Protokół nr 21/2012
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 3 września 2012 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

[redacted]

[redacted]

[redacted]

1. [redacted] (udział od pkt. 4 obrad)

[redacted]

[redacted]

3. [redacted] (udział do prezentacji analityka w pkt 9)

[redacted]

Nieobecni na posiedzeniu członkowie Rady:

[redacted]

[redacted]

Pracownicy Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM):

[redacted]

[redacted]

[redacted](Dział Raportów i Oceny Raportów w Wydziale Oceny Technologii Medycznych – OT)

[redacted]

[redacted]

[redacted](Dział Programów Zdrowotnych w OT)

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

[redacted](Dział Programów Zdrowotnych w OT)

[redacted]

[redacted]

[redacted](Dział Weryfikacji Technologii Medycznych w Wydziale ds. Systemów Ochrony Zdrowia – DS)

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

[redacted](Dział Weryfikacji Technologii Medycznych w DS)

[redacted]

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

[redacted]

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

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

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

[redacted](Dział Rekomendacji w BP)

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

[redacted]

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 Xgeva (denosumab) we wskazaniu: zapobieganie powikłaniom kostnym (SRE) u pacjentów z rakiem gruczołu krokowego z przerzutami do kości.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Volibris (ambrisentan) we wskazaniu: leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) ambrisentanem.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Forsteo (teryparatyd) we wskazaniu leczenie osteoporozy indukowanej glikokortykosteroidami ze złamaniem patologicznym (ICD-10 M80.4).
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Recombinate (octocog alfa) we wskazaniu: zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B.
8. Przygotowanie opinii o projekcie programu zdrowotnego „Monitorowanie stanu zdrowia jamy ustnej populacji polskiej w latach 2013-2015".
9. Przygotowanie opinii o projekcie programu zdrowotnego „Terapia przeciwobrzękowa dla kobiet po mastektomii na lata 2012-2015".
10. Przygotowanie opinii o projektach programów zdrowotnych:
    1) „Profilaktyka i wczesne wykrywanie zaburzeń ośrodkowej koordynacji nerwowej u dzieci oraz terapia dzieci z zaburzeniami rozwojowymi",
    2) „Kompleksowa rehabilitacja i terapia dzieci niepełnosprawnych z terenu Miasta Radlina",
    3) „Gminny program zdrowotny kompleksowa terapia i rehabilitacja dzieci i młodzieży niepełnosprawnej z terenu gminy Kietrz",
    4) „Program zdrowotny Gminy Lubomia na lata 2012 - 2016 - kompleksowa rehabilitacja i terapia dzieci niepełnosprawnych z terenu gminy Lubomia".
11. Zamknięcie posiedzenia.

Ad.1. Posiedzenie o godzinie 10:30 otworzył [redacted].

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

Ad.3. Konflikt interesów dotyczący firm Bayer i Amgen [redacted], który w wyniku głosowania (6 głosów przeciwnych wyłączeniu) nie został wyłączony z prac i głosowania nad tematem objętym 4 punktem porządku obrad.

Ad.4. [redacted], na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-OT-4350-7/2012 „Wniosek o objęcie refundacją leku XGEVA (denosumab) we wskazaniu: zapobieganie powikłaniom kostnym (SRE) u pacjentów z rakiem gruczołu krokowego z przerzutami do kości".

Następnie projekt stanowiska przedstawił, wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie, członek Rady [redacted].

Z powodu dwukrotnej nieudanej próby połączenia nie została przeprowadzona telekonferencja z ekspertem – [redacted].

Po przeprowadzeniu dyskusji, w wyniku głosowania: 5 głosów za, 3 głosy przeciw, Rada przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik nr 2 do protokołu.

Ad.5. [redacted], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-OT-4351-3/2012 „Wniosek o objęcie refundacją leków: 1) Volibris (ambrisentan), 10 mg, tabl. powl., 30 tabl, kod EAN 5909990643189 2) Volibris (ambrisentan), 5 mg, tabl. powl., 30 tabl, kod EAN 5909990643165 w ramach programu lekowego: Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) ambrisentanem (ICD-10 I27, I27.0)".

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

Następnie przeprowadzona została telekonferencja z ekspertem – [redacted].

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada przyjęła uchwały, będące jej stanowiskami:

1) w wyniku głosowania: 8 głosów za, 0 głosy przeciw, która stanowi załącznik nr 3 do protokołu,
2) w wyniku głosowania: 8 głosów za, 0 głosy przeciw, która stanowi załącznik nr 4 do protokołu.

Ad.6. [redacted], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-DS-433-9/2012 „Wniosek o objęcie refundacją leku Forsteo (teryparatyd) we wskazaniu: leczenie osteoporozy spowodowanej długotrwałym stosowaniem glikokortykosteroidów u pacjentów z wysokim ryzykiem złamań".

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

Po przeprowadzeniu dyskusji, w wyniku głosowania: 8 głosów za, 0 głosów przeciw, Rada przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik nr 5 do protokołu.

Ad.7. [redacted], na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-OT-4351-6/2012 „Wniosek o objęcie refundacją leku Recombinate (octocog alfa) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"".

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

W dalszej kolejności przeprowadzona została telekonferencja z ekspertem – [redacted].

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada jednogłośnie (8 głosami za przy 0 głosów przeciw) postanowiła wydać w jednym głosowaniu stanowiska dla wszystkich wnioskowanych produktów leczniczych Recombinate (octocog alfa), tj. Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990083398; Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990736997; Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990083350; Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990736980; Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990083343; Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990736973.

W wyniku podjętej wcześniej uchwały, Rada 8 głosami za, przy 0 głosach przeciw, przyjęła w drodze jednej uchwały, stanowiącej załącznik nr 6 do protokołu, treść stanowisk dla każdego z produktów leczniczych Recombinate (octocog alfa), o których mowa wyżej.

Ad.8. [redacted], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-OT-440-2/2012 „Monitorowanie stanu zdrowia jamy ustnej populacji polskiej w latach 2013-2015".

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

Po przeprowadzeniu dyskusji, w wyniku głosowania: 8 głosów za, 0 głosów przeciw, Rada przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 7 do protokołu.

Ad.9. [redacted], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-OT-441-26/2012 „Terapia przeciwobrzękowa dla kobiet po mastektomii na lata 2012 – 2015".

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

W wyniku głosowania: 7 głosów za, 0 głos przeciw, Rada przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 8 do protokołu.

Ad.10.1. [redacted], na podstawie prezentacji, przedstawiła informacje dotyczące projektu programu zdrowotnego z Raportu nr: AOTM-OT-441-158/2011 „Profilaktyka i wczesne wykrywanie zaburzeń ośrodkowej koordynacji nerwowej u dzieci oraz terapia dzieci z zaburzeniami rozwojowymi" realizowany przez Gminę Polkowice.

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

W dalszej kolejności Rada przyjęła w wyniku głosowania: 7 głosów za, 0 głosów przeciw uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 9 do protokołu.

2. [redacted], na podstawie prezentacji, przedstawiła informacje dotyczące projektu programu zdrowotnego z Raportu nr: AOTM-OT-441-122/2012 „Kompleksowa rehabilitacja i terapia dzieci niepełnosprawnych z terenu Miasta Radlina".

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

W dalszej kolejności Rada przyjęła w wyniku głosowania: 7 głosów za, 0 głosów przeciw uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 10 do protokołu.

3. [redacted], na podstawie prezentacji, przedstawiła informacje dotyczące projektu programu zdrowotnego z Raportu nr: AOTM-OT-441-141/2012 „Kompleksowa terapia i rehabilitacja dzieci i młodzieży niepełnosprawnej z terenu gminy Kietrz".

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

W dalszej kolejności Rada przyjęła w wyniku głosowania: 7 głosów za, 0 głosów przeciw uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 11 do protokołu.

4. [redacted], na podstawie prezentacji, przedstawiła informacje dotyczące projektu programu zdrowotnego z Raportu nr: AOTM-OT-441-173/2012 „Program zdrowotny Gminy Lubomia na lata 2012 - 2016 – Kompleksowa rehabilitacja i terapia dzieci niepełnosprawnych z terenu gminy Lubomia".

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

W dalszej kolejności Rada przyjęła w wyniku głosowania: 7 głosów za, 0 głosów przeciw uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 12 do protokołu.

Decyzją prowadzącego posiedzenie, w tym miejscu dokonano losowania składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 24 września br.

Ad.11. Prowadzący posiedzenie [redacted] zakończył posiedzenie Rady o godzinie 15:05.

Protokół zatwierdził prowadzący posiedzenie:

…….

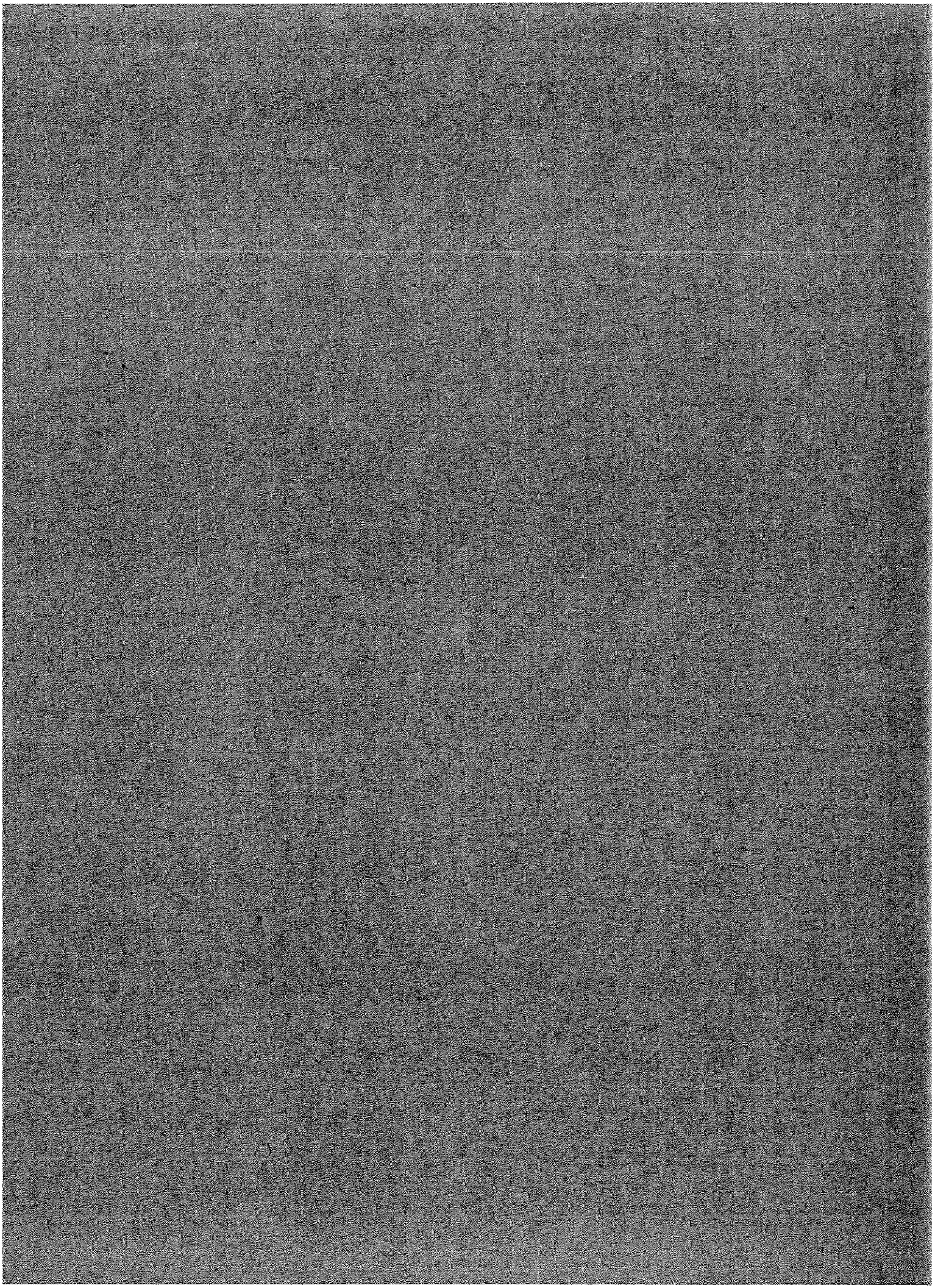
[redacted]

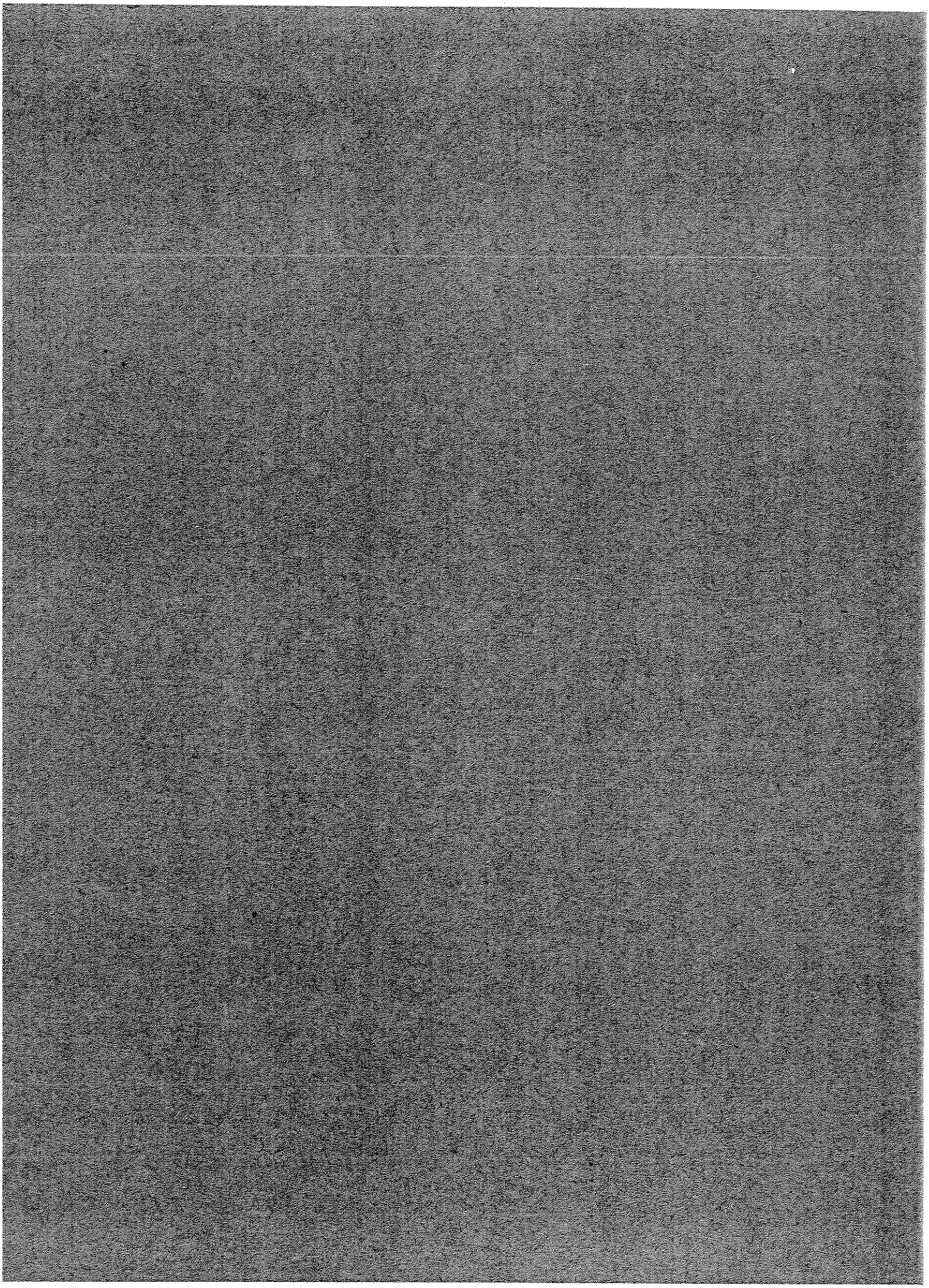
LISTA OBECNOŚCI

Posiedzenie Rady Przejrzystości nr 21/2012

dnia 3 września 2012 r.

Lp.	Imię i nazwisko	





Stanowisko Rady Przejrzystości nr 38/2012 z dnia 25 czerwca 2012 r. w sprawie usunięcia z wykazu świadczeń gwarantowanych realizowanych w ramach chemioterapii niestandardowej lub dokonania zmiany sposobu finansowania świadczenia gwarantowanego „denosumab we wskazaniu: zapobieganie powikłaniom kostnym (złamania patologiczne, konieczność napromieniania kości, ucisk rdzenia kręgowego lub konieczność wykonywania zabiegów operacyjnych kości) u dorosłych z przerzutami guzów litych do kości"

Rada Przejrzystości uważa za zasadne usunięcie z wykazu świadczeń gwarantowanych realizowanych w ramach chemioterapii niestandardowej świadczenia gwarantowanego „denosumab we wskazaniu: zapobieganie powikłaniom kostnym (złamania patologiczne, konieczność napromieniania kości, ucisk rdzenia kręgowego lub konieczność wykonywania zabiegów operacyjnych kości) u dorosłych z przerzutami guzów litych do kości".

Uzasadnienie

W badaniach klinicznych porównujących skuteczność denosumabu do kwasu zoledronowego nie potwierdzono możliwości znamiennego wydłużenia czasu przeżycia oraz korzystnego wpływu na jakość życia chorych. Dowody na większą skuteczność denosumabu w porównaniu do kwasu zoledronowego w odniesieniu do redukcji bólu i poprawy jakości życia są niejednoznaczne. Dostępne badania dotyczą głównie porównania denosumabu z kwasem zoledronowym, brak jest jednak badań porównujących skuteczność tego leku do kwasu pamidronowego, który jest najczęściej stosowaną technologią medyczną w Polsce w tym wskazaniu. Zdaniem Rady utrudnia to rzetelną ocenę efektywności kosztowej stosowania denosumabu w Polsce.

Przedmiot zlecenia

Problem decyzyjny dotyczy przygotowania rekomendacji Prezesa AOTM na zasadzie art. 31e ust.2 ustawy z dnia 24 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027, z póz. zm.) w przedmiocie usunięcia lub dokonania zmiany sposobu finansowania świadczenia opieki zdrowotnej obejmującego podanie denosumabu w zapobieganiu powikłaniom kostnym (złamania patologiczne, konieczność napromieniania kości, ucisk rdzenia kręgowego lub konieczność wykonywania zabiegów operacyjnych kości) u dorosłych z przerzutami guzów litych do kości.

W związku z korespondencją pomiędzy Agencją a podmiotem odpowiedzialnym, w trakcie której ustalono, iż przedstawienie analiz w ww. wskazaniu przez podmiot odpowiedzialny nie będzie możliwe w wyznaczonym terminie, wystąpiono do Ministra Zdrowia z prośbą o akceptację przeprowadzenia przez AOTM oceny skróconej, zawierającej analizę efektywności klinicznej, analizę bezpieczeństwa, przeprowadzoną w oparciu o wyniki odnalezionych opracowań wtórnych, przegląd opublikowanych analiz ekonomicznych, rekomendacje kliniczne i finansowe, stanowiska eksperckie oraz dane NFZ, dotyczące wielkości populacji i finansowania przedmiotowych technologii medycznych w latach 2010-2011. Minister Zdrowia wyraził zgodę na zaproponowany sposób realizacji zlecenia.

Równocześnie w Agencji oceniany jest wniosek o objęcie refundacją produktu leczniczego Xgeva (denosumab), 120 mg w 1,7 ml roztworu do wstrzykiwań, we wskazaniu: zapobieganie powikłaniom kostnym (SRE) u pacjentów z rakiem gruczołu krokowego z przerzutami do kości.

Problem zdrowotny

Rak jest główną przyczyną śmierci kobiet i drugą najczęstszą przyczyną zgonów mężczyzn. Spośród wszystkich nowotworów największą liczbą zgonów charakteryzują się: rak piersi, prostaty, płuc i jelita grubego. W większości przypadków śmierć nie jest spowodowana przez guz pierwotny, ale przez przerzuty lub powikłania. Prawie każdy nowotwór charakteryzuje się przerzutami w struktury kostne, z czego rak piersi, prostaty, płuc, pęcherza moczowego, tarczycy i nerki rozprzestrzenia się najczęściej. Rak niszczy architekturę kości, osłabiając jej strukturę. Zajęcie kości przez nowotwór może powodować silne bóle kości, złamania patologiczne lub ucisk rdzenia kręgowego, co jeszcze bardziej zmniejsza jakość życia pacjenta. Zabiegi, które mają na celu łagodzenie, zapobieganie lub opóźnianie tego zdarzenia, dają możliwość poprawy jakości życia pacjenta.

Niezależnie od patogenezy ważnymi klinicznie zdarzeniami kostnymi w przebiegu nowotworów są: złamania patologiczne kręgów lub innych kości, ucisk na rdzeń kręgowy w następstwie złamania kręgu, hiperkalcemia; wystąpienie konieczności stosowania leczenia chirurgicznego lub radioterapii z powodu klinicznych zmian w kościach.

Zajęcie układu kostnego w przebiegu złośliwych nowotworów dotyczy przynajmniej 50% wszystkich chorych. Zmiany kostne najczęściej wstępują u chorych na szpiczaka plazmocytowego (80–100%), raka gruczołu krokowego (70–75%), raka piersi (65–75%), raka tarczycy (50%), raka płuca (30–40%), czerniaka (15–40%) i raka nerki (20–25%).

W leczeniu zaburzeń metabolizmu kostnego stosuje się leki antyresorpcyjne (bifosfoniany) oraz przeciwciało monoklonalne (denosumab) skierowane przeciwko RANKL (ligand receptora aktywującego czynnik jądrowy κB).

Opis ocenianego świadczenia i sposób jego finansowania

Denosumab (XGEVA®; kod ATC: M05BX04, inne leki wpływające na strukturę i mineralizację kości), jest ludzkim przeciwciałem monoklonalnym uniemożliwiającym dojrzewanie, funkcjonowanie i przeżycie osteoklastów. Przeciwciało skierowane jest przeciwko RANKL (ligandowi receptora aktywującego czynnik jądrowy κB) i wiąże się z tą cząsteczką z dużym powinowactwem i swoistością. Zapobiega to aktywacji RANK na powierzchni osteoklastów i prekursorów osteoklastów. To działanie uniemożliwia interakcje RANKL/RANK na ich powierzchni, co zmniejsza resorpcję kości.

Wskazania rejestracyjne obejmują zapobieganie SRE (złamaniom patologicznym, radioterapii kości, uciskowi rdzenia kręgowego, zabiegowi chirurgicznemu kości) u dorosłych pacjentów z guzami litymi, u których występują przerzuty do kości.

Zalecana dawka denosumabu to 120 mg. Lek podawany jest podskórnie co 4 tygodnie w udo, brzuch lub tylną część ramienia. Konieczna jest suplementacja wapnia (500 mg) i witaminy D (400 IU), chyba że występuje hiperkalcemia.

Denosumab w zapobieganiu powikłaniom kostnym (kości zgodnie z rejestracją) u dorosłych z przerzutami guzów litych do kości jest finansowany ze środków publicznych na podstawie rozporządzeń Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu programów

zdrowotnych. W zakresie kontraktowania świadczeń przez NFZ denosumab jest finansowany w umowie w rodzaju „leczenie szpitalne" w zakresie „pogramy terapeutyczne", w ramach programu chemioterapii niestandardowej zgodnie z Zarządzeniem Nr 28/2012/DGL Prezesa NFZ z dnia 10 maja 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie terapeutyczne programy zdrowotne.

Alternatywne świadczenia

Na podstawie opinii ekspertów i rekomendacji klinicznych komparatorami dla denosumabu w rozpatrywanym wskazaniu są finansowane w Polsce ze środków publicznych bisfosfoniany (kwas zoledronowy, kwas klodronowy, kwas pamidronowy). Finansowanie obejmuje: nowotwory złośliwe - przerzuty osteolityczne w chorobach nowotworowych, poziom odpłatności pacjenta: ryczałt. Bisfosfoniany znajdują się w grupie limitowej „146.2, Leki stosowane w chorobach kości - bisfosfoniany do podawania pozajelitowego – kwas pamidronowy" i „146.1, Leki stosowane w chorobach kości - bisfosfoniany doustne - kwas klodronowy".

Skuteczność kliniczna

Analizę wykonano w oparciu o przegląd systematyczny badań klinicznych i opracowań wtórnych, do którego – w części dotyczącej oceny skuteczności – włączano 3 badania z randomizacją:

- 1 RCT III fazy, podwójnie zaślepione, wieloośrodkowe (322 ośrodki), porównujące denosumab z kwasem zoledronowym w leczeniu pacjentów z przerzutowym rakiem piersi do kości – łącznie badano 2046 pacjentów (*Stopeck 2010*);
- 1 RCT III fazy, podwójnie zaślepione, wieloośrodkowe, dwuramienne badanie porównujące denosumab z kwasem zoledronowym w leczeniu pacjentów z opornym na kastrację rakiem prostaty, którzy nie przyjmowali wcześniej bisfosfonianów w postaci dożylnej – łącznie badano 1901 pacjentów (*Fizazi 2011*);
- 1 RCT III fazy, podwójnie zaślepione, wieloośrodkowe, porównujące denosumab z kwasem zoledronowym w leczeniu pacjentów z zaawansowanymi guzami litymi z przerzutami do kości (z wyłączeniem raka piersi i raka prostaty) lub szpiczakiem mnogim – łącznie badano 1776 pacjentów (*Henry 2011*).

Ocenianie efekty zdrowotne obejmowały: czas do pierwszego SRE (powikłania kostnego), czas do pierwszego i kolejnych SRE, pierwsze SRE lub HCM (hiperkalcemia nowotworowa), pierwsze napromienianie kości, okres czasu do złagodzenia bólu, czas do progresji choroby w kościach, czas przeżycia całkowitego.

Denosumab był istotnie statystycznie (i.s.) skuteczniejszy od kwasu zoledronowego w opóźnianiu lub zapobieganiu SRE:

- Denosumab i.s. zmniejszał ryzyko wystąpienia pierwszego SRE o 18% [HR= 0,82 (95%CI: 0,71; 0,95)] – *Stopeck 2010*, [HR= 0,84 (95%CI: 0,71; 0,98)] – *Fizazi 2011*;
- Denosumab i.s. zmniejszał ryzyko wystąpienia pierwszego i późniejszych stadiów SRE o 23% [HR= 0,77 (95%CI: 0,66; 0,89)] – *Stopeck 2010*, 18% [RR= 0,82 (95%CI: 0,71; 0,94)] – *Henry 2011*;
- Denosumab i.s. zmniejszał ryzyko potrzeby pierwszego napromieniania kości o 26% [HR=0,74 (95%CI: 0,59; 0,94)] – *Stopeck 2010*, 22% [HR=0,78 (95% CI: 0,63; 0,97)] – *Fizazi 2011* i 22% [HR=0,78 (95% CI: 0,66; 0,94)] – *Henry 2011*.
- Denosumab i.s. zmniejsza ryzyko wystąpienia SRE lub HCM o 18% [HR=0,82 (95%CI: 0,70; 0,95)] – *Stopeck 2010*, 17% [HR=0,83 (95%CI: 0,71; 0,97)] – *Fizazi 2011* i 17% [HR=00,83 (95%CI: 0,72; 0,96)] – *Henry 2011*.

Nie zaobserwowano i.s. różnic w czasie do progresji choroby ani w całkowitym czasie przeżycia dla porównania denosumabu z kwasem zoledronowym w żadnym z trzech analizowanych badań. Okres czasu do złagodzenia bólu (definiowanego jako zmniejszenie o ≥ 2 punkty względem wartości

początkowej wyniku najgorszego odczuwanego bólu w skali BPI-SF) był podobny dla denosumabu i kwasu zoledronowego w każdym z 3 badań.

Dodatkowo do analizy klinicznej włączono 4 opracowania wtórne (*Lipton A et al. 2011, Wong MHF et al. 2012, Australian Public Assessment Report for Denosumab 2011, Ford J et al. 2011*) – w porównaniu z kwasem zoledronowym, denosumab i.s.: opóźniał czas do: 1 napromieniowania kości, potrzeby zabiegu chirurgicznego kości i złamań patologicznych; wydłużał czas do pierwszego SRE lub HCM; zmniejszał SMR (zapadalność na powikłania kostne); zmniejszał częstość występowania ucisku rdzenia kręgowego w następstwie złamania kręgu.

Bezpieczeństwo stosowania

W niniejszej analizie ocenę bezpieczeństwa wykonano na podstawie badań z randomizacją oraz opracowań wtórnych włączonych do analizy skuteczności. Dodatkowe źródło stanowiła ChPL.

W obu analizowanych grupach (odpowiednio dla denosumabu i kwasu zoledronowego) spośród wszystkich działań niepożądanych najczęściej pojawiały się: nudności (30,8%, 31,6%), niedokrwistość (27,1%, 30,3%), zmęczenie (27,1%, 27,0%), ból pleców (25,3%, 26,3%), zmniejszenie apetytu (23,1%, 24,5%), osłabienie (21,4%, 21,9%), zaparcia (21,2%, 23,6%), duszność (20,6%, 17,9%), biegunka (20,3%, 18,7%), bóle stawów (20,1%, 22,3%), ból kości (19,9%, 22,5%) i wymioty (19,9%, 20,1%).

Podsumowując gorączka, niedokrwistość, bóle kości, zaparcia, bóle stawów i dreszcze występowały częściej w grupie leczonej kwasem zoledronowym niż w grupie leczonej denosumabem. Z kolei hipokalcemia, martwica kości szczęki i duszność występowały częściej w grupie leczonej denosumabem niż w grupie leczonej kwasem zoledronowym. Natomiast częstość występowania działań niepożądanych ogółem była podobna w obu analizowanych grupach.

Zgodnie z ChPL wśród działań niepożądanych (związanych z podaniem denosumabu) występujących często należy wyróżnić: hipokalcemię i hipofosfatemię, ekstrakcję zęba, nadmierną potliwość, martwicę kości szczęki, z kolei wśród działań niepożądanych występujących bardzo często: duszność i biegunkę.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Analizę ekonomiczną oparto na publikacji, w której oceniano pod względem efektywności kosztowej stosowanie denosumabu u mężczyzn z rakiem prostaty z przerzutami do kości (*Xie et al. 2011*). Ponadto część ekonomiczną raportu stanowią wyniki analizy ekonomicznej dołączonej do wniosku refundacyjnego dla Xgeva®, wyniki analiz finansowych zawartych w rekomendacjach międzynarodowych agencji HTA dotyczących finansowania denosumabu (PBAC, CDEC/CADTH, NCPE) oraz dane DGL NFZ.

- Analiza ekonomiczna dołączona do wniosku refundacyjnego dla produktu leczniczego Xgeva (denosumab), 120 mg w 1,7 ml roztworu do wstrzykiwań, we wskazaniu: zapobieganie powikłaniom kostnym (SRE) u pacjentów z rakiem gruczołu krokowego z przerzutami do kości:

Przeprowadzono analizę kosztów-użyteczności (CUA), w której porównano opłacalność denosumabu w zapobieganiu powikłaniom kostnym u pacjentów z rakiem gruczołu krokowego z przerzutami do kości z wybranymi opcjami terapeutycznymi dostępnymi w Polsce (klodronianem, kwasem zoledronowym i pamidronianem). Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) [redacted] Analizę przeprowadzono z użyciem modelu Markowa.

W Agencji jest aktualnie prowadzona ocena powyższego wniosku.

- Analiza ekonomiczna *Xie et al. 2011:*

W ramach tej analizy ekonomicznej porównano denosumab z kwasem zoledronowym w leczeniu pacjentów z hormonoopornym rakiem prostaty z przerzutami do kości. Przeprowadzono analizę kosztów-efektywności oraz analizę wrażliwości z perspektywy płatników w USA (ze względu na model

rezydualny, jaki obowiązuje w USA, może ich być wielu: publiczny/komercyjny/sam pacjent) w 3-letnim horyzoncie czasowym.

Na podstawie analizy kosztów-efektywności oszacowano, że uniknięcie SRE przy stosowaniu denosumabu w porównaniu z kwasem zoledronowym będzie wiązało się z dodatkowymi kosztami płatnika wynoszącymi $ 71 027 w 1 roku i $ 51 319 w 3 roku.

- Australia (PBAC) 2011

Wykonano dwie analizy ekonomiczne oddzielnie dla pacjentów z rakiem piersi i rakiem gruczołu krokowego. W obu zastosowano model Markowa, w którym uwzględniono trzy stany zdrowia pacjentów (żyje bez SRE i przyjmuje terapię, żyje z SRE i otrzymuje terapię oraz zgon). Przyjęto perspektywę płatnika publicznego i 10-letni horyzont czasowy.

Według autorów analiz terapia denosumabem jest dominująca nad terapią kwasem zoledronowym (denosumab okazał się skuteczniejszy i mniej kosztowny). Jednakże autorzy analizy zaznaczają, że wpływ na ostateczny wynik analizy ekonomicznej może mieć wyższy koszt podania kwasu zoledronowego w porównaniu z kosztem podania denosumabu. Uwzględniając najniższe koszty podania leku w ramach analizy wrażliwości, inkrementalny współczynnik kosztów efektywności (ICER) dla denosumabu kształtował się pomiędzy 100 i 200 tys. dolarów za rok życia skorygowanego o jakość (QALY), zarówno w leczeniu raka piersi, jak i raka prostaty.

- Kanada (CDEC / CADTH) 2011

Przeprowadzono CUA, w której porównano pod względem użyteczności kosztowej denosumab z kwasem zoledronowym oraz brakiem aktywnego leczenia u pacjentów z opornym na kastrację rakiem gruczołu krokowego z przerzutami do kości w 11-letnim horyzoncie czasowym. Przyjęto perspektywę płatnika publicznego.

Dodatkowy koszt za QALY dla denosumabu w porównaniu z brakiem leczenia w profilaktyce SRE u pacjentów z nieoperacyjnym rakiem prostaty oszacowano na $ 111 tys. Koszty nabycia leków są takie same dla denosumabu i kwasu zoledronowego ($ 7 tys. rocznie), jeżeli oba są podawane co cztery tygodnie.

Na podstawie analizy stwierdzono, że denosumab jest opcją opłacalną w porównaniu z kwasem zoledronowym w profilaktyce SRE u pacjentów z opornym na kastrację rakiem gruczołu krokowego. Opłacalność denosumabu w przypadku przerzutów innych guzów litych nie jest znana.

- Irlandia (NCPE) 2011

Przeprowadzono CUA, w której porównywano koszty stosowania denosumabu z kwasem zoledronowym w prewencji SRE u pacjentów z przerzutami do kości guzów litych (zwłaszcza raka piersi, prostaty i innych guzów litych z wyłączeniem szpiczaka mnogiego). Przyjęto 10-letni horyzont czasowy i perspektywę płatnika publicznego.

W ramach scenariusza podstawowego wykazano, że uniknięcie SRE przy stosowaniu denosumabu będzie wiązało się z dodatkowymi kosztami płatnika (ICER) wynoszącymi € 29 371/QALY (dla raka prostaty); € 14 626/QALY (dla raka piersi). W przypadku prewencji SRE u chorych z innymi nowotworami denosumab zdominował kwas zoledronowy.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Zgodnie z danymi DGL NFZ w Polsce denosumabem (Xgeva®) leczonych było około 59 pacjentów w 2011 roku i 133 pacjentów w 2012 roku (dane do kwietnia), a wartość wykonanych świadczeń wyniosła 214,8 tys. zł w 2011 roku i 767,6 tys. zł w 2012 roku (dane do kwietnia).

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianego świadczenia

W rekomendacjach praktyki klinicznej (*NCCN 2012, Prescrire 2012, ASCO 2011, PTOK/PUO 2011, EAU/PTU 2011, THP 2011, ESMO 2010*, międzynarodowy panel ekspercki 2007) denosumab obok bisfosfonianów jest wymieniany jako jedna z opcji terapeutycznych w zapobieganiu/opóźnianiu SRE (patologiczne złamanie kości, ucisk rdzenia kręgowego w następstwie złamania kręgu, konieczność

stosowania chirurgicznego leczenia lub napromieniania kości) u pacjentów z rakiem piersi, opornym na kastrację rakiem gruczołu krokowego oraz z rakiem płuca, u których występują przerzuty do kości.

Odnalezione przez Agencję zagraniczne rekomendacje dotyczące finansowania ze środków publicznych są w większości pozytywne wobec finansowania denosumabu u pacjentów z przerzutami raka piersi i prostaty oraz innych guzów litych do kości (Australia – *PBAC 2011*; Kanada – *CDEC/CADTH 2011*; Irlandia – *NCPE 2011*). Natomiast szkockie *SMC 2011* nie rekomenduje denosumabu w zapobieganiu SRE u dorosłych z przerzutami guzów litych do kości. Agencja powołuje się na NICE, który jest w trakcie opracowywania raportu oceniającego skuteczność denosumabu, i na czas jego wykonywania przyjmuje negatywną rekomendację.

Dodatkowa uwaga Rady

Rada proponuje poszerzoną ocenę efektywności klinicznej i kosztowej denosumabu z uwzględnieniem subpopulacji chorych odnoszących największą i najmniejszą korzyść ze stosowania leku.

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

.....
[redacted]

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31e ust. 2 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem opracowania Agencji Oceny Technologii Medycznych „Podanie denosumabu (Xgeva®) w zapobieganiu powikłaniom kostnym (złamania patologiczne, konieczność napromieniania kości, ucisk rdzenia kręgowego lub konieczność wykonywania zabiegów operacyjnych kości) u dorosłych z przerzutami guzów litych do kości", AOTM-OT-431-25/2011, czerwiec 2012 r.

Stanowisko Rady Przejrzystości nr 62/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie oceny leku Volibris (ambrisentan) we wskazaniu: leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) ambrisentanem (program lekowy).

Rada uważa za zasadne finansowanie produktu leczniczego Volibris (ambrisentan) we wskazaniu: leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) w ramach istniejącego programu lekowego. Rada rekomenduje utworzenie wspólnej grupy limitowej wraz z bozentanem. Rada akceptuje zaproponowany instrument dzielenia ryzyka.

Uzasadnienie

Wszystkie rekomendacje kliniczne wskazują, że ambrisentan (Volibris) jest wartościową opcję leczenia tętniczego nadciśnienia płucnego, ze względu na poprawę wydolności wysiłkowej, poprawę klasy czynnościowej wg NYHA/WHO, zmniejszenie nasilenia duszności wg skali Borga a także poprawę parametrów hemodynamicznych pacjentów. Stosowanie ambrisentanu (Volibris [redacted] z idiopatycznym lub w przebiegu choroby układowej tkanki łącznej nadciśnieniem tętniczym płucnym w III klasie czynnościowej, jest tak samo skuteczne a tańsze w odniesieniu do komparatora (bozentan). W odróżnieniu od bozentanu ambrisentan daje możliwość doboru dawki co pozwala na indywidualizację leczenia poprzez eskalację lub redukcję dobowej dawki terapeutycznej. Działania niepożądane ambrisentanu są na akceptowalnym poziomie.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją następujących dawek i opakowań produktu leczniczego:

- Volibris (ambrisentan), 10 mg, tabl. powl., 30 tabl, kod EAN 5909990643189
- Volibris (ambrisentan), 5 mg, tabl. powl., 30 tabl, kod EAN 5909990643165,

w ramach uzgodnionego projektu programu lekowego: Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) ambrisentanem (ICD-10 I27, I27.0). Lek stanowił już przedmiot prac AOTM. W ostatnim Stanowisku RK oraz Rekomendacji Prezesa Agencji zaopiniowano pozytywnie finansowanie ambrisentanu w leczeniu tętniczego nadciśnienia płucnego.

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Volibris (ambrisentan), 10 mg, tabl. powl., 30 tabl, kod EAN 5909990643189.

Problem zdrowotny

Tętnicze nadciśnienie płucne (PAH) jest stanem klinicznym cechującym się obecnością przedwłośniczkowego nadciśnienia płucnego przy braku innych przyczyn przedwłośniczkowego nadciśnienia. Charakteryzuje się identycznym, dla różnych postaci, obrazem zmian patologicznych w krążeniu płucnym – postępującym wzrostem oporu naczyń płucnych, które prowadzą do niewydolności prawokomorowej i przedwczesnego zgonu.

Nowsze dane epidemiologiczne z Francji pokazują, że tętnicze nadciśnienie płucne występuje u 15/mln dorosłych mieszkańców a zapadalność wynosi 2,4/mln/rok. W Polsce odpowiednie wskaźniki są o połowę mniejsze, ale należy się spodziewać ich wzrostu z powodu coraz większej świadomości wagi problemu i większej dostępności nowoczesnych leków przedłużających życie chorych z tętniczym nadciśnieniem płucnym. Wg informacji przedstawionych przez wnioskodawcę „Tętnicze nadciśnienie płucne jest uznane przez Komisję Europejską oraz odpowiednie instytucje zdrowotne w USA, Australii i Japonii za chorobę ultrarzadką „

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Grupa farmakoterapeutyczna: inne leki przeciwnadciśnieniowe, kod ATC: C02KX02.

Ambrisentan jest aktywnym po podaniu doustnym, należącym do klasy pochodnych kwasu propionowego, selektywnym antagonistą receptora endoteliny A (ETA). Endotelina odgrywa istotną rolę w patofizjologii PAH.

Alternatywne technologie medyczne

Alternatywne technolgie medyczne to stosowane i refundowane ze środków publicznych w leczeniu tętniczego nadciśnienia płucnego w Polsce: bozentan (Tacleer), iloprost (Ventavis), trepostynil (Remodulin) oraz syldenafil (Revatio) + iloprost (Ventavis). Wytyczne leczenia tętniczego nadciśnienia płucnego oraz opinie polskich ekspert klinicznych (praktyków) wskazują na poprawny wybór ww. komparatorów w analizie klinicznej.

Skuteczność kliniczna

Celem przeglądu systematycznego przedstawionego przez wnioskodawcę była ocena skuteczności klinicznej ambrisentanu stosowanego [redacted] u pacjentów z tętniczym nadciśnieniem płucnym w odniesieniu do komparatorów aktualnie finansowanych ze środków [redacted] u pacjentów z tętniczym nadciśnieniem płucnym (tj. bozentan, iloprost, trepostynil, duoterapia – syldenafil w skojarzeniu z iloprostem).

Do analizy skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa włączono: jedno nierandomizowane badanie kliniczne – McGoon 2009 dotyczące [redacted] tętniczego nadciśnienia płucnego, dwa randomizowane badania kliniczne ambrisentan vs placebo – ARIES-1, ARIES-2 (Galie 2008; Oudiz 2006), które przeprowadzono na populacji pacjentów [redacted] tętniczego nadciśnienia płucnego oraz badania zakwalifikowane do przeprowadzenia porównań pośrednich BRATHE -1 (Rubin 2002); Channick 2001 (Channick 2001; Badesch 2002); AIR (Olschewski 2002) oraz Simmoneau 2002.

W publikacji McGoon 2009 odnotowano istotnie statystycznie wyniki w porównaniu z wartościami początkowymi w zakresie zmiany wydolności wysiłkowej mierzonej za pomocą testu 6-MWD, zmiany nasilenia duszności w skali Borga oraz poprawie jakości życia chorych ocenianej za pomocą kwestionariusza SF-36.

Należy podkreślić, iż było to jedyne badanie które odpowiadało ściśle zdefiniowanemu problemowi decyzyjnemu jakim było leczenie pacjentów [redacted] nadciśnienia płucnego. Do najważniejszych ograniczeń metodologicznych ww. badania należały: brak grupy kontrolnej oraz randomizacji, niewielka i ograniczona populacja pacjentów co rzutowało na niską jakość otrzymanych wyników.

Badania III fazy o akronimach ARIES-1 i ARIES-2 dotyczące zastosowania ambrisentanu w [redacted] tętniczego nadciśnienia płucnego zostały ocenione na 4 pkt w skali Jadad. Były to badania przeprowadzone w układzie równoległym porównujące ambrisentan z placebo. Pierwszorzędowym punktem końcowym ocenianym w badaniach ARIES-1/-2 była zmiana odległości pokonywanej w

trakcie 6-minutowego marszu, jest to główny punkt końcowy analizowany w większości badań dotyczących oceny skuteczności leczenia tętniczego.

W badaniu ARIES-1 poprawa średniego wyniku w teście 6-MWD wartości początkowych w grupie otrzymującej dawkę 5 mg/dobę wynosiła 31 metrów [95%CI: 3;59; p=0,008] w 12 tygodniu leczenia. W grupie pacjentów otrzymujących ambrisentan w dawce 10 mg/dobę zmiana odległości przebytej podczas 6-minutowego marszu po 12 tygodniach leczenia wyniosła 51 metrów [95%CI: 27;76; p<0,001].

Wyniki otrzymane w badaniu ARIES-2 wskazały na istotną statystycznie poprawę wydolności wysiłkowej ocenianej na podstawie testu 6-MWD po 12 tygodniach leczenia za pomocą ambrisentanu podawanego w dawce 5 mg/dobę. Wydłużenie dystansu w teście 6-MWD wśród pacjentów przyjmujących ambrisentan w dawce 5 mg/dobę: 59 metrów [95%CI: 30; 89; p<0,001]. Łączna analiza dla dawki ambrisentanu wynoszącej 5 mg/dobę wykazała wydłużenie dystansu pokonywanego w czasie testu 6-minutowego marszu o 45 metrów [95%CI: 24; 65; p<0,001].

W badaniach wykazano istotną statystycznie poprawę w zakresie redukcji nasilenia objawów niewydolności oddechowo-krążeniowej określanych za pomocą klas czynnościowych według klasyfikacji WHO w grupach otrzymujących ambrisentan podawany w dawkach 5 mg lub 10 mg/dobę (łączna analiza dla obu dawek; p=0,036) w porównaniu do grupy otrzymującej placebo. Łączna analiza wyników z badania o akronimie ARIES-1 oraz badania o akronimie ARIES-2 dla dawki ambrisentanu wynoszącej 5 mg/dobę wykazała istotną statystycznie poprawę klasy czynnościowej tętniczego nadciśnienia płucnego w trakcie 12 tygodni terapii w porównaniu do grup kontrolnych otrzymujących placebo (p=0,025). Ponadto łączna analiza danych z badań o akronimach ARIES-1 oraz ARIES-2 wykazała, że w porównaniu z placebo terapia ambrisentanem w zakresie dawek: 5-10 mg/dobę istotnie redukuje nasilenie duszności oceniane w skali Borga [95%CI:-1,8;-0,4; p=0,019]. Na podstawie wyników uwzględnionych badań wykazano, że ambrisentan istotnie statystycznie redukuje ryzyko wystąpienia: klinicznego pogorszenia przebiegu tętniczego nadciśnienia płucnego (badanie o akronimie ARIES-2 - dawka ambrisentanu 5 mg/dobę p=0,005 oraz badań o akronimie ARIES 1-2 w zakresie dawki 5 mg/dobę p=0,005).

Dla pozostałych analizowanych punktów końcowych z zakresu skuteczności klinicznej (zgon; hospitalizacja – za wyjątkiem wyników z badania o akronimie ARIES-2 dla dawki ambrisentanu 5 mg/dobę; wycofanie się z badania z powodu konieczności zastosowania innej terapii; wczesne przerwanie terapii – w przypadku dawki ambrisentanu 10 mg/dobę) nie wykazano istotnych statystycznie różnic pomiędzy analizowanymi grupami (p>0,05).

Wyniki przeprowadzonych przez autorów analizy porównań pośrednich przez wspólną referencję jaką było placebo w większości nie wykazały istotnych statystycznie różnic pomiędzy analizowanymi substancjami czynnymi.

Zdaniem analityków ATOM wnioskowanie na temat wyników porównania pośredniego ambrisentanu a iloprostem, trepostynilem oraz bozentanem jest bardzo ograniczone i obarczone dużą niepewnością. Zidentyfikowane przez autorów analiz ograniczenia takich porównań są zasadne i wpływają na wiarygodność prezentowanych wyników.

Skuteczność praktyczna

W analizie klinicznej wnioskodawcy nie przedstawiono danych dotyczących skuteczności praktycznej.

Bezpieczeństwo stosowania

W zakresie profilu bezpieczeństwa w badaniu McGoon 2009 do najczęściej raportowanych działań niepożądanych (występujących u więcej niż 2 pacjentów) w czasie 12 tygodni trwania badania należały: obrzęki obwodowe (n=9), bóle głowy (n=8), uderzenia gorąca (n=4), niestrawność (n=3), duszność (n=3), nudności (n=3) oraz palpitacje serca (n=3). Dwóch pacjentów przerwało terapię z powodu ciężkich działań niepożądanych. Nie osiągnięto pierwszorzędowego punktu końcowego jakim był wzrost aktywności >3x górnej granicy normy aktywności aminotransferaz wątrobowych, prowadzący do przerwania leczenia. Włączone do analizy badanie McGoon 2009 będące badaniem bez randomizacji i grupy kontrolnej, w którym pierwszorzędowym punktem końcowym był poziom

transaminaz wątrobowych przekraczających 3- krotnie normę oceniano po 12 tyg. badania, czyli dość krótkim okresie czasu. Zdaniem analityków AOTM należy także mieć na uwadze, że wszyscy pacjenci w momencie kwalifikacji do badania mieli prawidłowy, wyrównany wyjściowy poziom aktywności aminotransferaz wątrobowych (<1 x ULN).

Odnośnie do wyników bezpieczeństwa terapii raportowanych w badaniach rejestracyjnych ARIES-1 i ARIES-2 [redacted] ambrisentan był dobrze tolerowany przez pacjentów w badaniach o obu akronimach. Wystąpienie co najmniej jednego ciężkiego działania niepożądanego w czasie leczenia 12 tygodni raportowano u 9,6% pacjentów w grupach ambrisentanu oraz 16,7% pacjentów w grupach placebo RR 0,57 [95%CI:0,34;0,98] p<0,05. Ryzyko wystąpienia obrzęków obwodowych w badaniu ARIES-1 było istotnie statystycznie wyższe w grupie pacjentów otrzymujących ambrisentan 5mg/dobę w porównaniu do grupy placebo RR2,57 [95%CI:1,19;5,70] p<0,05 NNH=7(4;31), natomiast w dawce 10 mg/dobę badanie ARIES-1 ryzyko wystąpienia obrzęków obwodowych jest istotnie statystycznie wyższe niż w przypadku grupy placebo RR2,71[1,26;5,98] p<0,05, NNH=6(4;22) metaanaliza wyników była nieistotne statystycznie. Metaanaliza wyników z badań ARIES-1 i ARIES-2 dla punktu końcowego ryzyko wystąpienia zapalenia gardła w grupie pacjentów otrzymujących ambrisentan w dawce 5mg/dobę wyniosła OR 4,73 (1,16;19,34) NNH=22 (10;171) dla p=0,03.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

[redacted]

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Celem analizy ekonomicznej wnioskodawcy była ocena zasadności ekonomicznej z perspektywy płatnika publicznego stosowania ambrisentanu (Volibris, 5 lub 10 mg, po 30 tabl. w opakowaniu) w [redacted] dorosłych pacjentów z idiopatycznym lub w przebiegu choroby układowej tkanki łącznej [redacted] czynnościowej wg WHO, przy założeniu finansowania jego stosowania ze środków publicznych w ramach programu lekowego NFZ, [redacted], w odniesieniu do stosowania bozentanu, iloprostu, treprostynilu oraz syldenafilu w skojarzeniu z iloprostem w ww. wskazaniu.

Wykonano analizę minimalizacji kosztów, która stanowi główną analizę ekonomiczną [redacted] oraz analizę kosztów efektywności i kosztów użyteczności , [redacted] W powyższych analizach przyjęto perspektywę płatnika publicznego (NFZ), [redacted] Analizę minimalizacji kosztów wykonano [redacted], a analizę kosztów użyteczności i kosztów efektywności w – [redacted]

[redacted]

[redacted]

[redacted]

Największy wpływ na wnioskowanie z analizy podstawowej miały parametry dotyczące [redacted]

Wyniki analizy kosztów użyteczności wykazały [redacted]

[redacted]

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Celem analizy wpływu na budżet przedstawionej przez wnioskodawcę była ocena w horyzoncie trzech lat, konsekwencji finansowych dla płatnika publicznego w przypadku podjęcia decyzji o finansowaniu ze środków publicznych w ramach programu lekowego stosowania produktu leczniczego ambrisentanu (Volibris®) w [redacted] z idiopatycznym lub w przebiegu choroby układowej tkanki łącznej tętniczym nadciśnieniem płucnym w III klasie czynnościowej wg WHO. Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego dla 3-letniego horyzontu czasowego [redacted] W analizie porównano skutki dla budżetu refundacyjnego NFZ dwóch scenariuszy sytuacyjnych: scenariusza istniejącego bez refundacji ambrisentanu oraz scenariusza nowego zakładającego finansowanie ambrisentanu ze środków publicznych.

Zgodnie z oszacowaniami autorów analizy wprowadzenie do refundacji produktu leczniczego Volibris w ramach programu lekowego [redacted]

[redacted]

[redacted]

Autorzy analizy przedstawionej przez podmiot odpowiedzialny nie określili ograniczeń analizy. Jednakże analitycy AOTM zidentyfikowali pewne obszary niepewności. [redacted]

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

[redacted]

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Podczas wyszukiwania w AOTM odnaleziono 9 opublikowanych rekomendacji finansowych dotyczących refundowania ambrisentanu w leczeniu tętniczego nadciśnienia płucnego. Wszystkie odnalezione rekomendacje finansowe są pozytywne tzn. zalecają finansowanie ze środków publicznych ambrisentanu. Jednakże zawierają specyficzne ograniczenia w większości dotyczące docelowej populacji, większość z nich zaleca stosowanie produktu leczniczego Volbiris (ambrisentanu) w klasie II i III zaawansowania choroby wg WHO, co jest zgodne z zapisami z Charakterystyki Produktu Leczniczego Volibris. Wytyczne podkreślają, iż stosowanie ambisentranu powinno być ograniczone do zalecania jedynie przez lekarzy doświadczonych w leczeniu nadciśnienia płucnego. Ważny argument to podkreślenie, że nie ma bezpośrednich dowodów dotyczących efektywności klinicznej ambisentranu względem innych leków stosowanych w leczeniu nadciśnienia płucnego ani stosowania ambisentranu w terapii skojarzonej.

Odnośnie do rekomendacji klinicznych, odnaleziono trzy dotyczące rozpatrywanego zagadnienia – wytyczne Europejskiego Towarzystwa Kardiologicznego powstałe we współpracy z European Respiratory Society oraz International Society of Heart and Lung Transplantationdotyczące leczenia tętniczego nadciśnienia płucnego, kolejne wytyczne to zalecenia Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego wzorowane na wytycznych Europejskiego Towarzystwa Kardiologicznego z 2009 roku. Odnalezione wytyczne amerykańskie dotyczą diagnozowania i postępowania terapeutycznego w nadciśnieniu płucnym opublikowane w 2009 roku jest to praca ekspertów Amerykańskich Towarzystw Kardiologicznych. Wszystkie odnalezione rekomendacje kliniczne wskazują ambrisentan jako jedną z opcji terapeutycznych w leczeniu tętniczego nadciśnienia płucnego. Najwyższy poziom rekomendacji w przypadku ambrisentanu dotyczy leczenia tętniczego nadciśnienia płucnego w klasie II i III WHO/NYHA w I rzucie terapii. Poziom zaleceń dla klasy czynnościowej IV wg WHO/NYHA dla ambrisentanu to już niższa ranga IIa-C. Odnaleziono także artykuł poglądowy w Prescrire International z 2009, który zwraca uwagę na krótką praktykę kliniczną związaną z zastosowaniem ambirsentanu.

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-4351-3/2012, „Wniosek o objęcie refundacją leków: Volibris (ambrisentan), 10 mg, tabl. powl., 30 tabl, kod EAN 5909990643189 oraz Volibris (ambrisentan), 5 mg, tabl. powl., 30 tabl, kod EAN 5909990643165 w ramach programu lekowego: Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) ambrisentanem (ICD-10 I27, I27.0)”, sierpień 2012 r.

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

1. Opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady w dniu 03.09.2012 r.

Stanowisko Rady Przejrzystości nr 63/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie oceny leku Volibris (ambrisentan) we wskazaniu: leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) ambrisentanem (program lekowy).

Rada uważa za zasadne finansowanie produktu leczniczego Volibris (ambrisentan) we wskazaniu: leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) w ramach istniejącego programu lekowego. Rada rekomenduje utworzenie wspólnej grupy limitowej wraz z bozentanem. Rada akceptuje zaproponowany instrument dzielenia ryzyka.

Uzasadnienie

Wszystkie rekomendacje kliniczne wskazują, że ambrisentan (Volibris) jest wartościową opcję leczenia tętniczego nadciśnienia płucnego, ze względu na poprawę wydolności wysiłkowej, poprawę klasy czynnościowej wg NYHA/WHO, zmniejszenie nasilenia duszności wg skali Borga a także poprawę parametrów hemodynamicznych pacjentów. Stosowanie ambrisentanu (Volibris) w [redacted] *z idiopatycznym lub w przebiegu choroby układowej tkanki łącznej nadciśnieniem tętniczym płucnym w III klasie czynnościowej, jest tak samo skuteczne a tańsze w odniesieniu do komparatora (bozentan). W odróżnieniu od bozentanu ambrisentan daje możliwość doboru dawki co pozwala na indywidualizację leczenia poprzez eskalację lub redukcję dobowej dawki terapeutycznej. Działania niepożądane ambrisentanu są na akceptowalnym poziomie.*

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją następujących dawek i opakowań produktu leczniczego:

- Volibris (ambrisentan), 10 mg, tabl. powl., 30 tabl, kod EAN 5909990643189
- Volibris (ambrisentan), 5 mg, tabl. powl., 30 tabl, kod EAN 5909990643165,

w ramach uzgodnionego projektu programu lekowego: Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) ambrisentanem (ICD-10 I27, I27.0). Lek stanowił już przedmiot prac AOTM. W ostatnim Stanowisku RK oraz Rekomendacji Prezesa Agencji zaopiniowano pozytywnie finansowanie ambrisentanu w leczeniu tętniczego nadciśnienia płucnego.

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Volibris (ambrisentan), 5 mg, tabl. powl., 30 tabl, kod EAN 5909990643165.

Problem zdrowotny

Jak w stanowisku nr 62/2012.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Jak w stanowisku nr 62/2012.

Alternatywne technologie medyczne

Jak w stanowisku nr 62/2012.

Skuteczność kliniczna

Jak w stanowisku nr 62/2012.

Skuteczność praktyczna

Jak w stanowisku nr 62/2012.

Bezpieczeństwo stosowania

Jak w stanowisku nr 62/2012.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Jak w stanowisku nr 62/2012.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Jak w stanowisku nr 62/2012.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Jak w stanowisku nr 62/2012.

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Jak w stanowisku nr 62/2012.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medyczne

Jak w stanowisku nr 62/2012.

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-4351-3/2012, „Wniosek o objęcie refundacją leków: Volibris (ambrisentan), 10 mg, tabl. powl., 30 tabl, kod EAN 5909990643189 oraz Volibris (ambrisentan), 5 mg, tabl. powl., 30 tabl, kod EAN 5909990643165 w ramach programu lekowego: Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) ambrisentanem (ICD-10 I27, I27.0)”, sierpień 2012 r.

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

1. Opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady w dniu 3.09.2012 r.

Stanowisko Rady Przejrzystości nr 64/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie zasadności finansowania leku Forsteo (teryparatyd) we wskazaniu: leczenie osteoporozy spowodowanej długotrwałym stosowaniem glikokortykosteroidów u pacjentów z wysokim ryzykiem złamań

Rada nie rekomenduje finansowania leku Forsteo (teryparatyd) w ramach nowego programu lekowego.

Uzasadnienie

Dostępne jest tylko jedno badanie randomizowane (średniej jakości), które wykazało poprawę gęstości kości i biochemicznych wskaźników kościotworzenia oraz zmniejszenie liczby złamań kręgów w rtg w trakcie leczenia teryparatydem, w porównaniu z alendronianem, przy podobnej liczbie złamań z objawami klinicznymi i pozakręgowych, przy dużej ilości powikłań, w tym hiperkalcemii (z programu wycofało się około 30% chorych). Efektywność kosztowa terapii znacznie przekracza dopuszczalny ustawą limit. Lek nie jest rekomendowany przez NICE i nie jest refundowany w: Danii, Łotwie i Estonii, Holandii, Irlandii, Islandii, Belgii, Cyprze i Malcie.

Przedmiot wniosku

Przedmiotem rozpatrywanego wniosku jest objęcie refundacją produktu leczniczego Forsteo (teryparatyd), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu 20 mikrogramów/80 mikrolitrów (EAN 5909990000869) w ramach programu lekowego: „Leczenie osteoporozy indukowanej glikokortykosteroidami ze złamaniem patologicznym (ICD-10 M80.4)”. W dniu 20.08.2012 r. Ministerstwo Zdrowia przekazało pismem znak MZ-PLR-460-14491-88/MP/12 informację, że wnioskodawca przekroczył termin wyznaczony do wniesienia uzupełnień do analiz, a przedmiotowy wniosek należy uznać za nieuzupełniony.

W 2008 r. Rada Konsultacyjna rekomendowała niefinansowanie teryparatydu, jednak w innym wskazaniu, tj. w leczeniu zaawansowanej osteoporozy pomenopauzalnej w ramach programu terapeutycznego.

Problem zdrowotny

Osteoporoza wtórna to utrata masy kostnej z zaburzeniami jej mikroarchitektury, prowadząca do złamań niskoenergetycznych, będąca następstwem choroby lub leczenia zaburzającego równowagę między kościotworzeniem a resorpcją. Osteoporoza wtórna może być uogólniona lub miejscowa. Jedną z jej postaci klinicznych jest osteoporoza posteroidowa. Każda hiperkortyzolemia, także jatrogenna upośledza kościotworzenie, pobudza apoptozę osteocytów i resorpcję kości. Dochodzi do zaburzenia wchłaniania wapnia z przewodu pokarmowego, hiperkalciurii i zaburzeń wydzielania hormonów płciowych. Zmiany podobne jak endogenna hiperkortyzolemia powoduje 3-miesięczna terapia glikokortykosteroidami (GSK) w dawce ≥5 mg prednizonu/dobę. U osób z hiperkortyzolemią

do ubytku masy kostnej dochodzi przede wszystkim w kości beleczkowej (gąbczastej), dlatego często występują u nich kompresyjne złamania kręgów w odcinkach lędźwiowym i piersiowym.

Ocenia się, że osteoporoza wtórna może stanowić 30% przypadków osteoporozy u kobiet i 50-80% u mężczyzn. Złamania u chorych leczonych GKS występują częściej, niż to wynika ze spadku BMD, pojawiają się przy wyższych jego wartościach, przy tym samym BMD (ang. *Body Mineral Density*) są częstsze niż w osteoporozie pomenopauzalnej – jest to wynik obniżonej jakości kości. Zwiększenie ryzyka złamań następuje szybko i dla przyjmujących dawkę >7,5 mg po roku osiąga ono 54% nie zmieniając się istotnie w latach następnych. Po zaprzestaniu leczenia GKS ryzyko złamań, zwłaszcza kręgów, gwałtownie się zmniejsza. Po roku jest ono większe tylko o 25%, ale w 20% utrzymuje się ponad 4 lata od zaprzestania leczenia.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Produkt leczniczy Forsteo (teryparatyd) jest rekombinowanym fragmentem parathormonu, złożoną z pierwszych 34 aminokwasów (1-34). Endogenny parathormon, zbudowany z 84 aminokwasów, jest głównym czynnikiem regulującym metabolizm wapnia i fosforanów w tkance kostnej i w nerkach.

Przedmiotowy produkt leczniczy został zarejestrowany w procedurze centralnej w 2003 r. we wskazaniach:

- leczenie osteoporozy u kobiet w okresie pomenopauzalnym i u mężczyzn o podwyższonym ryzyku złamań,
- leczenie osteoporozy spowodowanej długotrwałym stosowaniem glikokortykosteroidów o działaniu ogólnoustrojowym u kobiet i mężczyzn, o podwyższonym ryzyku złamań.

Przedmiotem rozpatrywanego wniosku jest drugie z wymienionych wskazań, z zawężona populacją. Do proponowanego programu lekowego kwalifikowani mają być dorośli pacjenci (≥18 r.ż.), u których stwierdzono wcześniejsze złamanie niskoenergetyczne spowodowane osteoporozą wywołanym przewlekłym podawaniem GSK z różnych wskazań, którzy:

- aktualnie są leczeni GSK systemowymi w minimalnej dawce dziennej 5mg prednizonu lub jego ekwiwalentu przez okres co najmniej jednego roku i wymagają jej kontynuacji,
- u których wystąpiło kolejne (stwierdzone wg kryteriów radiologicznych) świeże złamanie kręgu lub niskoenergetyczne złamanie bliższego końca kości udowej pomimo leczenia profilaktycznego w czasie przyjmowania GKS bisfosfonianami w dawkach terapeutycznych (alendronian, rizedronian, zolendronian) przez okres minimum 18 miesięcy lub też innymi lekami antyresorpcyjnymi w przypadku istnienia przeciwwskazań do podawania bisfosfonianów,
- u których stwierdzono w pomiarze bliższego końca kości udowej (pomiar w zakresie szyjki lub ”total” metodą DXA) lub odcinka lędźwiowego kręgosłupa T-score < - 3 SD. U kobiet przed menopauzą i u mężczyzn przed 50 rokiem życia ocenie podlega wartość Z-score, która powinna być < -3 SD,
- u których wykazano prawidłowe: stężenie witaminy D i wapnia oraz szacunkowy klirens kreatyniny.

Całkowity maksymalny czas leczenia preparatem Forsteo zgodnie z ChPL wynosi 24 miesiące. W proponowanym programie lekowym chorzy na osteoporozę wywołaną przewlekłym stosowaniem GSK powinni być poddani terapii teryparatydem przez okres 18 miesięcy. Przez całe dalsze życie nie należy powtarzać kuracji teryparatydem. Jednoczesne podanie hormonalnej terapii zastępczej jest dopuszczalne. Nie ma także przeciwwskazań do stosowania leków przeciwbólowych i prowadzenia rehabilitacji chorych. Po zakończeniu terapii teryparatydem należy kontynuować leczenie osteoporozy podając bisfosfoniany.

Alternatywne technologie medyczne

Na podstawie przeprowadzonego przeglądu wytycznych klinicznych oraz opinii ekspertów jako leki stosowane w leczeniu osteoporozy indukowanej GSK można wymienić: alendronian, risedronian, zoledronian hormonalna terapia zastępcza, wybiórcze modulatory receptora estrogenowego, kalcytonina, denosumab, stront.

Skuteczność kliniczna

Do analizy klinicznej wnioskodawcy włączono jedno badanie z randomizacją (badanie Saag 2007/2009, finansowane przez wnioskodawcę), w którym porównywano teryparatyd z alendronianem.

Istotne statystycznie wartości ilorazu szans wystąpienia złamań kręgowych potwierdzonych radiologicznie wynoszą odpowiednio 0,09 (95% CI: 0,002; 0,66) dla 18 miesięcy leczenia oraz 0,21 (95% CI: 0,04; 0,79) dla 36 miesięcy obserwacji na korzyść teryparatydu. Dla 36 miesięcy leczenia teryparatydem iloraz szans wystąpienia złamań kręgowych potwierdzonych kliniczne jest równy 0,13 (95% CI: 0,02; 0,93), dla 18 miesięcy wynik nie był istotny statystycznie. Po 18 miesiącach leczenia wykazano istotne statystycznie (p<0,001) zwiększenie gęstości mineralnej tkanki kostnej odcinka lędźwiowego w grupie teryparatydu (o 7,2%) w porównaniu z alendronianem (o 3,4%).

Przedłożona przez wnioskodawcę analiza kliniczną nie spełnia wszystkich wymagań określonych w rozporządzeniu MZ z dnia 02.04.2012 r. (Dz. U. 2012 poz. 388).

Skuteczność praktyczna

Prowadzone jest obecnie badanie, które mam na celu zbadanie skuteczności praktycznej teryparatydu.

Bezpieczeństwo stosowania

Na podstawie włączonego badania znamiennie statystycznie różnice uzyskano w ryzyku nudności po 18 i 36 miesiącach (ponad dwukrotnie większa szansa w grupie teryparatydu w porównaniu z alendronianem). Odnotowano także istotne statystycznie zwiększone ryzyko podwyższonego stężenia wapna we krwi po 18 i 36 miesiącach leczenia ≥1 epizodu stężenia wapnia >10,5 mg/dl oraz po 36 miesiącach ≥2 epizodów stężenia wapnia >10,5 mg/dl.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

[redacted]

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Celem analizy ekonomicznej przedstawionej przez wnioskodawcę była ocena opłacalności stosowania teryparatydu w dawce dziennej 20 mcg w porównaniu z alendronianem w dziennej dawce 20 mg w leczeniu osteoporozy spowodowanej długotrwałym stosowaniem glikokortykosteroidów w dożywotnim horyzoncie czasowym. Populację docelową stanowili dorośli chorzy z osteoporozą spowodowaną długotrwałym stosowaniem GSK z podwyższonym ryzykiem złamań.

Koszty zyskania dodatkowego roku życia w pełnym zdrowiu (QALYG) przy zastąpieniu alendronianu terapią z udziałem teryparatydu wynosi [redacted], koszty zyskania dodatkowego roku życia (LYG) przy zastąpieniu alendronianu teryparatydem wynoszą [redacted], a redukcja złamań kręgowych przy zastosowaniu teryparatydu w miejsce alendronianu wynosi [redacted].

Analiza wrażliwości wykazała, że współczynnik ICUR mieści się w zakresie [redacted] zł/QALY-[redacted] zł/QALY. Minimalna wartość ICUR została osiągnięta przy założeniu bardzo wysokich współczynników ryzyka względnego zgonu związanego z uprzednim wystąpieniem złamań, zaś maksymalna dla zmiany wartości zakładającej brak wpływu wcześniejszych złamań na ryzyko kolejnych złamań.

Z licznych niezgodności przedłożonej przez wnioskodawcę analizy ekonomicznej względem wymagań określonych w rozporządzeniu MZ z dnia 02.04.2012 r. (Dz. U. 2012 poz. 388) należy wymienić przede wszystkim niedostarczenie arkusza kalkulacyjnego lub pliku innego typu zawierającego model ekonomiczny, co uniemożliwiło weryfikację uzyskanych obliczeń oraz liczne niezgodności dotyczące cen i kosztów.

Analitycy oszacowali wartość progowej ceny zbytu netto (brak oszacowania w analizie wnioskodawcy) na [redacted]. Z uwagi na brak modelu ekonomicznego w wersji elektronicznej wynik obarczony jest dużą niepewnością. W celu wyznaczenia ceny przyjęto proste założenie zależności

liniowej pomiędzy podstawową wartością IUCR a wartościami ICUR z analizy wrażliwości dla kosztów dziennej dawki teryparatydu podwyższonej i pomniejszonej o 15%.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Celem analizy wpływu na budżet było oszacowanie skutków finansowych dla budżetu NFZ refundacji teryparatydu, stosowanego w leczeniu dorosłych pacjentów z osteoporozą spowodowaną długotrwałym stosowaniem GSK, w ramach programu zdrowotnego w horyzoncie trzech lat (2012-2014).

Inkrementalne wydatki budżetu NFZ na leczenie teryparatydem (w stosunku do stanu aktualnego, tj. braku refundacji teryparatydu) oszacowano na (w nawiasie podano wartości ze scenariuszy skrajnych) [redacted]

Należy podkreślić, że przyjęte w analizie wpływu na budżet założenia (odnośnie do m.in. oszacowania populacji docelowej, przyjętych parametrów, kosztów) budzą wiele wątpliwości, a zatem powyższe oszacowania obarczone są dużą niepewnością.

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Wnioskodawca przedstawił szereg rozwiązań, które wiązały się m.in. [redacted]

Przeprowadzona analiza racjonalizacyjna wykazała, że wdrożenie proponowanych rozwiązań z zakresu refundacji leków w 3-letnim horyzoncie czasowym uwolni środki finansowe płatnika publicznego w wysokości [redacted]. Wnioskodawca zaproponował też rozwiązanie nieaktualne, w wyniku którego można by uwolnić [redacted]

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Odnalezione rekomendacje kliniczne (z Australii 2008 r., Kanady 2011 r., USA 2010 r. i 2011 r.) wskazują na korzystne działanie teryparatydu w leczeniu osteoporozy indukowanej GSK (rekomendacje pozytywne, jednak głównie z ograniczeniami). Brytyjskie wytyczne (2008 r.) nie zalecają jednak stosowania leku w przedmiotowym wskazaniu.

Odnaleziono pozytywne rekomendacje refundacyjne z Francji (HAS 2009 r.) w leczeniu osteoporozy z wiązanej z długotrwałym stosowaniem GSK u kobiet i mężczyzn ze zwiększonym ryzykiem złamań (co najmniej dwa załamania kręgów) oraz z Australii (PTAC 2010 r.) i Nowej Zelandii (PHARMAC 2011 r.) z ograniczeniami (jako leczenie ostatniego rzutu). Kanadyjskie (CADTH 2009 r., CED 2011 r.), australijskie (PBAC 2008 r.) oraz brytyjskie (NHS 2008 r.) rekomendacje finansowe są negatywne.

Dodatkowe uwagi Rady

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

.....
[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 nr AOTM-DS-433-9/2012 „Wniosek o objęcie refundacją leku Forsteo

(teryparatyd) we wskazaniu: leczenie osteoporozy spowodowanej długotrwałym stosowaniem glikokortykosteroidów u pacjentów z wysokim ryzykiem złamań", 22 sierpnia 2012 r.

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

Stanowisko Rady Przejrzystości nr 65/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie zasadności finansowania leku Recombinate (octocog alfa), EAN: 5909990083398, we wskazaniach: pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego

Rada Przejrzystości rekomenduje finansowanie preparatu Recombinate w ramach funkcjonującego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” [redacted] *dla pacjenta, jedynie w wypadku zastosowania zaproponowanego przez producenta instrumentu podziału ryzyka, w ramach grupy limitowej rekombinowanego czynnika VIII.*

Uzasadnienie

Leczenie profilaktyczne i doraźne krwawień za pomocą preparatu Recombinate, uwzględniając umowę podziału ryzyka, wiąże się z takimi samymi kosztami, jak za pomocą preparatu [redacted] *oraz z rocznymi oszczędnościami w wydatkach płatnika w porównaniu z zastosowaniem preparatów* [redacted] *w zależności od ciężkości choroby pacjenta. Roczne oszczędności wynoszą do* [redacted] *zł.*

Przedmiot wniosku

Minister Zdrowia przekazał 6 wniosków, dotyczących następujących produktów leczniczych zawierających substancję czynną octocog alfa:

- Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990083398;
- Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990736997;
- Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990083350;
- Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990736980;
- Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990083343;
- Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990736973.

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990083398.

Podmiot odpowiedzialny wnioskuje o objęcie w/w leków refundacją w ramach istniejącego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B", w następujących wskazaniach:

- pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia 2 roku życia;
- pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci powyżej 2 roku życia;
- wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia 2 roku życia;
- wtórna profilaktyka krwawień u dzieci powyżej 2 roku życia;
- zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego.

Ponadto z opisu załączonego programu lekowego (ze zmianami proponowanymi przez wnioskodawcę) wynika, że produkty Recombinate miałyby być stosowane u chorych, u których obecnie stosuje się wyłącznie koncentraty osoczopochodnych (ludzkich) czynników krzepnięcia, tj. w module pierwotnej profilaktyki krwawień u dzieci z ciężką postacią hemofilii, u których zachowywana jest tzw. „pierwotna ciągłość leczenia", w tym osłona hemostatyczna w przypadkach, w których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego oraz w module profilaktyki wtórnej.

Problem zdrowotny

Hemofilia A jest wrodzoną skazą krwotoczną, spowodowaną zmniejszeniem aktywności czynnika krzepnięcia VIII (cz. VIII) w osoczu, w wyniku czego dochodzi do obfitych krwawień do stawów, mięśni lub narządów wewnętrznych, występujących samoistnie lub w skutek powypadkowych bądź chirurgicznych urazów. Postać ciężka choroby stanowi 53,7% spośród wszystkich przypadków hemofilii A. Z danych Narodowego Centrum Krwi (dane do lipca 2012 r.) wynika, że populacja osób <18 r.ż. kwalifikująca się do leczenia krwawień koncentratami czynnika VIII to 550 dzieci z różną postacią hemofilii A oraz 83 dzieci z hemofilią A powikłaną obecnością inhibitora.

Podstawą leczenia hemofilii jest zwiększenie aktywności niedoborowego czynnika krzepnięcia w krwiobiegu w celu zahamowania aktywnego krwawienia lub jego prewencji. W profilaktyce i leczeniu krwawień w hemofilii A stosuje się: liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane z ludzkiego osocza (koncentraty osoczopochodne); liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane metodami inżynierii genetycznej (koncentraty rekombinowane); 1-deamino-8-D-arginino wazopresynę (DDAVP), czyli desmopresynę oraz leki wspomagające: antyfibrynolityki i miejscowe środki hemostatyczne.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Produkt leczniczy Recombinate zawiera rekombinowany VIII czynnik krzepnięcia (octocog alfa). Octocog alfa jest oczyszczonym białkiem składającym się z 2332 aminokwasów. Posiada ono sekwencję aminokwasową porównywalną z czynnikiem VIII, a modyfikacje posttranslacyjne tego białka są podobne jak cząsteczki izolowanej z osocza. Ze względu na technologię wytwarzania, w której używane są ludzkie albuminy, Recombinate zaliczany jest do rekombinowanych czynników krzepnięcia I generacji.

Produkt Recombinate jest zarejestrowany do stosowania w leczeniu i profilaktyce krwawień u pacjentów z hemofilią A, we wszystkich grupach wiekowych, od noworodków do osób dorosłych.

Obecnie ani Recombinate, ani żaden inny rekombinowany cz. VIII pierwszej generacji, nie jest finansowany ze środków publicznych.

Alternatywne technologie medyczne

W ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B" obecnie refundowane są inne produkty zawierające substancję czynną octocog alfa. Wszystkie aktualnie refundowane produkty zawierające octocog alfa są produktami minimum II generacji i w pierwotnej profilaktyce krwawień są w ramach programu stosowane wyłącznie u dzieci wcześniej nieleczonych czynnikami osoczopochodnymi; nie są natomiast refundowane w profilaktyce wtórnej. Ponadto w programie stosowane są osoczopochodne koncentraty czynnika VIII – z zapisów proponowanego programu lekowego wynika, że właśnie te produkty byłyby zastępowane przez wnioskowany lek (jest on adresowany do subpopulacji pacjentów, w której obecnie stosowane są wyłącznie koncentraty osoczopochodne).

Jeżeli w nowym programie miałby zostać utrzymany podział w module profilaktyki pierwotnej programu, na subpopulację leczoną „z zachowaniem ciągłości leczenia" i subpopulację dzieci „wcześniej nie leczonych czynnikami osoczopochodnymi", wówczas świadczeniem alternatywnym wobec ocenianego (i właściwym komparatorem) są osoczopochodne koncentraty czynnika VIII, ponieważ tylko takie są obecnie w tej populacji stosowane; jeżeli ten podział miałby zostać zniesiony – wówczas właściwymi komparatorami byłyby czynniki rekombinowane. Podobnie w module profilaktyki pierwotnej – niedopuszczenie do stosowania innych czynników rekombinowanych niż wnioskowany (zgodnie z proponowanym opisem programu) powoduje, że produkty Recombinate miałyby zastępować koncentraty osoczopochodne.

Refundowane koncentraty czynnika VIII są obecnie finansowane w dwóch grupach limitowych, odrębnej dla koncentratów osoczopochodnych (1090.2 „Factor VIII coagulationis humanus") i rekombinowanych, bez względu na generację (1090.1 „Factor VIII coagulationis humanus recombinate").

W analizach wnioskodawcy jako komparatory uwzględniono zarówno koncentraty osoczopochodne (Immunate, Octanate) jak i rekombinowane II (Kogenate) i III (Advate) generacji.

Skuteczność kliniczna

Kryteria włączenia do analizy Wnioskodawcy spełniły 64 badania – w tym w trzech badaniach oceniano po dwa preparaty bez ich bezpośredniego porównania (Recombinate i Kogenate Bayer: *Gouw 2007*; Recombinate i Advate: *Zhang 2011, Gomperts 2004*). Dowody naukowe dotyczące skuteczności klinicznej, przedstawione w analizie Wnioskodawcy pochodzą głównie z badań obserwacyjnych bez grupy kontrolnej, stanowiących pod względem metodologicznym opisy serii przypadków. Spośród 64 badań klinicznych, tylko w jednym bezpośrednio porównywano preparaty Recombinate oraz Kogenate (u dorosłych pacjentów w wieku >18 r.ż.) – *Brackmann 1993*. Poza tym nie odnaleziono badań (w tym badań z ramndomizacją) umożliwiających ocenę efektywności Recombinate w porównaniu z innymi koncentratami czynnika VIII w populacji dzieci (wiek <18 r.ż) z hemofilią A.

Spośród 64 badań włączonych do analizy w 13 badano preparat Recombinate, w tym: dwa badania obserwacyjne z grupą kontrolną (*Brackmann 1993* – poprawnie zaprojektowane prospektywne badanie kohortowe z równoczesną grupą kontrolną, *Gouw 2007* – poprawnie zaprojektowane badanie kliniczno-kontrolne, retrospektywne); dwa badania opisowe – seria przypadków, badanie pretest/posttest (*Negrier 2001* – prospektywne, *Kempton 2006* – retrospektywne); pięć badań opisowych – seria przypadków, badanie posttest: (*Rocino 2006*, *Rocino 2001*, *Rothschild 1998* – prospektywne, *White 1997* – prospektywne, *Bray 1994* – prospektywne) oraz cztery badania opisowe – inne badanie grupy pacjentów (Zhang 2011 – prospektywne, Fukutake 2005 – postmarketingowe, Gomperts 2004 – rejestr ukierunkowany na ocenę bezpieczeństwa, Yoshioka 2004 – postmarketingowe). Spośród ww. w pięciu oceniano skuteczność preparatu Recombinate w populacji dzieci (wiek <18 r.ż.): *Gouw 2007*, *Bray 1994*, *Kempton 2006*, *Rocino 2001*, *Rothschild 1998*. W pozostałych badaniach populację pacjentów stanowiły w większości osoby dorosłe. W badaniach, przeprowadzonych w mieszanej populacji dzieci i dorosłych wyniki przedstawiono łącznie dla obu populacji, tym samym nie było możliwości oceny skuteczności preparatu wyłącznie w populacji dzieci. Ponadto, w 19 badaniach oceniano preparat Advate, w 24 - Kogenate Bayer. Preparaty zawierające osoczowy czynnik VIII oceniane były w 11 badaniach – 1 badanie dotyczyło preparatu Immunate, a 10 badań preparatu Octanate. Dodatkowo przedstawiono wyniki dwóch badań z randomizacją (*ESPRIT 2010:* dzieci w wieku 1-7 lat oraz *Manco-Jonson 2007:* dzieci w wieku <30 mies. – wieloośrodkowe próby kliniczne z randomizacją w schemacie grup równoległych, brak zaślepienia); ukierunkowanych na ocenę porównawczą profilaktyki i leczenia doraźnego dzieci (<18r.ż.) z hemofilią A. W badaniu ESPRIT przez pierwszy okres badania stosowano Rekombinate, natomiast później Advate. Z kolei w badaniu *Manco-Jonson 2007* stosowano Kogenate Bayer i Kogenate.

Oceniane efekty zdrowotne obejmowały skuteczność preparatów w: profilaktyce długoterminowej krwawień (skuteczność hemostatyczna, częstość krwawień, liczba krwawień, liczba pacjentów z krwawieniami, dawka preparatu); profilaktyce okołozabiegowej krwawień (skuteczność hemostatyczna, utrata krwi podczas zabiegu, liczba krwawień, dawka preparatu); leczeniu doraźnym krwawień (skuteczność hemostatyczna, częstość krwawień, liczba krwawień, liczba pacjentów

z krwawieniami, dawka preparatu); indukcji tolerancji immunologicznej (ITI; poziom inhibitora po zakończeniu ITI, maksymalny poziom inhibitora w trakcie ITI, czas trwania indukcji do momentu osiągnięcia tolerancji immunologicznej, liczba skutecznych ITI).

Recombinate: (populacja dzieci i dorosłych): nie odnaleziono danych pozwalających na wnioskowanie o skuteczności hemostatycznej Recombinate w profilaktyce długoterminowej. Leczenie doraźne preparatem Recombinate pozwala uzyskać dobrą lub doskonałą odpowiedź hemostatyczną w 91% interwencji wg opinii badacza oraz w trakcie 92% interwencji w ocenie pacjenta. Do opanowania większości krwawień (96%) wystarczające było podanie 1 lub 2 iniekcji preparatu. W profilaktyce okołozabiegowej Recombinate pozwalał na uzyskanie odpowiedzi hemostatycznej w stopniu dobrym lub doskonałym w trakcie 98% zabiegów, a jednocześnie zapobiegał nadmiernej utracie krwi (wyższej niż przewidywana dla danego zabiegu) podczas wszystkich 100% procedur. Recombinate indukuje tolerancję immunologiczną u około 85,7% pacjentów, a mediana czasu potrzebnego do uzyskania tego efektu wynosiła 6 miesięcy.

Recombinate (populacja dzieci <18r.ż.)

Profilaktyka okołozabiegowa: wyniki dotyczące skuteczności hemostatycznej preparatu Recombinate stosowanego w profilaktyce okołozabiegowej przedstawiono w jednym badaniu obserwacyjnym bez grupy kontrolnej (Bray 1994). Odsetek odpowiedzi hemostatycznych uznanych za doskonałe wyniósł 90%. Łącznie w badaniu opisano zastosowanie Recombinate w profilaktyce okołozabiegowej w trakcie 10 procedur interwencyjnych. W przypadku większości z nich (9 interwencji) odpowiedź hemostatyczną oceniono jako doskonałą. Wyniki dotyczące liczby krwawień okołozabiegowych przedstawiono również w badaniu Bray 1994. U siedmiu pacjentów przeprowadzono 10 procedur inwazyjnych, wymagających zastosowania profilaktyki okołozabiegowej. W 1 przypadku wystąpiło krwawienie w okresie pozabiegowym pomimo stosowanej interwencji.

Leczenie doraźne: wyniki dotyczące liczby krwawień raportowanych w trakcie leczenia doraźnego przedstawiono w badaniu Bray 1994. W 2-letnim okresie obserwacji u 75 pacjentów odnotowano łącznie 810 epizodów, z czego do opanowania większości z nich (92%) wystarczyło podanie nie więcej niż 2 infuzji Recombinate. Raportowano także liczbę infuzji Recombinate zastosowanych w leczeniu doraźnym. Przy dłuższym okresie obserwacji, wynoszącym 7,3 roku, u 75 pacjentów zastosowano 8444 infuzje preparatu Recombinate podczas 3592 epizodów krwawienia, co daje 2,35 infuzji na leczenie jednego zdarzenia.

Indukcja tolerancji immunologicznej: poziom inhibitora po zakończeniu ITI oceniano w 1 badaniu obserwacyjnym bez grupy kontrolnej. W badaniu Rothschild 1998 przedstawiono wyniki dotyczące poziomu inhibitora po zakończeniu ITI. Wyniki badania wskazują, że u 3 z 8 pacjentów osiągnięto tolerancję immunologiczną, a tym samym poziom inhibitora obniżył się do wartości docelowych (<0,6 BU/ml). W dwóch badaniach obserwacyjnych bez grupy kontrolnej, oceniano maksymalny poziom inhibitora w trakcie ITI.

W jednym badaniu u żadnego pacjenta maksymalny poziom inhibitora nie przekroczył 10 BU/ml (Rocino 2001), natomiast w drugim odsetek pacjentów z poziomem inhibitora nieprzekraczającym 10 BU/ml mieścił się w granicach od 60% do 70% (Rothschild 1998). Czas trwania ITI do momentu osiągnięcia tolerancji immunologicznej oceniano w badaniu Rocino 2001. Mediana czasu trwania ITI do osiągnięcia tolerancji immunologicznej wynosiła 6 miesięcy (2-8 miesięcy). Liczbę skutecznych ITI oceniano w dwóch badaniach. W badaniu Rocino 2001, w którym mediana okresu interwencji wynosiła 8 miesięcy (zakres 2-24 miesięcy), u wszystkich pacjentów ITI zakończyła się sukcesem. W badaniu Rothschild 1998 spośród 3 pacjentów, którzy zakończyli indukcję tolerancji immunologicznej, dwóch osiągnęło pełną tolerancję, a 1 częściową tolerancję, podczas gdy pozostali nadal otrzymywali Recombinate w ramach ITI. Podsumowując, spośród ogólnej liczby 15 pacjentów uczestniczących w 2 badaniach, pełną tolerancję za pomocą preparatu Rekombinate uzyskano u 14 pacjentów, natomiast częściową u 1 pacjenta.

Recombinate vs Kogenate (populacja dorosłych >18 r.ż.): w badaniu Brackmann 1993, 7 pacjentów stosowało profilaktykę preparatem Recombinate, a 5 pacjentów profilaktykę preparatem Kogenate. W trakcie 2-letniego okresu obserwacji u pacjentów z grupy Recombinate stwierdzono 161 krwawień, natomiast w grupie Kogenate 169 epizodów. Wszyscy pacjenci niezależnie od rodzaju otrzymywanej interwencji doświadczyli co najmniej jednego epizodu krwotocznego. U 7 pacjentów z

grupy Recombinate zastosowano 1,662 milionów jednostek [IU], natomiast u 5 pacjentów z grupy Kogenate 0,67 miliona IU. W badaniu zużyto łącznie 68 tys. IU Recombinate na zabezpieczenie 4 zabiegów (2 małe interwencje ortopedyczne, nakłucie otrzewnej i rektoskopia) u 4 pacjentów oraz 3 tys. IU Kogenate u 1 pacjenta na zabezpieczenie pojedynczego zabiegu (ekstrakcja zęba). W leczeniu doraźnym liczba zastosowanych jednostek Recombinate (572 000 IU) była mniejsza niż liczba jednostek wykorzystanych w trakcie terapii Kogenete (1 148 000 IU). W żadnym przypadku nie podano informacji o poziomie istotności dla zaobserwowanej różnicy.

Profilaktyka długoterminowa vs leczenie doraźne – Advate/Recombinate lub Kogenate Bayer/Kogenate (populacja dzieci <18 r.ż.): w dwóch badaniach z randomizacją (ESPRIT, Manco-Jonson 2007) wykazano, że u dzieci z hemofilią A profilaktyka długoterminowa w porównaniu z leczeniem doraźnym przyczynia się do redukcji częstości krwawień oraz ryzyka wystąpienia artropatii hemofilowej. Stosowanie profilaktyki długoterminowej Recombinate lub Advate zamiast leczenia doraźnego istotnie statystycznie zmniejsza średnią liczbę krwawień przypadających na pacjenta (37,9 vs 82,4; p<0,05), w tym również krwawień dostawowych (5,0 vs 24,9; p<0,05). Dodatkowo znamiennie zmniejsza ryzyko wystąpienia artropatii hemofilowej [RR = 0,39 (95%CI: 0,19; 0,80]). Stosowanie profilaktyki za pomocą Kogenate lub Kogenate Bayer zamiast leczenia doraźnego istotnie statystycznie zmniejsza średnią roczną częstość krwawień przypadających na pacjenta (3,27 vs 17,69; p<0,001), w tym również krwawień dostawowych (0,63 vs 4,89; p<0,001). W grupie otrzymującej profilaktykę istotnie statystycznie mniejszy był również odsetek pacjentów ze zmianami widocznymi w obrębie stawów w badaniu metodą rezonansu magnetycznego (7% vs 45%; p = 0,002).

Kogenate Bayer (populacja dzieci i dorosłych): nie odnaleziono danych pozwalających na wnioskowanie o skuteczności hemostatycznej Kogenate Bayer w profilaktyce długoterminowej. Wskaźnik częstości krwawień wahał się od 0,8 do 4,8 epizodów na rok. Krwawienia dostawowe stanowiły 70% wszystkich epizodów krwotocznych, natomiast najczęstszą przyczyną krwawień były urazy (55%). W leczeniu doraźnym skuteczność hemostatyczną preparatu Kogenate Bayer określono jako doskonałą lub dobrą w przypadku 93% zabiegów. W profilaktyce okołozabiegowej Preparat Kogenate Bayer prowadził do uzyskania doskonałej lub dobrej odpowiedzi hemostatycznej w trakcie 96% procedur, a krwawienia pozabiegowe towarzyszyły 5% wykonanych zabiegów. ITI została określona jako skuteczna u 67% pacjentów, a mediana czasu do osiągnięcia tolerancji wynosiła 17 miesięcy.

Advate (populacja dzieci i dorosłych): preparat Advate stosowany w ramach profilaktyki długoterminowej prowadzi do uzyskania doskonałej lub dobrej odpowiedzi hemostatycznej u 94% pacjentów. Wskaźnik częstości krwawień wahał się od 0,99 do 6,4 epizodów na rok. Najczęściej występowały krwawienia dostawowe (51%) i domięśniowe (31%). Najczęstszą przyczynę krwawień stanowiły urazy (45% ogółu zdarzeń). W leczeniu doraźnym skuteczność hemostatyczną Advate określono jako doskonałą lub dobrą w przypadku 75 - 100% zabiegów, przy czym w większości badań wskaźnik ten przekraczał 90%. Odsetek pacjentów z co najmniej jedną oceną dobrą lub doskonałą wynosił 97%, natomiast odsetek pacjentów, którzy uzyskiwali wyłącznie odpowiedzi doskonałe lub dobre oszacowano na 95%. Do opanowania większości zdarzeń (90,1%) wystarczyły 1 lub 2 infuzje Advate. W profilaktyce okołozabiegowej preparat Advate przyczyniał się do uzyskania doskonałej lub dobrej odpowiedzi hemostatycznej w przypadku zdecydowanej większości procedur (91 – 100% w zależności od czasu oceny). Zaledwie w przypadku 5% pacjentów utrata krwi była wyższa od przewidywanej. ITI została określona jako skuteczna u 72% pacjentów, a mediana czasu do osiągnięcia tolerancji wyniosła około 4 miesiące.

Octanate (populacja dzieci i dorosłych): stosowany w profilaktyce długoterminowej prowadzi do uzyskania doskonałej odpowiedzi hemostatycznej u 99,9% pacjentów. W leczeniu doraźnym skuteczność hemostatyczną Octanate określono jako doskonałą w przypadku 99,7% epizodów krwawienia. W profilaktyce okołozabiegowej z zastosowaniem preparatu Octanate odpowiedź hemostatyczną oceniono jako doskonałą w 100% przypadków. Nie zaobserwowano krwawień pooperacyjnych, nie było również konieczności dodatkowych infuzji preparatu. ITI została określona jako skuteczna u 79% pacjentów, a średni czas do uzyskania tolerancji wynosił niespełna 3 miesiące.

Immunate (populacja dzieci i dorosłych): w okresie trwania profilaktyki krwawienia odnotowano u 45% pacjentów. W leczeniu doraźnym skuteczność hemostatyczną Immunate oceniono tylko

w przypadku krwawień dostawowych. Ocenę doskonałą lub dobrą przyznano w przypadku 96% lub 99% krwawień w zależności od zastosowanej skali. W odnalezionym badaniu nie raportowano danych odnośnie skuteczności preparatu Immunate w profilaktyce okołozabiegowej, jak również w ITI.

Podsumowanie: Według wnioskodawcy w analizie klinicznej wykazano, że wszystkie oceniane preparaty charakteryzują się udowodnioną i zbliżoną skutecznością kliniczną w leczeniu doraźnym krwawień, jak również w profilaktyce okołozabiegowej. W badaniach z randomizacją wykazano, że stosowanie profilaktyki z udziałem rekombinowanego cz. VIII zamiast leczenia doraźnego przyczynia się do redukcji częstości krwawień oraz ryzyka artropatii hemofilowej. Na podstawie dostępnych danych nie można wykazać różnic pomiędzy poszczególnymi preparatami cz. VIII.

Skuteczność praktyczna

Wnioskodawca nie przeprowadził odrębnej oceny skuteczności praktycznej, jednak badania przedstawione jako dowody skuteczności klinicznej obejmują badania obserwacyjne, prowadzone po wprowadzeniu porównywanych produktów leczniczych do obrotu, a zatem w warunkach rzeczywistej praktyki klinicznej.

Bezpieczeństwo stosowania

W analizie wnioskodawcy ocenę bezpieczeństwa wykonano na podstawie badań włączonych do analizy skuteczności.

Recombinate (populacja dzieci i dorosłych): działania niepożądane występowały średnio u 6,8% pacjentów stosujących preparat Recombinate (6,25 epizodu na pacjenta). Inhibitory występowały u około 10,3% pacjentów. Wśród działań niepożądanych potencjalnie związanych z przyjmowaniem Recombinate zarówno w populacji dzieci jak i dorosłych odnotowano: bóle głowy, lekkie zaczerwienie w połączeniu z nudnościami, infekcje rany pooperacyjnej, infekcje w miejscu wkłucia, kichanie, krwawienie z nosa, krwiak w miejscu wkłucia, nieżyt nosa, powiększenie węzłów karkowych, nudności, pokrzywka, przetrwałe graniczne powiększenie węzłów chłonnych szyjnych i podobojczykowych, wysypka rumieniowa, wytworzenie przeciwciał IgM, wytworzenie przeciwciał przeciwko surowiczej albuminie wołowej, zawroty głowy, zmęczenie, ból w kolanie po podaniu leku.

Zgodnie z ChPL wśród działań niepożądanych związanych z podaniem Recombinate występujących często należy wyróżnić: zaburzenia ze strony układu krwionośnego i limfatycznego (wytworzenie inhibitora dla czynnika VIII), inne (dreszcze, zmęczenie, złe samopoczucie, gorączka, reakcje miejscowe w miejscu wkłucia). Z kolei wśród działań niepożądanych występujących niezbyt często: reakcje alergiczne wynikające z nadwrażliwości (pokrzywka, świąd, obrzęk naczyniowy, hipotensja, ostre zaburzenia oddechowe), zaburzenia ze strony przewodu pokarmowego (nudności, wymioty), infekcje/infestacje, zaburzenia ze strony tkanki łącznej, w tym kostnej i mięśniowej (bóle kończyn), zaburzenia ze strony układu nerwowego (zawroty głowy, drżenie, utrata przytomności, bóle głowy, parestezje), zaburzenia ze strony układu oddechowego, klatki piersiowej, śródpiersia (bóle gardła i krtani, duszność, kaszel), zaburzenia ze strony skóry i tkanki podskórnej (wzmożona potliwość, świąd, wysypka grudkowa), zaburzenia naczyniowe (krwawienie z nosa, rumień na twarzy, krwiak, hipotensja, bladość, ochłodzenie dystalnych części kończyn).

Recombinate vs Kogenate (populacja dorosłych >18 r.ż.): Działania niepożądane odnotowano u 2 z 5 pacjentów w grupie Kogenate oraz u 1 z 7 pacjentów stosujących Recombinate. U pacjentów stosujących Kogenate występowały: reakcje skórne w miejscu iniekcji oraz podwyższony poziom transaminaz. W grupie pacjentów przyjmujących Recombinate stwierdzano powiększenie węzłów chłonnych karkowych.

Profilaktyka długoterminowa vs leczenie doraźne – Advate/Recombinate lub Kogenate Bayer/Kogenate (populacja dzieci <18 r.ż.): najczęściej występowały działania niepożądane o charakterze lokalnym (wysypka, zaczerwienienia, infekcje w miejscu wkłucia) lub leżące u podłoża choroby (m.in. krwawienia dostawowe i domięśniowe).

Advate (populacja dzieci i dorosłych): działania niepożądane odnotowywano u 65% pacjentów (3,8 epizodu na pacjenta) stosujących ten preparat. Odsetek pacjentów z ciężkimi działaniami niepożądanymi wynosił około 6% (0,15 epizodów na pacjenta), natomiast inhibitory występowały u około 1%. Działania niepożądane pojawiające się u pacjentów (dzieci i dorośli) stosujących Advate to: biegunka, bladość, ból brzucha, ból głowy, ból stawów, ból w klatce piersiowej, drżenia,

duszności, gorączka, grypa, infekcja wirusowa, krwawienie podczas usuwania drenu, krwawienie z rany pooperacyjnej, krwiak, krwiak śródstawowy, krwiak w okresie pooperacyjnym, łagodne zapalenie węzła chłonnego w okolicy założenia cewnika obwodowego, migrena, nadmierne pocenie, nadreaktywność, nadwrażliwość, nudności, obrzęk w okolicy rany pooperacyjnej, osłabienie, podwyższone wartości testów wątrobowych, gorsza subiektywna ocena zabezpieczenia przed krwawieniami w porównaniu z wcześniejszymi terapiami, świąd, trzepotanie przedsionków w okresie pooperacyjnym, uderzenia gorąca, umiarkowane obniżenie hematokrytu, uczucie zatkania nosa, wrzód dwunastniczy w okresie pooperacyjnym, wzrost poziomu inhibitora w stosunku do wartości początkowej, zaburzenia lękowe, zaburzenia pamięci, zaburzenia smaku, zaczerwienienie, zakrzepica żylna w okresie pooperacyjnym, zapalenie krtani, zapalenie oka, zawroty głowy, zmęczenie, znaczny spadek poziomu osoczowego czynnika VIII.

Kogenate Bayer (populacja dzieci i dorosłych): działania niepożądane występowały u 18% pacjentów (0,9 epizodu na pacjenta), ciężkie działania niepożądane u 5% pacjentów (0,07 epizodów na pacjenta), a ryzyko wystąpienia inhibitora wynosiło ok. 2%. Działania niepożądane pojawiające się u pacjentów (dzieci i dorośli) stosujących Kogenate Bayer to: wzrost poziomu cd4/cd8, wzrost poziomu antygenu cd4, wzrost poziomu trójglicerydów, spadek poziomu antygenu cd8, alergia (nie ciężka), artroplastyka kolana, biegunka, ból gardła i krtani, ból głowy, ból w klatce piersiowej, cewnikowanie żył, infekcja wirusowa górnych dróg oddechowych, dolegliwości oddechowe, dolegliwości żołądkowe, zapalenie błony śluzowej żołądka, hyperestezja, infekcje związane z cewnikowaniem, katar, krwawienie lewej ręki podczas nakłucia, krwotok wątrobowy, lipotymia, łagodne zawroty głowy, łojotokowe zapalenie skóry, nadciśnienie, potliwość/nadmierna potliwość, niepokój, nieprawidłowe wyniki badań laboratoryjnych, obrażenia kończyn, ostre zapalenie jelit, reakcje alergiczne, spadek liczby płytek krwi, świąd, uczucie pieczenia twarzy, wymioty, wysypka, wysypka i świąd, wzrost miana inhibitora, zaburzenia smakowe, zakrzepica żylna w okresie pooperacyjnym, zakrzepowe zapalenie żył, zapalenie ucha zewnętrznego, zaparcia, zwichnięcie wyrostków stawowych kręgów szyjnych.

Octanate (populacja dzieci i dorosłych): działania niepożądane występowały średnio u 37% pacjentów (4,7 epizodów na pacjenta), ciężkie działania niepożądane średnio u 45% pacjentów (1,46 epizodów na pacjenta), a częstość wystąpienia inhibitora wynosiła ok. 6%. Działania niepożądane pojawiające się u pacjentów (dzieci i dorośli) stosujących Octanate to: dreszcze, infekcja w miejscu wkłucia centralnego, komplikacje okołozabiegowe, obecność inhibitora cz. VIII o silnej odpowiedzi, serokonwersja wirusa B19,serokonwersja HAV, serokonwersja HIV, serokonwersja HCV, serokonwersja HBV, serokonwersja wirusów, wysypka, zapalenie żył w miejscu wkłucia, złe samopoczucie/zmęczenie.

Immunate (populacja dzieci i dorosłych): działania niepożądane występowały średnio u 41% pacjentów. Spośród wszystkich 78 działań niepożądanych (1,4 epizodów na pacjenta), odnotowano 1 zdarzenie związane z leczeniem oraz 5 zdarzeń o charakterze ciężkim. Nie stwierdzono obecności inhibitora u żadnego z pacjentów. Nie odnotowano żadnego przypadku zgonu. Działania niepożądane pojawiające się u pacjentów (dzieci i dorośli) stosujących Immunate to: reakcja w miejscu wkłucia oraz nieprawidłowe wyniki badań serologicznych związane z terapią.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Opierając się na założeniu, że koncentraty krzepnięcia stosowane w hemofilii A nie różnią się pomiędzy sobą pod względem skuteczności, jak i bezpieczeństwa, wnioskodawca przedstawił analizę minimalizacji kosztów produktu Recombinate w porównaniu z aktualnie refundowanymi koncentratami czynnika VIII – osoczopochodnymi i rekombinowanymi II i III generacji. Analizę przeprowadzono w horyzoncie rocznym, z perspektywy płatnika publicznego (NFZ+MZ), która ze względu na brak partycypacji pacjentów w kosztach terapii jest równoważna perspektywie wspólnej pacjentów i płatnika publicznego. W analizie uwzględniono wyłącznie koszty czynników krzepnięcia.

[redacted]

Wpływ na budżet płatnika publicznego

[redacted]

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Wnioskodawca nie przedstawił analizy racjonalizacyjnej, mimo że analiza wpływu na budżet wykazała wzrost kosztów refundacji, przy wnioskowanej cenie, w przypadku niezawarcia proponowanej umowy dotyczącej podziału ryzyka. Wnioskodawca argumentuje, że „mało prawdopodobne jest, że wygrany przetarg będzie opiewał na maksymalną cenę czynnika krzepnięcia", uważa również, że „przed takim scenariuszem chroni proponowana umowa podziału ryzyka."

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Odnaleziono łącznie trzynaście pozytywnych rekomendacji klinicznych dotyczących stosowania koncentratów rekombinowanego lub osoczopochodnego czynnika VIII w leczeniu doraźnym i zapobieganiu krwawieniom u pacjentów w każdym wieku z hemofilią A: RCHM 2012, MASAC 2011, BCSH 2011, 2010, GMA 2009, PTHT 2008, EHAD 2008, WUM 2008, UKHCDO 2008, RFVE 2008, AHCDO, AHTA 2006, WFH 2005, *Prescrire* 1995. Jedynie w zaleceniach australijskich (RCHM 2012) wśród rekombinowanych czynników VIII wymieniany jest preparat Recombinate 250, 500, 1000 IU - zalecana dawka czynnika krzepnięcia w przypadku leczenia doraźnego krwawień: 40 j.m./kg/dzień lub dawka profilaktyczna hemofilii A: 20 j.m./kg/dzień.

W jednej odnalezionej rekomendacji dotyczącej finansowania (HAS 2010) w leczeniu i zapobieganiu krwawieniom u pacjentów z hemofilią A zaleca się refundację produktów zawierających substancję czynną - octocog alfa (rekombinowany czynnik krzepnięcia VIII), w tym: Advate, Kogenate Bayer, Octanate, Helixate NexGen.

Dodatkowe uwagi Rady

Nie dotyczy.

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

.....

[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 nr AOTM-OT-4351-6/2012 „Wniosek o objęcie refundacją leku Recombinate (octocog alfa) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"", sierpień 2012 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie: opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady 03.08.2012 r.

Stanowisko Rady Przejrzystości nr 66/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie zasadności finansowania leku Recombinate (octocog alfa), EAN: 5909990736997, we wskazaniach: pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego

Rada Przejrzystości rekomenduje finansowanie preparatu Recombinate w ramach funkcjonującego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” [redacted] *dla pacjenta, jedynie w wypadku zastosowania zaproponowanego przez producenta instrumentu podziału ryzyka, w ramach grupy limitowej rekombinowanego czynnika VIII.*

Uzasadnienie

Leczenie profilaktyczne i doraźne krwawień za pomocą preparatu Recombinate, uwzględniając umowę podziału ryzyka, wiąże się z takimi samymi kosztami, jak za pomocą preparatu [redacted] *oraz z rocznymi oszczędnościami w wydatkach płatnika w porównaniu z zastosowaniem preparatów* [redacted] *w zależności od ciężkości choroby pacjenta. Roczne oszczędności wynoszą do* [redacted] *zł.*

Przedmiot wniosku

Minister Zdrowia przekazał 6 wniosków, dotyczących następujących produktów leczniczych zawierających substancję czynną octocog alfa:

- Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990083398;
- Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990736997;
- Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990083350;
- Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990736980;
- Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990083343;
- Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990736973.

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990736997.

Podmiot odpowiedzialny wnioskuje o objęcie w/w leków refundacją w ramach istniejącego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B", w następujących wskazaniach:

- pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia 2 roku życia;
- pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci powyżej 2 roku życia;
- wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia 2 roku życia;
- wtórna profilaktyka krwawień u dzieci powyżej 2 roku życia;
- zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego.

Ponadto z opisu załączonego programu lekowego (ze zmianami proponowanymi przez wnioskodawcę) wynika, że produkty Recombinate miałyby być stosowane u chorych, u których obecnie stosuje się wyłącznie koncentraty osoczopochodnych (ludzkich) czynników krzepnięcia, tj. w module pierwotnej profilaktyki krwawień u dzieci z ciężką postacią hemofilii, u których zachowywana jest tzw. „pierwotna ciągłość leczenia", w tym osłona hemostatyczna w przypadkach, w których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego oraz w module profilaktyki wtórnej.

Problem zdrowotny

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Alternatywne technologie medyczne

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Skuteczność kliniczna

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Skuteczność praktyczna

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Bezpieczeństwo stosowania

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Dodatkowe uwagi Rady

Patrz: stanowisko nr 64/2012

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

.....

[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 nr AOTM-OT-4351-6/2012 „Wniosek o objęcie refundacją leku Recombinate (octocog alfa) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"", sierpień 2012 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie: opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady 03.08.2012 r.

Stanowisko Rady Przejrzystości nr 67/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie zasadności finansowania leku Recombinate (octocog alfa), EAN: 5909990083350, we wskazaniach: pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego

Rada Przejrzystości rekomenduje finansowanie preparatu Recombinate w ramach funkcjonującego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” [redacted] *dla pacjenta, jedynie w wypadku zastosowania zaproponowanego przez producenta instrumentu podziału ryzyka, w ramach grupy limitowej rekombinowanego czynnika VIII.*

Uzasadnienie

Leczenie profilaktyczne i doraźne krwawień za pomocą preparatu Recombinate, uwzględniając umowę podziału ryzyka, wiąże się z takimi samymi kosztami, jak za pomocą preparatu [redacted] *oraz z rocznymi oszczędnościami w wydatkach płatnika w porównaniu z zastosowaniem* [redacted] *w zależności od ciężkości choroby pacjenta. Roczne oszczędności wynoszą do* [redacted] *zł.*

Przedmiot wniosku

Minister Zdrowia przekazał 6 wniosków, dotyczących następujących produktów leczniczych zawierających substancję czynną octocog alfa:

- Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990083398;
- Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990736997;
- Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990083350;
- Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990736980;
- Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990083343;
- Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990736973.

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990083350.

Podmiot odpowiedzialny wnioskuje o objęcie w/w leków refundacją w ramach istniejącego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B", w następujących wskazaniach:

- pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia 2 roku życia;
- pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci powyżej 2 roku życia;
- wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia 2 roku życia;
- wtórna profilaktyka krwawień u dzieci powyżej 2 roku życia;
- zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego.

Ponadto z opisu załączonego programu lekowego (ze zmianami proponowanymi przez wnioskodawcę) wynika, że produkty Recombinate miałyby być stosowane u chorych, u których obecnie stosuje się wyłącznie koncentraty osoczopochodnych (ludzkich) czynników krzepnięcia, tj. w module pierwotnej profilaktyki krwawień u dzieci z ciężką postacią hemofilii, u których zachowywana jest tzw. „pierwotna ciągłość leczenia", w tym osłona hemostatyczna w przypadkach, w których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego oraz w module profilaktyki wtórnej.

Problem zdrowotny

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Alternatywne technologie medyczne

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Skuteczność kliniczna

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Skuteczność praktyczna

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Bezpieczeństwo stosowania

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Dodatkowe uwagi Rady

Patrz: stanowisko nr 64/2012

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

.....

[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 nr AOTM-OT-4351-6/2012 „Wniosek o objęcie refundacją leku Recombinate (octocog alfa) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"", sierpień 2012 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie: opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady 03.08.2012 r.

Stanowisko Rady Przejrzystości nr 68/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie zasadności finansowania leku Recombinate (octocog alfa), EAN: 5909990736980, we wskazaniach: pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego

Rada Przejrzystości rekomenduje finansowanie preparatu Recombinate w ramach funkcjonującego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” [redacted] *dla pacjenta, jedynie w wypadku zastosowania zaproponowanego przez producenta instrumentu podziału ryzyka, w ramach grupy limitowej rekombinowanego czynnika VIII.*

Uzasadnienie

Leczenie profilaktyczne i doraźne krwawień za pomocą preparatu Recombinate, uwzględniając umowę podziału ryzyka, wiąże się z takimi samymi kosztami, jak za pomocą preparatu [redacted] *oraz z rocznymi oszczędnościami w wydatkach płatnika w porównaniu z zastosowaniem preparatów* [redacted] *w zależności od ciężkości choroby pacjenta. Roczne oszczędności wynoszą do* [redacted] *zł.*

Przedmiot wniosku

Minister Zdrowia przekazał 6 wniosków, dotyczących następujących produktów leczniczych zawierających substancję czynną octocog alfa:

- Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990083398;
- Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990736997;
- Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990083350;
- Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990736980;
- Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990083343;
- Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990736973.

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990736980.

Podmiot odpowiedzialny wnioskuje o objęcie w/w leków refundacją w ramach istniejącego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B", w następujących wskazaniach:

- pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia 2 roku życia;
- pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci powyżej 2 roku życia;
- wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia 2 roku życia;
- wtórna profilaktyka krwawień u dzieci powyżej 2 roku życia;
- zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego.

Ponadto z opisu załączonego programu lekowego (ze zmianami proponowanymi przez wnioskodawcę) wynika, że produkty Recombinate miałyby być stosowane u chorych, u których obecnie stosuje się wyłącznie koncentraty osoczopochodnych (ludzkich) czynników krzepnięcia, tj. w module pierwotnej profilaktyki krwawień u dzieci z ciężką postacią hemofilii, u których zachowywana jest tzw. „pierwotna ciągłość leczenia", w tym osłona hemostatyczna w przypadkach, w których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego oraz w module profilaktyki wtórnej.

Problem zdrowotny

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Alternatywne technologie medyczne

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Skuteczność kliniczna

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Skuteczność praktyczna

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Bezpieczeństwo stosowania

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Dodatkowe uwagi Rady

Patrz: stanowisko nr 64/2012

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

.....

[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 nr AOTM-OT-4351-6/2012 „Wniosek o objęcie refundacją leku Recombinate (octocog alfa) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"", sierpień 2012 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie: opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady 03.08.2012 r.

Stanowisko Rady Przejrzystości nr 69/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie zasadności finansowania leku Recombinate (octocog alfa), EAN: 5909990083343, we wskazaniach: pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego

Rada Przejrzystości rekomenduje finansowanie preparatu Recombinate w ramach funkcjonującego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” [redacted] *dla pacjenta, jedynie w wypadku zastosowania zaproponowanego przez producenta instrumentu podziału ryzyka, w ramach grupy limitowej rekombinowanego czynnika VIII.*

Uzasadnienie

Leczenie profilaktyczne i doraźne krwawień za pomocą preparatu Recombinate, uwzględniając umowę podziału ryzyka, wiąże się z takimi samymi kosztami, jak za pomocą preparatu [redacted] *oraz z rocznymi oszczędnościami w wydatkach płatnika w porównaniu z zastosowaniem* [redacted] *w zależności od ciężkości choroby pacjenta. Roczne oszczędności wynoszą do* [redacted] *zł.*

Przedmiot wniosku

Minister Zdrowia przekazał 6 wniosków, dotyczących następujących produktów leczniczych zawierających substancję czynną octocog alfa:

- Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990083398;
- Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990736997;
- Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990083350;
- Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990736980;
- Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990083343;
- Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990736973.

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990083343.

Podmiot odpowiedzialny wnioskuje o objęcie w/w leków refundacją w ramach istniejącego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B", w następujących wskazaniach:

- pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia 2 roku życia;
- pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci powyżej 2 roku życia;
- wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia 2 roku życia;
- wtórna profilaktyka krwawień u dzieci powyżej 2 roku życia;
- zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego.

Ponadto z opisu załączonego programu lekowego (ze zmianami proponowanymi przez wnioskodawcę) wynika, że produkty Recombinate miałyby być stosowane u chorych, u których obecnie stosuje się wyłącznie koncentraty osoczopochodnych (ludzkich) czynników krzepnięcia, tj. w module pierwotnej profilaktyki krwawień u dzieci z ciężką postacią hemofilii, u których zachowywana jest tzw. „pierwotna ciągłość leczenia", w tym osłona hemostatyczna w przypadkach, w których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego oraz w module profilaktyki wtórnej.

Problem zdrowotny

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Alternatywne technologie medyczne

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Skuteczność kliniczna

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Skuteczność praktyczna

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Bezpieczeństwo stosowania

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Dodatkowe uwagi Rady

Patrz: stanowisko nr 64/2012

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

.....

[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 nr AOTM-OT-4351-6/2012 „Wniosek o objęcie refundacją leku Recombinate (octocog alfa) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"", sierpień 2012 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie: opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady 03.08.2012 r.

Stanowisko Rady Przejrzystości nr 70/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie zasadności finansowania leku Recombinate (octocog alfa), EAN: 5909990736973, we wskazaniach: pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego

Rada Przejrzystości rekomenduje finansowanie preparatu Recombinate w ramach funkcjonującego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” [redacted] *dla pacjenta, jedynie w wypadku zastosowania zaproponowanego przez producenta instrumentu podziału ryzyka, w ramach grupy limitowej rekombinowanego czynnika VIII.*

Uzasadnienie

Leczenie profilaktyczne i doraźne krwawień za pomocą preparatu Recombinate, uwzględniając umowę podziału ryzyka, wiąże się z takimi samymi kosztami, jak za pomocą preparatu [redacted] *oraz z rocznymi oszczędnościami w wydatkach płatnika w porównaniu z zastosowaniem preparatów* [redacted] *w zależności od ciężkości choroby pacjenta. Roczne oszczędności wynoszą do* [redacted] *zł.*

Przedmiot wniosku

Minister Zdrowia przekazał 6 wniosków, dotyczących następujących produktów leczniczych zawierających substancję czynną octocog alfa:

- Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990083398;
- Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990736997;
- Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990083350;
- Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990736980;
- Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990083343;
- Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990736973.

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990736973.

Podmiot odpowiedzialny wnioskuje o objęcie w/w leków refundacją w ramach istniejącego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B", w następujących wskazaniach:

- pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia 2 roku życia;
- pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci powyżej 2 roku życia;
- wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia 2 roku życia;
- wtórna profilaktyka krwawień u dzieci powyżej 2 roku życia;
- zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego.

Ponadto z opisu załączonego programu lekowego (ze zmianami proponowanymi przez wnioskodawcę) wynika, że produkty Recombinate miałyby być stosowane u chorych, u których obecnie stosuje się wyłącznie koncentraty osoczopochodnych (ludzkich) czynników krzepnięcia, tj. w module pierwotnej profilaktyki krwawień u dzieci z ciężką postacią hemofilii, u których zachowywana jest tzw. „pierwotna ciągłość leczenia", w tym osłona hemostatyczna w przypadkach, w których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego oraz w module profilaktyki wtórnej.

Problem zdrowotny

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Alternatywne technologie medyczne

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Skuteczność kliniczna

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Skuteczność praktyczna

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Bezpieczeństwo stosowania

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Patrz: stanowisko nr 64/2012

Dodatkowe uwagi Rady

Patrz: stanowisko nr 64/2012

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

.....

[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 nr AOTM-OT-4351-6/2012 „Wniosek o objęcie refundacją leku Recombinate (octocog alfa) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"", sierpień 2012 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie: opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady 03.08.2012 r.

Uchwała Rady Przejrzystości nr 253/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie sposobu wydania stanowisk w sprawie zasadności finansowania produktu leczniczego Recombinate (octocog alfa) we wskazaniu: pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego

Rada przyjmuje treść stanowisk w sprawie zasadności finansowania produktów leczniczych:

- *Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990083398;*
- *Recombinate 1000 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 100 mg/1 ml, kod EAN 5909990736997;*
- *Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990083350;*
- *Recombinate 500 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 50 mg/1 ml, kod EAN 5909990736980;*
- *Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990083343;*
- *Recombinate 250 IU, Octocog alfa, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/1 ml, kod EAN 5909990736973.*

jak w załączeniu.

.....

[redacted]

[redacted]

Załączniki:

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 65/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie zasadności finansowania leku Recombinate (octocog alfa), EAN: 5909990083398, we wskazaniach: pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego.

2. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 66/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie zasadności finansowania leku Recombinate (octocog alfa), EAN: 5909990736997, we wskazaniach: pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego.
3. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 67/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie zasadności finansowania leku Recombinate (octocog alfa), EAN: 5909990083350, we wskazaniach: pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego.
4. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 68/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie zasadności finansowania leku Recombinate (octocog alfa), EAN: 5909990736980, we wskazaniach: pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego.
5. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 69/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie zasadności finansowania leku Recombinate (octocog alfa), EAN: 5909990083343, we wskazaniach: pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego.
6. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 70/2012 z dnia 3 września 2012 r. w sprawie zasadności finansowania leku Recombinate (octocog alfa), EAN: 5909990736973, we wskazaniach: pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; wtórna profilaktyka krwawień u dzieci do ukończenia i powyżej 2 roku życia; zapewnienie czynnika VIII do zabiegu u dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego

Opinia Rady Przejrzystości nr 184/2012 z dnia 3 września 2012 o projekcie programu „Monitorowanie stanu zdrowia jamy ustnej populacji polskiej w latach 2013-2015” realizowanym przez Ministerstwo Zdrowia

Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Monitorowanie stanu zdrowia jamy ustnej populacji polskiej w latach 2013-2015” Ministerstwa Zdrowia.

Uzasadnienie

Program odnosi się do ważnego problemu zdrowotnego, realizuje priorytety Narodowego Programu Zdrowia na lata 2007-2015 w ramach celu operacyjnego 11 „Intensyfikacji zapobiegania próchnicy u dzieci i młodzieży". Ponadto projekt służy osiągnięciu strategicznych celów zdrowotnych, jakie zostały sformułowane przez międzynarodowe organizacje: FDI, IAPD, IADR, WHO.

Zdaniem ekspertów, programy z zakresu monitorowania stanu zdrowia jamy ustnej populacji polskiej, z uwzględnieniem wskaźnikowych grup wiekowych, powinny być prowadzone i finansowane ponieważ umożliwiają uzyskanie informacji dotyczących planowania działań profilaktycznych, określenia potrzeb diagnostyczno-leczniczych i wskazują na konkretne działania jakie powinny być podjęte w celu usprawnienia systemu opieki zdrowotnej.

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest program zdrowotny będący kontynuacją programu pn. „Monitorowanie stanu zdrowia jamy ustnej populacji polskiej w latach 2010-2012”. Celem głównym przedmiotowego programu jest ocena stanu zdrowia jamy ustnej dzieci i osób dorosłych, a także badanie zjawisk społecznych, ekonomicznych, organizacyjnych i kulturowych, warunkujących stwierdzony w trakcie prowadzonych badań stomatologicznych stan zdrowia. Prowadzone w ramach programu badania epidemiologiczne i socjomedyczne będą miały zasięg ogólnopolski i będą realizowane w oparciu o corocznie prowadzone badania epidemiologiczne i socjomedyczne określonych indeksowych grup wiekowych populacji. Badane będą dzieci w wieku 3, 5, 6, 7, 12, 15 lat oraz osoby dorosłe w wieku 18, 35-44 i 65-74 lat. Wymienione grupy będą objęte badaniem stomatologicznym i ankietowym. Uzyskane wyniki badań będą wyrażone przy użyciu wskaźników międzynarodowych takich jak: dmft, DMFT, dt, DT, MT, SIC, CPI oraz wskaźnik zachowawczego leczenia próchnicy. Dodatkowo, w trakcie trwania badań epidemiologicznych, będzie prowadzona edukacja w zakresie zdrowia jamy ustnej. Koszt realizacji proponowanych działań to 550 000 zł w 2013 r., 550 000 zł w 2014 r. oraz 600 000 zł w 2015 r. Środki na realizacje programu będą zabezpieczone z budżecie ministra właściwego do spraw zdrowia, realizatorzy nie będą wnosić własnego wkładu. Ponadto realizatorzy będą wyznaczani w drodze postępowania konkursowego.

Problem zdrowotny

Próchnica zębów obok choroby niedokrwiennej serca, nowotworów, cukrzycy typu 2 czy alergii, jako współczesna poważna choroba cywilizacyjna, jest silnie warunkowana stylem życia, czynnikami systemowymi i środowiskowymi. Obok takich wskaźników jak: średnia długość trwania życia, umieralność niemowląt, zapadalność na gruźlicę, HBV, czy HIV/AIDS – wskaźniki określające próchnicę zębów są bardzo czułymi miernikami rozwoju społeczno-cywilizacyjnego i kulturowego danego kraju. Próchnica, według definicji 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. Jest to choroba należąca do najbardziej rozpowszechnionych chorób w populacji dzieci i młodzieży.

Choroby przyzębia są przewlekłym stanem zapalnym, które podzielono na dotyczące tylko dziąseł (gingivitis) oraz zapalenie przyzębia (periodontitis) obejmujące leżące głębiej tkanki podporowe zęba, takie jak więzadło zębowe i kość wyrostka zębodołowego. Liczne badania epidemiologiczne wskazują na powiązanie złego stanu zdrowia jamy ustnej z chorobami sercowo-naczyniowymi (CVD), złą kontrolą glikemiczną w cukrzycy i niską masą urodzeniową, łącznie z licznymi innymi chorobami m.in. takimi jak reumatyczne zapalenie stawów i osteoporoza. Choroba przyzębia i zła higiena jamy ustnej stanowi poważny problem u pacjentów z obniżoną odpornością lub z innymi poważnymi i przewlekłymi stanami chorobowymi. Przewlekłe zapalne choroby przyzębia są szeroko rozprzestrzenione w świecie i są najczęściej występujące spośród chorób przewlekłych u ludzi. Prawidłowa higiena jamy ustnej jest istotna dla dobrego zdrowia jamy ustnej i w tym kontekście kontrola płytki nazębnej ma fundamentalne znaczenie.

Najczęstszym nowotworem złośliwym jamy ustnej jest rak płaskonabłonkowy. Nadużywanie alkoholu, palenie papierosów, zła higiena jamy ustnej należą do czynników zwiększających ryzyko przemiany nowotworowej. Największa zachorowalność, z wyraźną przewagą wśród mężczyzn, jest w grupie wiekowej 50-70 lat, ale może dotyczyć również pacjentów młodszych.

Alternatywne świadczenia

Nie dotyczy.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

Wnioski z oceny problemu zdrowotnego

Próchnica zębów u dzieci i młodzieży, ze względu na częstość występowania, poważne i kosztowne następstwa spowodowane niepodjęciem leczenia i powikłaniami oraz zależność od stylu życia, jest problemem o znaczeniu społecznym i stanowi istotny element zdrowia publicznego. Problem próchnicy jest na tyle istotny, że znalazł się wśród celów operacyjnych Narodowego Programu Zdrowia na lata 2007–2015. Mimo poprawy sytuacji w ostatnich latach, Polska nadal należy do państw europejskich o najgorszych wynikach w dziedzinie zapobiegania próchnicy, duże są też różnice pomiędzy poszczególnymi rejonami kraju.

Według Światowej Organizacji Zdrowia, a także wytycznych klinicznych (np. amerykańskich) szkoła jest najkorzystniejszym środowiskiem do wykorzystania w celu promocji zdrowia jamy ustnej oraz działań profilaktycznych; realizacja programów profilaktyki próchnicy w szkole przynosi najlepsze efekty i zapewnia najszerszy krąg oddziaływania, zwłaszcza zapewnia dotarcie do środowisk o niskim statusie socjoekonomicznym zwiększającym ryzyko zaniedbań, ma poza tym duże szanse być kosztowo-efektywna.

Podstawowe zalecenia dotyczące profilaktyki próchnicy wynikające z odnalezionych wytycznych opartych na systematycznych przeglądach dowodów naukowych (również wskazówki Polskiego Towarzystwa Stomatologicznego oraz pytanych 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).

Wnioski z oceny programu Ministerstwa Zdrowia:

- Zdaniem ekspertów, programy z zakresu monitorowania stanu zdrowia jamy ustnej populacji polskiej, z uwzględnieniem wskaźnikowych grup wiekowych, powinny być prowadzone i finansowane.

- Monitorowanie populacyjnego stanu zdrowia jamy ustnej jest rekomendowane przez WHO, a także przez wiele innych instytucji.
- W projekcie prawidłowo dobrano grupy wskaźnikowe – w odniesieniu do wytycznych WHO i opinii ekspertów.
- Dodatkową wartością projektu jest edukacja z zakresu prawidłowej higieny jamy ustnej adresowana zarówno do dzieci, jak i do osób dorosłych. Działania takie pozostają w zgodzie z wytycznymi.
- Wskaźniki monitorowania przyjęte we wnioskowanym projekcie pozostają w zgodzie z literaturą przedmiotu. Opisane wskaźniki są także rekomendowane przez ekspertów klinicznych.

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

- Program odnosi się do ważnego problemu zdrowotnego, realizuje priorytety Narodowego Programu Zdrowia na lata 2007-2015 w ramach celu operacyjnego 11 „Intensyfikacji zapobiegania próchnicy u dzieci i młodzieży". Ponadto projekt służy osiągnięciu strategicznych celów zdrowotnych, jakie zostały sformułowane przez międzynarodowe organizacje: FDI, IAPD, IADR, WHO;
- Dostępność działań programu dla beneficjentów – projekt oprócz monitoringu stanu zdrowia jamy ustnej przewiduje również prowadzenie edukacji. W każdej z wylosowanych miejscowości w dniu zakończenia badań będą organizowane otwarte dla całej społeczności lokalnej spotkania z lekarzem dentystą i higienistką stomatologiczną/mgr zdrowia publicznego/pielęgniarką, na których będą prezentowane najważniejsze informacje dotyczące zdrowego stylu życia oraz higieny jamy ustnej. Edukacja będzie prowadzona również w szkołach/przedszkolach, w których prowadzone będą badania;
- Skuteczność działań – Stomatologiczne badania epidemiologiczne uważane są za istotne narzędzie do ograniczania procesów chorobowych w jamie ustnej. Umożliwiają ocenę stanu zdrowia jamy ustnej, planowanie działań profilaktyczno-leczniczych i ocenę skuteczności zrealizowanych programów i metod. Monitorowanie populacyjnego stanu zdrowia jamy ustnej jest rekomendowane przez WHO, a także przez wiele innych instytucji. Edukacja dotycząca zdrowia jamy ustnej, adresowana zarówno do dzieci i dorosłych jest także działaniem rekomendowanym i skutecznym;
- W Projekcie oszacowano koszty realizacji Programu, jednak ciężko stwierdzić czy jest to efektywne wykorzystanie środków;
- W Programie opisano system monitorowanie oczekiwanych efektów i jego realizacji. Przyjęte wskaźniki monitorowania są adekwatne do przyjętych celów. Ponadto przyjęte wskaźniki są zgodne z literaturą przedmiotu i są rekomendowane przez ekspertów klinicznych.

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 „Monitorowanie stanu zdrowia jamy ustnej populacji polskiej w latach 2013-2015" realizowanym przez Ministerstwo Zdrowia, nr: AOTM-OT-440-2/2012, Warszawa, sierpień2012 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 187/2012 z dnia 3 września 2012 o projekcie programu „Kompleksowa rehabilitacja i terapia dzieci niepełnosprawnych z terenu Miasta Radlina”

Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Kompleksowa rehabilitacja i terapia dzieci niepełnosprawnych z terenu Miasta Radlina”.

Uzasadnienie

Projekt dotyczy istotnego problemu zdrowotnego, którego efekty można skutecznie ograniczać. Program zawiera budżet, tj. oszacowano koszty całkowite oraz jednostkowe; cel główny, cele szczegółowe oraz sposób monitorowania efektów Programu. Rada rekomenduje ponadto korzystanie wyłącznie z interwencji o udowodnionej skuteczności (zalecanych w wytycznych).

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego miasta Radlin z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży. Populację programu stanowią dzieci zamieszkałe i zameldowane na terenie miasta Radlina w przedziale wiekowym od 0 do 18 lat z deficytami rozwojowymi (0 - 7 lat z zaburzeniami rozwojowymi i okołoporodowymi oraz spowodowanymi ciążą wysokiego ryzyka; 3 - 18 lat z dysfunkcjami ośrodkowego układu nerwowego i głęboką sprzężoną niepełnosprawność; 7 - 18 lat z dysfunkcją narządu ruchu np.: wadami postawy, płaskostopiem, skoliozami niskiego stopnia). Za główny cel programu uznano zapewnienie możliwości kontynuowania procesu rehabilitacji po wykorzystaniu gwarantowanych świadczeń zdrowotnych i korzystania z ponadstandardowych form wieloprofilowego leczenia, rehabilitacji i usprawniania. Jako cele szczegółowe wskazano: wczesne rozpoczęcie działań rehabilitacyjnych u najmłodszych dzieci zagrożonych nieprawidłowym rozwojem; stworzenie warunków do przywrócenia i poprawy stanu zdrowia; kształtowanie i utrwalanie umiejętności niezbędnych do samodzielnego życia; przywrócenie możliwości lub nabycie umiejętności życia i działania w środowisku rodzinnym i społecznym; kształtowanie prawidłowych wzorców postawy i ruchu dzieci i młodzieży w granicach ich możliwości, edukowanie rodziców w zakresie opieki, pielęgnacji i stymulacji rozwoju dziecka, udzielanie rodzicom porad i instruktażu w zakresie metod i technik stosowanych w rehabilitacji dziecka, inspirowanie rodziców dzieci niepełnosprawnych do współpracy z zespołem terapeutycznym poprzez udział w posiedzeniach teamów terapeutycznych; objęcie opieką i wsparciem rodziców dzieci niepełnosprawnych w ramach organizowanych form pomocowych: grupa wsparcia, spotkania integracyjno-edukacyjne i terapeutyczne. Planowane działania obejmują: 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; uczestnictwo dzieci i rodziców w różnego rodzaju imprezach sportowo-rekreacyjnych i kulturalno-oświatowych o charakterze integracyjnym. Program ma być realizowany w latach 2012 – 2016, projekt zawiera szacowane koszty całkowite oraz koszty jednostkowe w 2012 roku. Projekt ma być finansowany ze środków budżetu miasta Radlin.

Problem zdrowotny

Niepełnosprawność jest problemem ogólnoświatowym, 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 funkcjonowaniu. 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. Oczywiście problem niepełnosprawności nie dotyczy tylko osób starszych. Może on wystąpić także wśród osób bardzo młodych, a nawet malutkich dzieci wskutek wad wrodzonych, chorób przewlekłych, wypadków czy urazów. Bez względu na przyczyny niepełnosprawności jest ona poważnym problem społecznym.

Wyniki opracowanego wspólnie przez WHO oraz Bank Światowy światowego raportu na temat niepełnosprawności, wskazują, że na całym świecie, osoby niepełnosprawne są bardziej podatne na możliwe do uniknięcia wtórne problemy zdrowotne oraz choroby współtowarzyszące, mają niższe osiągnięcia edukacyjne, są mniej aktywne zawodowo, częściej w porównaniu do osób sprawnych doświadczają ubóstwa, nie zawsze są w stanie żyć samodzielnie czy w pełni funkcjonować w życiu społecznym. Wynika to częściowo z napotykanych przez osoby niepełnosprawne barier w dostępie do usług, w tym zdrowia, edukacji, zatrudnienia, transportu i informacji. Trudności te nasilają się w społecznościach mniej uprzywilejowanych

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

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 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.

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, 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 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, dostępność, bliskość, przystępność finansowa, interdyscyplinarność oraz zróżnicowanie świadczeń to warunki konieczne. aby społeczny model Wczesnej Interwencji oraz Wczesnego Wsparcia Rozwoju Dziecka funkcjonował dobrze.

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

I. Program odnosi się do ważnego problemu zdrowotnego, którego efekty można skutecznie ograniczać. Efekty programu trudno jest monitorować i oceniać.

II. Program stwarza dostęp beneficjentów do oferowanych świadczeń, jest dobrze dopasowany do potrzeb grupy docelowej.

III. Program wykorzystuje interwencje o udowodnionej skuteczności i zalecane w wytycznych, ale także prawdopodobnie te o nieudowodnionej skuteczności w danych stanach klinicznych i w związku z tym niezalecane. Program stanowi logiczną i spójną kontynuację świadczeń gwarantowanych.

IV. W projekcie Programu oszacowano koszty całkowite i jednostkowe. Nie można orzec, czy planowany Program w optymalny sposób spożytkuje udostępnione przez gminę zasoby.

V. Autorzy projektu podają cel główny, cele szczegółowe oraz wskazują na sposób monitorowania efektów Programu. Należy jednak uznać, że ze względu na charakter problemu zdrowotnego i planowanych interwencji, nie jest możliwa miarodajna i wiarygodna ocena skuteczności 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 „Kompleksowa rehabilitacja i terapia dzieci niepełnosprawnych z terenu Miasta Radlina" realizowanym przez Miasto Radlin, nr: AOTM-OT-441-122/2012, Warszawa, sierpień 2012 i aneksu „Programy z zakresu kompleksowej terapii i rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży– wspólne podstawy oceny", Aneks do raportów szczegółowych, sierpień 2012.

Opinia Rady Przejrzystości nr 185/2012 z dnia 3 września 2012 r. o programie zdrowotnym „Terapia przeciwobrzękowa dla kobiet po mastektomii na lata 2012 – 2015" gminy miasta Radom

Rada pozytywnie opiniuje program zdrowotny „Terapia przeciwobrzękowa dla kobiet po mastektomii na lata 2012 – 2015" gminy miasta Radom, pod warunkiem objęcia wszystkich potrzebujących kobiet gminy miasta Radom.

Uzasadnienie

Program, mimo iż nie wpisuje się w priorytety zdrowotne, odnosi się do ważnego problemu zdrowotnego, gdyż ogranicza negatywne konsekwencje jednej z częstszych metod leczenia nowotworów piersi u kobiet (najczęstszy nowotwór u kobiet), jakim jest zabieg amputacji piersi.

Odnaleziona niewielka liczba dowodów naukowych, w których oceniano skuteczność planowanych w projekcie interwencji, dowodzi, że planowane interwencje są skuteczne (na zmniejszenie obrzęku limfatycznego wpływa zastosowanie terapii kompleksowej obejmującej taping, masaż limfatyczny oraz pielęgnację skóry), jednak autorzy podkreślają potrzebę dalszych badań.

Rehabilitacja psychofizyczna wpływa nie tylko na poprawę stanu fizycznego i psychicznego, ale wpływa także na zwiększenie odsetka kobiet, które wracają do pracy. Wskaźniki opisane w programie są adekwatne, lecz wydaje się, że dodatkowym cennym wskaźnikiem byłaby liczba kobiet powracających do pracy zawodowej.

Biorąc pod uwagę fakt długiego czasu oczekiwania na rehabilitację finansowaną ze środków publicznych oraz niskie limity – o czym piszą eksperci w swoich opiniach, wydaje się, że projekt stanowi wsparcie dla systemu ochrony zdrowia.

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego gminy miasta Radom w zakresie rehabilitacji psychofizycznej kobiet po mastektomii. Za cele programu uznano: uzyskanie optymalnej adaptacji do zmienionych warunków życia pacjentek po usunięciu piersi z powodu raka; zmniejszenie niedostosowania fizycznego, psychicznego, społecznego i zawodowego w tej grupie; edukacja w zakresie raka piersi oraz pielęgnacji i autorehabilitacji kończyny górnej po stronie amputowanej piersi narażonej na rozwój obrzęku limfatycznego. Planowane działania obejmują: kwalifikację do programu przez lekarza, wykonanie około 10 zabiegów manualnego drenażu limfatycznego z kompresją dla każdej z 50 pacjentek

oraz prelekcję dotyczącą raka piersi i leczenia obrzęku limfatycznego po mastektomii. Projekt przewiduje uczestnictwo 50 kobiet mimo, że nie określono jaka liczba pacjentek jest poddawanych mastektomii na terenie gminy miasta Radom. Program ma być realizowany w latach 2012 – 2015, projekt zawiera szacowane koszty, jednak nie określono czy są to szacowane koszty całkowite (35 000 zł) na pełen planowany okres trwania programu. Nie określono również czy projekt ma być w całości finansowany przez gminę miasta Radom.

Problem zdrowotny

Rak piersi jest nowotworem złośliwym, wywodzącym się z komórek gruczołu piersiowego. Jest to najczęściej występujący nowotwór złośliwy u kobiet w Polsce. Sporadycznie zdarza się także u mężczyzn. Według Krajowego Rejestru Nowotworów w 2009 roku stwierdzono w Polsce 15 752 nowych zachorowań na raka piersi. W Polsce rak piersi jest przyczyną największej liczby zgonów spowodowanych przez nowotwory złośliwe wśród kobiet. W 2009 roku zarejestrowano 5 242 zgonów z powodu raka piersi.

W przebiegu choroby nowotworowej oraz niektórych form jej leczenia (usuwanie węzłów chłonnych w trakcie zabiegu chirurgicznego usunięcia guza, radioterapia) dochodzi do miejscowej niewydolności układu limfatycznego. Doprowadza do tego szereg czynników takich jak ucisk lub zajęcie naczyń, węzłów chłonnych przez proces chorobowy lub usunięcie bądź miejscowe uszkodzenie układu limfatycznego w trakcie terapii. Podczas zabiegów oszczędzających pierś i zmodyfikowanej radykalnej mastektomii dochodzi do ingerencji w układ chłonny pachy. W trakcie zmodyfikowanej radykalnej i radykalnej mastektomii usuwane są węzły chłonne pachowe, którymi odprowadzane jest limfa z kończyny górnej po danej stronie. Podczas zabiegów oszczędzających pierś w zależności od klinicznych i patomorfologicznych cech guza oraz doświadczenia ośrodka pozostawia się wszystkie węzły chłonne, wycina się jeden lub kilka lub dokonuje całkowitej limfadenektomii. W wyniku utrudnienia w odpływie chłonki dochodzi do rozwoju obrzęku limfatycznego kończyny górnej.

Obrzęk limfatyczny kończyny górnej powoduje obniżenie jakości życia pacjentek, może powodować ból, ograniczenie ruchomości kończyny górnej oraz ograniczać aktywność zawodową pacjentek.

Obecnie jedną z metod leczenia obrzęku limfatycznego jest rehabilitacja w postaci manualnego drenażu limfatycznego i kompresji kończyny górnej w celu utrwalenia drenażu. Wydaje się, że programy rehabilitacji kobiet po amputacji przyczyniają się do poprawy szeroko rozumianego funkcjonowania społeczeństwa, poprzez zwiększenie odsetka kobiet z tej populacji, które powracają do pracy. Według opinii eksperta w dziedzinie chirurgii onkologicznej jedynie około 10% kobiet po radykalnej mastektomii wymaga rehabilitacji psychofizycznej, a zatem wpływ tego problemu zdrowotnego na stan zdrowia populacji jest nieznaczny. Jednak wpływ tego problemu zdrowotnego na stan zdrowia poszczególnego beneficjenta jest znaczny, gdyż rehabilitacja spowalnia proces rozwoju obrzęku limfatycznego.

Alternatywne świadczenia

W opinii eksperta ds. chirurgii onkologicznej, rehabilitacja psychofizyczna mimo, że jest finansowana ze środków NFZ, nie jest powszechnie dostępna z powodu niskich i limitowanych kontraktów. Rehabilitacja psychofizyczna kobiet po amputacji piersi prowadzona jest również przez kluby i stowarzyszenia „Amazonek" oraz Federację Stowarzyszeń „Amazonki", które często są dofinansowywane ze środków jednostek samorządu terytorialnego.

Federacja działa na rzecz wczesnego wykrywania, leczenia oraz rehabilitacji kobiet po mastektomii, wydaje materiały edukacyjne, broszury, poradniki, plakaty, ulotki. Na stronie Federacji Stowarzyszeń „Amazonki" znajduje się sekcja, z której bezpłatnie można pobrać poradniki. Pierwszy poradnik dotyczy rehabilitacji fizycznej po leczeniu raka piersi. Zawiera informacje o tym czym jest rehabilitacja, o następstwach leczenia raka piersi, o procesie rehabilitacji, o rekonstrukcji piersi, podane są w nim przykładowe ćwiczenia usprawniające. Drugi poradnik dotyczy bardziej sfery psychicznej.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

Podsumowanie wniosków z dowodów naukowych:

- Rehabilitacja psychofizyczna wpływa nie tylko na poprawę stanu fizycznego i psychicznego, ale wpływa także na zwiększenie odsetka kobiet, które wracają do pracy, nie jest jasne czy proporcja ta byłaby zachowana u pacjentek, które nie były objęte poradnictwem oraz ćwiczeniami fizycznymi lub innymi interwencjami.
- Aktywność fizyczna uprawiana przez kobiety po leczeniu z powodu raka piersi podwyższa jakość życia oraz redukuje zmęczenie.
- Terapia poznawczo – behawioralna prowadzona po leczeniu z powodu raka piersi wpływa na podniesienie jakości życia.
- Zastosowanie terapii kompleksowej obejmującej taping, masaż limfatyczny oraz pielęgnację skóry wpływa na zmniejszenie obrzęku limfatycznego.

Podsumowanie wniosków z wytycznych klinicznych:

Rehabilitacja stanowi integralną część leczenia chorych na raka piersi. Celem rehabilitacji psychofizycznej jest zmniejszenie niedostosowania fizycznego, psychicznego, społecznego i zawodowego, które wynikają z choroby lub jej leczenia. Rehabilitacja fizyczna polega na usprawnianiu ruchowym chorych w okresie szpitalnym, ambulatoryjnym, sanatoryjnym i wspomagającym (np. kluby kobiet po mastektomii „Amazonki").

Do szczegółowych celów rehabilitacji fizycznej należą:

- uzyskanie poprawy zakresu ruchów w stawach obręczy barkowej po stronie operowanej;
- uzyskanie poprawy siły mięśniowej kończyny po stronie operowanej;
- zapobieganie wystąpieniu obrzęku limfatycznego kończyny po stronie operowanej;
- korygowanie wad postawy wynikłych z przebytego leczenia;
- leczenie zachowawcze obrzęku limfatycznego;
- usprawnianie chorych przed i po operacjach odtwórczych piersi.

Jednym z elementów rehabilitacji jest zapewnienie refundowanych protez zewnętrznych piersi (obecnie refundacja przysługuje co 2 lata). Chorym w trakcie chemioterapii powinno się zapewnić dostęp do refundowanych peruk. Celem rehabilitacji psychicznej jest poprawa stanu psychicznego kobiet w trakcie i po leczeniu (szczególnie chirurgicznym, a także radioterapii i leczeniu systemowym) oraz pomoc w akceptacji zaistniałego stanu. W tym celu wykorzystuje się metody psychoterapii grupowej i indywidualnej, psychoedukacji – nauczanie radzenia sobie ze stresem, relaksacji, terapii poznawczej indywidualnej chorych i ich rodzin oraz działalność grup wsparcia. W okresie obserwacji po leczeniu pierwotnym konieczne jest zabezpieczenie możliwości usprawniania stanów związanych z chorobami współistniejącymi oraz leczenia sanatoryjnego (1 rok po zakończeniu leczenia

onkologicznego, bez cech wznowy choroby – według wytycznych konsultanta krajowego ds. balneologii).

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

I. Projekt programu odnosi się do ważnego jednocześnie słabo opisanego w literaturze problemu zdrowotnego. Choć projekt programu nie wpisuje się w priorytety zdrowotne, jest to ważny problem zdrowotny, gdyż ogranicza negatywne konsekwencje jednej z częstszych metod leczenia nowotworów piersi u kobiet (najczęstszy nowotwór u kobiet), jakim jest zabieg amputacji piersi;

II. Dostępność działań programu dla beneficjentów – na podstawie informacji zawartych w projekcie nie da się stwierdzić czy działania będą łatwo dostępne dla beneficjentów;

III. Skuteczność działań – odnaleziono niewielką liczbę dowodów naukowych, w których oceniano skuteczność planowanych w projekcie interwencji. Z odnalezionych dowodów wynika, że planowane interwencje są skuteczne, jednak autorzy podkreślają potrzebę dalszych badań;

IV. W projekcie podjęto próbę oszacowania kosztów realizacji programu – koszty wydają się być oszacowane prawidłowo, jednak ze względu na brak odnalezionych dowodów naukowych dotyczących efektywności kosztowej, ciężko stwierdzić czy projekt stanowi optymalne wykorzystanie zasobów finansowych. Biorąc pod uwagę fakt długi czas oczekiwania na rehabilitację finansowaną ze środków NFZ oraz niskie limity – o czym piszą eksperci w swoich opiniach, wydaje się, że projekt stanowi wsparcie dla systemu ochrony zdrowia;

V. W Programie opisano system monitorowania oczekiwanych efektów i jego realizacji – wskaźniki opisane w programie są adekwatne, wydaje się, że dodatkowym cennym wskaźnikiem byłaby liczba kobiet powracających do pracy zawodowej.

Dodatkowe uwagi Rady *(opcjonalnie)*

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-441-26/2012, „Terapia przeciwobrzękowa dla kobiet po mastektomii na lata 2012 – 2015" realizowany przez: gminę miasta Radom (ocena projektu programu), Warszawa, sierpień 2012 i aneksu „Programy w zakresie rehabilitacji psychofizycznej kobiet po amputacji piersi – wspólne podstawy oceny, Aneks do raportów szczegółowych", Warszawa, sierpień 2012.

Opinia Rady Przejrzystości nr 186/2012 z dnia 3 września 2012 o projekcie programu „Profilaktyka i wczesne wykrywanie zaburzeń ośrodkowej koordynacji nerwowej u dzieci oraz terapia dzieci z zaburzeniami rozwojowymi" gminy Polkowice

Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego ,,Profilaktyka i wczesne wykrywanie zaburzeń ośrodkowej koordynacji nerwowej u dzieci oraz terapia dzieci z zaburzeniami rozwojowymi" gminy Polkowice.

Uzasadnienie

Projekt dotyczy istotnego problemu zdrowotnego, którego efekty można skutecznie ograniczać. Program zawiera budżet, tj. oszacowano koszty całkowite oraz jednostkowe; cel główny, cele szczegółowe oraz sposób monitorowania efektów Programu. Rada rekomenduje ponadto korzystanie wyłącznie z interwencji o udowodnionej skuteczności (zalecanych w wytycznych).

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego gminy Polkowice z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży. Populację programu stanowi ok. 350 dzieci zamieszkałych na terenie gminy Polkowice. Za główny cel programu uznano dążenie do prawidłowego rozwoju dzieci poprzez rehabilitację medyczną oraz działania terapeutyczne prowadzące do zmniejszenia skutków niepełnosprawności i pomoc ich rodzicom. Jako cele szczegółowe wskazano: stymulację prawidłowego odbioru bodźców zewnętrznych, przywracanie sprawności ruchowej, psychologicznej i psychomotorycznej dzieci, poprawę dostępności do usług rehabilitacyjnych, poprawę dostępności do usług psychologicznych, edukację rodziców, wykrycie wszelkich nieprawidłowości związanych z zaburzeniami układu nerwowego i ruchu u niemowląt, usunięcie przeszkód natury emocjonalno-motywacyjnej blokujących naturalny proces nabywania kompetencji językowej przez dzieci z zaburzeniami rozwojowymi, zaktywizowanie sił psychicznych dziecka, od których zależy dynamika jego rozwoju słowno-intelektualnego, doprowadzenie do utrwalenia się takiego typu motywacji, od którego zależy dalsza praca nad sobą, edukację rodziców w zakresie opieki, pielęgnacji i zabawy z dziećmi. Planowane działania obejmują: badania przesiewowe w kierunku zaburzeń koordynacji nerwowej „MALUCH" – od 0 do 1 roku życia (badanie lekarskie; ćwiczenia ogólno-kondycyjne indywidualne, konsultacje rehabilitacyjne z instruktażem dla każdego dziecka); terapię grupowa „świetlica Terapeutyczna" dla dzieci z zaburzeniami rozwojowym typu: autyzm, zespół Aspergera, zespół Downa, zaburzenia SI (świadczenia terapeutyczne grupowe prowadzone przez psychologa i terapeutę zajęciowego; świadczenia terapeutyczne indywidualne prowadzone przez logopedę i psychologa); rehabilitacja ruchowa indywidualna dzieci z zaburzeniami ośrodkowej koordynacji nerwowej i mózgowym porażeniem dziecięcym; terapia indywidualna prowadzona przez rehabilitanta dzieci oraz 2 konsultacje psychologa dzieci z zaburzeniami integracji sensorycznej. Program ma być realizowany w latach 2012 – 2015, projekt zawiera planowane koszty przypadające

na jednego uczestnika programu oraz budżet całkowity. Projekt ma być finansowany z budżetu gminy Polkowice.

Problem zdrowotny

Niepełnosprawność jest problemem ogólnoświatowym, 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 funkcjonowaniu. 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. Oczywiście problem niepełnosprawności nie dotyczy tylko osób starszych. Może on wystąpić także wśród osób bardzo młodych, a nawet malutkich dzieci wskutek wad wrodzonych, chorób przewlekłych, wypadków czy urazów. Bez względu na przyczyny niepełnosprawności jest ona poważnym problem społecznym.

Wyniki opracowanego wspólnie przez WHO oraz Bank Światowy światowego raportu na temat niepełnosprawności, wskazują, że na całym świecie, osoby niepełnosprawne są bardziej podatne na możliwe do uniknięcia wtórne problemy zdrowotne oraz choroby współtowarzyszące, mają niższe osiągnięcia edukacyjne, są mniej aktywne zawodowo, częściej w porównaniu do osób sprawnych doświadczają ubóstwa, nie zawsze są w stanie żyć samodzielnie czy w pełni funkcjonować w życiu społecznym. Wynika to częściowo z napotykanych przez osoby niepełnosprawne barier w dostępie do usług, w tym zdrowia, edukacji, zatrudnienia, transportu i informacji. Trudności te nasilają się w społecznościach mniej uprzywilejowanych

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

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 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.

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, 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 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, dostępność, bliskość, przystępność finansowa, interdyscyplinarność oraz zróżnicowanie świadczeń to warunki konieczne. aby społeczny model Wczesnej Interwencji oraz Wczesnego Wsparcia Rozwoju Dziecka funkcjonował dobrze.

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

I. Program odnosi się do ważnego problemu zdrowotnego, którego efekty można skutecznie ograniczać. Efekty programu trudno jest monitorować i oceniać.

II. Program stwarza dostęp beneficjentów do oferowanych świadczeń, jest dobrze dopasowany do potrzeb grupy docelowej.

III. Program wykorzystuje interwencje o udowodnionej skuteczności i zalecane w wytycznych, ale także prawdopodobnie te o nieudowodnionej skuteczności w danych stanach klinicznych i w związku z tym niezalecane. Program stanowi logiczną i spójną kontynuację świadczeń gwarantowanych.

IV. W projekcie Programu oszacowano koszty całkowite i jednostkowe. Program jest zbyt ogólnikowy, by ocenić jego spójność i wiarygodność. Nie można orzec, czy planowany Program w optymalny sposób spożytkuje udostępnione przez gminę zasoby.

V. Autorzy projektu podają cel główny, cele szczegółowe oraz wskazują na sposób monitorowania efektów Programu. Należy jednak uznać, że ze względu na charakter problemu zdrowotnego i planowanych interwencji, nie jest możliwa miarodajna i wiarygodna ocena skuteczności Programu.

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

.....
[redacted]

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Profilaktyka i wczesne wykrywanie zaburzeń ośrodkowej koordynacji nerwowej u dzieci oraz terapia dzieci z zaburzeniami rozwojowymi" realizowanym przez Gminę Polkowice, nr: AOTM-OT-441-158/2011, Warszawa, sierpień 2012 i aneksu „Programy z zakresu kompleksowej terapii i rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży– wspólne podstawy oceny", Aneks do raportów szczegółowych, sierpień 2012.

Opinia Rady Przejrzystości nr 188/2012 z dnia 3 września 2012 o projekcie programu „Kompleksowa terapia i rehabilitacja dzieci i młodzieży niepełnosprawnej z terenu gminy Kietrz”

Rada wydaje negatywną opinię o projekcie gminnego programu zdrowotnego ,,Kompleksowa terapia i rehabilitacja dzieci i młodzieży niepełnosprawnej z terenu gminy Kietrz”.

Uzasadnienie

Projekt dotyczy istotnego problemu zdrowotnego, którego efekty można skutecznie ograniczać. Program - po jego uzupełnieniu - stanowiłby logiczną i spójną kontynuację świadczeń gwarantowanych.

Rada Przejrzystości nie może rekomendować Programu zdrowotnego, w którym nie oszacowano kosztów całkowitych oraz jednostkowych. Ponadto, Program w zaproponowanym brzmieniu jest zbyt ogólnikowy, by ocenić jego spójność i wiarygodność.

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego gminy Kietrz z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży. Populację programu stanowią osoby z terenu gminy Kietrz w wieku 0-25 lat z dysfunkcjami ośrodkowego układu nerwowego i głęboką niepełnosprawnością zwłaszcza o charakterze ruchowym i rozwojowym posiadające skierowanie na rehabilitację wydane przez lekarza rehabilitacji medycznej. Za główne cele programu uznano kontynuację procesu rehabilitacji i korzystania przez świadczeniobiorców z ponad standardowych form leczenia, terapii i rehabilitacji, umożliwienie wczesnego rozpoczęcia procesu rehabilitacji u dzieci z zaburzeniami ośrodkowego układu nerwowego i głęboką niepełnosprawnością; rozwój umiejętności potrzebnych do samodzielnego życia; edukację rodziców (opiekunów) dzieci i młodzieży korzystających z Programu; poszerzenie oferty leczniczej, rehabilitacyjnej i terapeutycznej dla dzieci i młodzieży z niepełnosprawnością z terenu gminy Kietrz. Planowane działania obejmują zajęcia rehabilitacyjne i terapeutyczne będą odbywać się w ośrodku dziennym. Program ma być realizowany w latach 2012 – 2016, w projekcie nie przedstawiono szacowanych kosztów całkowitych ani jednostkowych Programu. Projekt ma być finansowany ze środków własnych gminy, zaplanowanych w budżecie Miejskiego Ośrodka Pomocy Społecznej w Kietrzu.

Problem zdrowotny

Niepełnosprawność jest problemem ogólnoświatowym, 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 funkcjonowaniu. 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. Oczywiście problem niepełnosprawności nie dotyczy tylko osób starszych. Może on wystąpić także wśród osób bardzo młodych, a nawet malutkich dzieci wskutek wad wrodzonych,

chorób przewlekłych, wypadków czy urazów. Bez względu na przyczyny niepełnosprawności jest ona poważnym problem społecznym.

Wyniki opracowanego wspólnie przez WHO oraz Bank Światowy światowego raportu na temat niepełnosprawności, wskazują, że na całym świecie, osoby niepełnosprawne są bardziej podatne na możliwe do uniknięcia wtórne problemy zdrowotne oraz choroby współtowarzyszące, mają niższe osiągnięcia edukacyjne, są mniej aktywne zawodowo, częściej w porównaniu do osób sprawnych doświadczają ubóstwa, nie zawsze są w stanie żyć samodzielnie czy w pełni funkcjonować w życiu społecznym. Wynika to częściowo z napotykanych przez osoby niepełnosprawne barier w dostępie do usług, w tym zdrowia, edukacji, zatrudnienia, transportu i informacji. Trudności te nasilają się w społecznościach mniej uprzywilejowanych

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

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 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.

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, 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 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, dostępność, bliskość, przystępność finansowa, interdyscyplinarność oraz zróżnicowanie świadczeń to warunki konieczne. aby społeczny model Wczesnej Interwencji oraz Wczesnego Wsparcia Rozwoju Dziecka funkcjonował dobrze.

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

I. Program odnosi się do ważnego problemu zdrowotnego, którego efekty można skutecznie ograniczać. Efekty programu trudno jest monitorować i oceniać.

II. Program stwarza dostęp beneficjentów do oferowanych świadczeń, jest dobrze dopasowany do potrzeb grupy docelowej.

III. Program wykorzystuje interwencje o udowodnionej skuteczności i zalecane w wytycznych, ale także prawdopodobnie te o nieudowodnionej skuteczności w danych stanach klinicznych i w związku z tym niezalecane. Program stanowi logiczną i spójną kontynuację świadczeń gwarantowanych.

IV. W projekcie Programu nie oszacowano kosztów całkowitych i jednostkowych. Program jest zbyt ogólnikowy, by ocenić jego spójność i wiarygodność. Nie można orzec, czy planowany Program w optymalny sposób spożytkuje udostępnione przez gminę zasoby.

V. Autorzy projektu podają cel główny, cele szczegółowe oraz wskazują na sposób monitorowania efektów Programu. Należy jednak uznać, że ze względu na charakter problemu zdrowotnego i planowanych interwencji, nie jest możliwa miarodajna i wiarygodna ocena skuteczności 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 „Kompleksowa terapia i rehabilitacja dzieci i młodzieży niepełnosprawnej z terenu gminy Kietrz" realizowanym przez Gminę Kietrz, nr: AOTM-OT-141/2012, Warszawa, sierpień 2012 i aneksu „Programy z zakresu kompleksowej terapii i rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży– wspólne podstawy oceny", Aneks do raportów szczegółowych, sierpień 2012.

Opinia Rady Przejrzystości nr 189/2012 z dnia 3 września 2012 o projekcie programu „Program zdrowotny Gminy Lubomia na lata 2012 - 2016 – Kompleksowa rehabilitacja i terapia dzieci niepełnosprawnych z terenu gminy Lubomia”

Rada wydaje negatywną opinię o projekcie gminnego programu zdrowotnego „Program zdrowotny Gminy Lubomia na lata 2012 - 2016 – Kompleksowa rehabilitacja i terapia dzieci niepełnosprawnych z terenu gminy Lubomia”.

Uzasadnienie

Projekt dotyczy istotnego problemu zdrowotnego, którego efekty można skutecznie ograniczać. Program - po jego uzupełnieniu - stanowiłby logiczną i spójną kontynuację świadczeń gwarantowanych.

Rada Przejrzystości nie może rekomendować Programu zdrowotnego, w którym nie oszacowano kosztów całkowitych oraz jednostkowych. Ponadto, Program w zaproponowanym brzmieniu jest zbyt ogólnikowy, by ocenić jego spójność i wiarygodność.

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego gminy Lubomia z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży. Populację programu stanowią dzieci w wieku 0 – 18 lat z deficytami rozwojowymi, zamieszkałe i zameldowane na terenie Gminy Lubomia. Za główny cel programu uznano zapewnienie jego adresatom możliwości kontynuowania procesu rehabilitacji po wykorzystaniu gwarantowanych świadczeń zdrowotnych i korzystania z ponadstandardowych form wieloprofilowego leczenia, rehabilitacji i usprawniania. Jako cele szczegółowe wskazano: wczesne rozpoczęcie działań rehabilitacyjnych u najmłodszych dzieci zagrożonych nieprawidłowym rozwojem; stworzenie warunków do przywrócenia i poprawy stanu zdrowia; kształtowanie i utrwalanie umiejętności niezbędnych do samodzielnego życia; przywrócenie możliwości lub nabycie umiejętności życia i działania w środowisku rodzinnym i społecznym; kształtowanie prawidłowych wzorców postawy i ruchu dzieci i młodzieży w granicach ich możliwości; 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; inspirowanie rodziców dzieci niepełnosprawnych do współpracy z zespołem terapeutycznym poprzez udział w posiedzeniach teamów terapeutycznych; objęcie opieką i wsparciem rodziców dzieci niepełnosprawnych w ramach organizowanych form pomocowych: grupa wsparcia, spotkania integracyjno-edukacyjne i terapeutyczne. Planowane działania obejmują: kwalifikację dzieci do udziału w programie z uwzględnieniem rodzaju zaplanowanych świadczeń; realizacja świadczeń zdrowotnych; weryfikację i ocenę realizacji Programu. Program ma być realizowany w latach 2012 – 2016, projekt nie zawiera planowanych koszty jednostkowych oraz całkowitych. Projekt ma być finansowany ze środków budżetu Gminy Lubomia.

Problem zdrowotny

Niepełnosprawność jest problemem ogólnoświatowym, 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 funkcjonowaniu. 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. Oczywiście problem niepełnosprawności nie dotyczy tylko osób starszych. Może on wystąpić także wśród osób bardzo młodych, a nawet malutkich dzieci wskutek wad wrodzonych, chorób przewlekłych, wypadków czy urazów. Bez względu na przyczyny niepełnosprawności jest ona poważnym problem społecznym.

Wyniki opracowanego wspólnie przez WHO oraz Bank Światowy światowego raportu na temat niepełnosprawności, wskazują, że na całym świecie, osoby niepełnosprawne są bardziej podatne na możliwe do uniknięcia wtórne problemy zdrowotne oraz choroby współtowarzyszące, mają niższe osiągnięcia edukacyjne, są mniej aktywne zawodowo, częściej w porównaniu do osób sprawnych doświadczają ubóstwa, nie zawsze są w stanie żyć samodzielnie czy w pełni funkcjonować w życiu społecznym. Wynika to częściowo z napotykanych przez osoby niepełnosprawne barier w dostępie do usług, w tym zdrowia, edukacji, zatrudnienia, transportu i informacji. Trudności te nasilają się w społecznościach mniej uprzywilejowanych

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

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 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.

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, 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 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, dostępność, bliskość, przystępność finansowa, interdyscyplinarność oraz zróżnicowanie świadczeń to warunki konieczne. aby społeczny model Wczesnej Interwencji oraz Wczesnego Wsparcia Rozwoju Dziecka funkcjonował dobrze.

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

I. Program odnosi się do ważnego problemu zdrowotnego, którego efekty można skutecznie ograniczać. Efekty programu trudno jest monitorować i oceniać.

II. Program stwarza dostęp beneficjentów do oferowanych świadczeń, jest dobrze dopasowany do potrzeb grupy docelowej.

III. Program wykorzystuje interwencje o udowodnionej skuteczności i zalecane w wytycznych, ale także prawdopodobnie te o nieudowodnionej skuteczności w danych stanach klinicznych i w związku z tym niezalecane. Program stanowi logiczną i spójną kontynuację świadczeń gwarantowanych.

IV. W projekcie Programu nie oszacowano kosztów całkowitych i jednostkowych. Program jest zbyt ogólnikowy, by ocenić jego spójność i wiarygodność. Nie można orzec, czy planowany Program w optymalny sposób spożytkuje udostępnione przez gminę zasoby.

V. Autorzy projektu podają cel główny, cele szczegółowe oraz wskazują na sposób monitorowania efektów Programu. Należy jednak uznać, że ze względu na charakter problemu zdrowotnego i planowanych interwencji, nie jest możliwa miarodajna i wiarygodna ocena skuteczności 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 zdrowotny Gminy Lubomia na lata 2012 - 2016 – Kompleksowa rehabilitacja i terapia dzieci niepełnosprawnych z terenu gminy Lubomia" realizowanym przez Gminę Lubomia, nr: AOTM-OT-441-173/2012, Warszawa, sierpień 2012 i aneksu „Programy z zakresu kompleksowej terapii i rehabilitacji niepełnosprawnych dzieci i młodzieży– wspólne podstawy oceny", Aneks do raportów szczegółowych, sierpień 2012.