarzanie kwasu moczowego może być także spowodowane niedoborem glukozy-6-fosfatazy lub aldolazy fruktozo-1-fosforanu.

Do nabytych czynników, które przyczyniają się do hiperurykემii, należą: zwiększona podaż prekursorów kwasu moczowego w diecie, przyspieszona degradacja kwasu adenozyntrifosforowego (ATP) w przypadkach nadużywania alkoholu, przyjmowanie fruktozy przez chorych z jej nietolerancją, zwiększony rozpad nukleotydów w przebiegu chorób mielo- i limfoproliferacyjnych, niedokrwistości hemolitycznej, czerwienicy prawdziwej, mononukleozy, działanie leków lub radioterapii w leczeniu nowotworów złośliwych, a także związków immunosupresyjnych u biorców przeszczepów.

Hiperurykemia stanowi czynnik ryzyka wystąpienia objawów dny moczanowej, ryzyko to jest tym większe, im wyższe jest stężenie kwasu moczowego w surowicy. Spośród osób wykazujących to zaburzenie, zachorowanie na dnę następuje u około 15% chorych.

Dna moczanowa jest zespołem objawów spowodowanych reakcją zapalną na obecność kryształów moczanu sodu w płynie stawowym i/lub w tkankach. Najczęstszym umiejscowieniem zmian są stawy. Dnę, zależnie do czynników wywołujących hiperurykemię (prowadzącą do wystąpienia dny moczanowej), dzieli się na pierwotną i wtórną. W jej przebiegu wyróżnia się 4 okresy: bezobjawowej hiperurykემii, napadów dny, międzynaapadowe, dny przewlekłej. Zapalenia stawów wywołanych przez kryształy należą do stosunkowo częstych chorób układu ruchu. Ich częstość rośnie z uwagi na proces starzenia się społeczeństwa oraz nieprawidłowe nawyki żywieniowe.

Dna jest najczęstszą chorobą zapalną stawów u mężczyzn powyżej 40 r.ż. U kobiet pojawia się przeważnie w okresie po menopauzie. Rozbieżności w danych epidemiologicznych powodują, iż trudno określić częstość występowania dny. Średnio w ogólnej populacji światowej chorują na nią około 5-28/1000 mężczyzn i 1-6/1000 kobiet.

Leczenie dny polega na zapobieganiu hiperurykემii i jej redukcji, następnie na opanowaniu objawów klinicznych spowodowanych przez kryształy moczanu w poszczególnych układach i narządach. Optymalne leczenie dny powinno obejmować zarówno farmakoterapię, jak i metody nefarmakologiczne. Zalecenia ogólne to: zmniejszenie masy ciała u osób otyłych; dieta ubogopurynowa; unikanie picia alkoholu i palenia tytoniu; hiperurykemia bezobjawowa stanowi wskazanie dla leczenia farmakologicznego allopurynolem. Leczenie farmakologiczne napadu dny polega na podawaniu kolchicyny, niesteroidowych leków przeciwzapalnych (NSLPZ) oraz glikokortykosteroidów (GKS). Z kolei leczenie dny przewlekłej obejmuje zapobieganie napadom (między innymi poprzez unikanie napojów alkoholowych) oraz stosowanie leków zmniejszających stężenie kwasu moczowego w osoczu – benzbromaron, allopurynol. Ważna jest także odpowiednia edukacja chorych dotycząca konieczności obniżenia masy ciała u osób otyłych, właściwej diety, unikania alkoholu, także palenia tytoniu.

#### **Opis wnioskowanego świadczenia**

Adenuric® (febuksostat), kod ATC: M04AA03 (grupa farmakoterapeutyczna: leki hamujące wytwarzanie kwasu moczowego), jest pochodną 2-aryltiazolu i osiąga swoje działanie terapeutyczne polegające na zmniejszeniu stężenia kwasu moczowego w surowicy krwi poprzez selektywne hamowanie XO. Febuksostat to silny, niepurynowy selektywny inhibitor XO (NP-SIXO) z wartością hamowania  $K_i$  in vitro poniżej jednego nanomola. Wykazano, że febuksostat silnie hamuje zarówno utlenione, jak i zredukowane postacie XO. W stężeniach terapeutycznych febuksostat nie hamuje innych enzymów biorących udział w metabolizmie puryny lub pirymidyny, mianowicie deaminazy guaniny, fosforybozylotransferazy hipoksantynowo-guaninowej, fosforybozylotransferazy orotanowej, dekarboksylazy monofosforanu orotydydny lub fosforylaza nukleozydów purynowych.

Zalecana doustna dawka produktu Adenuric® to 80 mg raz na dobę, niezależnie od spożycia posiłku. Jeśli po 2-4 tygodniach leczenia stężenie kwasu moczowego w surowicy krwi jest  $> 6$  mg/dl (357  $\mu$ mol/l), można rozważyć zastosowanie produktu w dawce 120 mg raz na dobę. Działanie produktu

jest na tyle szybkie, że umożliwia kontrolę stężenia kwasu moczowego w surowicy po 2 tygodniach. Celem terapeutycznym jest zmniejszenie i utrzymanie stężenia kwasu moczowego w surowicy krwi na poziomie poniżej 6 mg/dl (357  $\mu$ mol/l). Zaleca się profilaktykę przeciw zaostrzeniom dny moczanowej przez co najmniej 6 miesięcy.

Produkt Adenuric<sup>®</sup> został dopuszczony do obrotu w Polsce w 2008 roku, we wskazaniu: leczenie przewlekłej hiperurykემii w chorobach, w których wystąpiło już odkładanie się złogów moczanowych (w tym guzki dnawe i (lub) zapalenie stawów dnawe czynne lub w wywiadzie).

#### **Alternatywne świadczenie**

Zgodnie z wytycznymi praktyki klinicznej i opiniami ekspertów klinicznych lekami stosowanymi w terapii zmniejszenia stężenia kwasu moczowego w osoczu są: benzbromaron, probenecyd, sulfipyrazon, (nie zarejestrowane w Polsce) fenofibrat, losartan (wskazane w leczeniu nadciśnienia tętniczego, wykazują umiarkowane działanie moczopędne) oraz inhibitory oksydazy ksantynowej (allopuryinol).

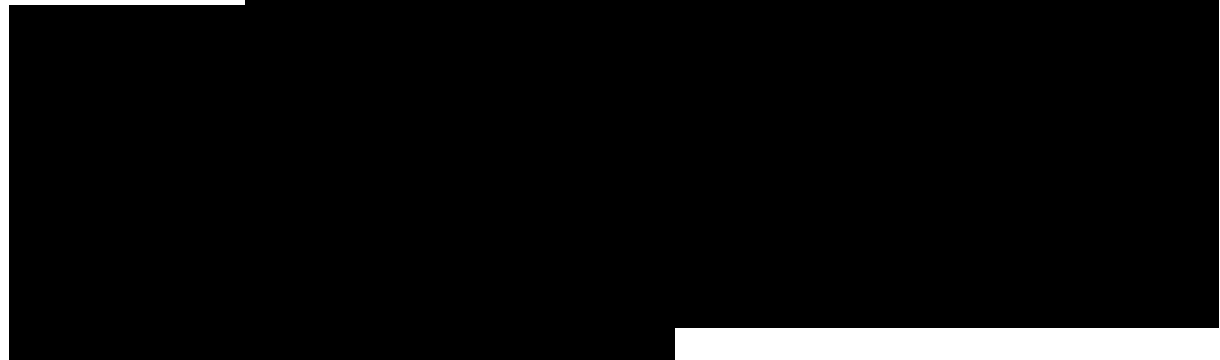
Obecnie w Polsce lekiem o zarejestrowanym wskazaniu, takim jak febuksostat jest allopuryinol, stosowany m.in. w profilaktyce dny moczanowej (zapobieganie ostrym napadom) oraz w dnawym zapaleniu stawów. Allopuryinol podobnie jak febuksostat należy do tej samej grupy farmakoterapeutycznej (ATC) tj. leków hamujących wytwarzanie kwasu moczowego. Oba leki należą do grupy inhibitorów oksydazy ksantynowej. Ich mechanizm działania polega na hamowaniu przemiany kwasu moczowego poprzez blokowanie aktywności oksydazy ksantynowej, utleniającej hipoksantynę do ksantyny, a następnie ksantynę do kwasu moczowego.

#### **Skuteczność kliniczna**

Do analizy klinicznej (przeglądu systematycznego) przedstawionej przez podmiot odpowiedzialny



Metaanaliza trzech



W badaniach



Zaostrzenie dny moczanowej oceniano w dwóch przedziałach czasowych



Procentowa redukcja wielkości guzków dna wyciętych [REDAKTOWANE]

W analizie przedstawionej przez wnioskodawcę nie wskazano dowodów naukowych skuteczności praktycznej wnioskowanego leku.

**Bezpieczeństwo stosowania**

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

**Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Analiza ekonomiczna, [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]



Przedstawiono zestawienie kosztów i konsekwencji, w którym oceniane koszty obejmowały [REDAKTOWANO]. Zgodnie z przedstawionymi wynikami, z perspektywy wspólnej płatników całkowity koszt leczenia [REDAKTOWANO]. Największą część kosztów całkowitych dla schematu [REDAKTOWANO].

Na podstawie wyników analizy kosztów-użyteczność wykazano, że [REDAKTOWANO]. Inkrementalny współczynnik koszty-użyteczność (ICUR), wyrażający koszt zyskania jednego dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość (QALY) przy zastosowaniu leczenia z udziałem [REDAKTOWANO] (perspektywa wspólna płatników).

Jednokierunkowa analiza wrażliwości dla porównania [REDAKTOWANO] wykazała, że z perspektywy NFZ oraz perspektywy społecznej terapia [REDAKTOWANO]. Zgodnie z przedstawionymi wynikami koszt QALY przy zastąpieniu [REDAKTOWANO] odpowiednio dla dawek [REDAKTOWANO] z perspektywy NFZ oraz [REDAKTOWANO] z perspektywy społecznej.

Ponadto dla obu porównań, w ramach analizy wrażliwości przeprowadzono również analizę scenariuszy skrajnych. Rozważono wpływ jednoczesnej zmiany krytycznych wartości parametrów modelu, przy których następuje zmniejszenie (scenariusz minimalny) oraz zwiększenie (scenariusz maksymalny) wartości kosztu inkrementalnego. Zarówno w przypadku scenariusza optymistycznego, jak i pesymistycznego dla populacji pacjentów z przewlekłą hiperurykemią, [REDAKTOWANO]. Koszt zyskania QALY [REDAKTOWANO] wynosi odpowiednio dla [REDAKTOWANO] dla scenariusza optymistycznego oraz [REDAKTOWANO] dla scenariusza pesymistycznego (perspektywa wspólna płatników).

#### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Przedstawiona przez wnioskodawcę analiza wpływu na budżet została przeprowadzona z perspektywy NFZ dla 2-letniego horyzontu czasowego. Analiza miała na celu oszacowanie skutków finansowych dla budżetu NFZ [REDAKTOWANO].

Założono i analizowano dwa scenariusze [REDAKTOWANO]. Oszacowania przedstawione przez podmiot odpowiedzialny w analizie wpływu na budżet [REDAKTOWANO].

#### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianego świadczenia**

Agencja dokonała przeglądu rekomendacji postępowania klinicznego w przedmiotowym wskazaniu, a także rekomendacji dotyczących finansowania wnioskowanego leku ze środków publicznych w innych krajach. Odnaleziono 3 wytyczne postępowania klinicznego oraz 3 rekomendacje finansowe.

W świetle odnalezionych wytycznych klinicznych, febuksostat stanowi opcję terapeutyczną dla allopurynolu. Tym samym kluczowa wydaje się indywidualizacja ocenianego preparatu w leczeniu hiperurykემii u pacjentów z dną moczanową. W rekomendacjach NICE (2011) febuksostat jest zalecany do stosowania u pacjentów z dną moczanową, którzy nie tolerują allopurynolu bądź, dla których allopurynol jest przeciwwskazany. Wytyczne Prescrire (2011, 2010) wskazują na silniejsze efekty hiperurykemiczne febuksostatu w porównaniu do allopurynolu, przy braku większego spadku częstości występowania napadów dny moczanowej. Ponadto w początkowym okresie leczenia febuksostat ujawnił większe ryzyko wystąpienia dny moczanowej niż allopurynol w umiarkowanych

dawkach. Dodatkowo ryzyko zaburzeń serca lub wątroby wydaje się większe w przypadku leczenia febeksostatem. Zgodnie z wytycznymi dotyczącymi diagnostyki i leczenia dny moczanowej, opracowanymi przez European League Against Rheumatism – EULAR (2006) allopuryinol jest uznany za odpowiedni lek do długofalowego zmniejszania stężenia kwasu moczowego w osoczu.

Odnalezione rekomendacje finansowe wobec finansowania ocenianej opcji terapeutycznej są pozytywne. Brytyjski NICE (2011) oraz francuskie HAS (2009) rekomendują finansowanie preparatu febeksostat w leczeniu przewlekłej hiperurykemii u pacjentów, u których nastąpiło odkładanie moczanów (guzki dnawe lub/i dna moczanowa). Z kolei szkocki SMC (2010) rekomenduje finansowanie preparatu febeksostat w wyżej wymienionym wskazaniu, w sytuacji gdy leczenie allopurynolem jest niewystarczające, nietolerowane lub przeciwwskazane.

.....  
.....  
[Redacted signature block]

**Tryb wydania opinii**

Uzasadnienie dodano na prośbę Ministra Zdrowia z dnia 23.05.2012 r., w trybie uzgodnionym z Ministerstwem Zdrowia.