



Protokół nr 27/2012
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 15 października 2012 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

1. [REDACTED]
2. [REDACTED]
3. [REDACTED]
4. [REDACTED]
5. [REDACTED] (z wyjątkiem głosowania w pkt. 3 porządku obrad)
6. [REDACTED] (udział w posiedzeniu do pkt. 8 porządku obrad)
7. [REDACTED]
8. [REDACTED]
9. [REDACTED] (udział w posiedzeniu od pkt. 8.3 porządku obrad)
10. [REDACTED]

Pracownicy Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM):

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

[REDACTED] (Dział Raportów i Oceny Raportów w Wydziale Oceny Technologii Medycznych - OT)

[REDACTED] (Dział Programów Zdrowotnych w OT)

[REDACTED]

[REDACTED] (Dział Obsługi Rady Konsultacyjnej w Biurze Obsługi Rady Konsultacyjnej – RK)

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

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

[REDACTED] (Dział Kwalifikacji Technologii Medycznych w DS)

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

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

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

[REDACTED] (Dział Programów Zdrowotnych w OT)

[REDACTED] (Dział Rekomendacji w Biurze Prezesa - BP)



[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

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

[REDAKTOWANE]

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

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

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

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] (Dział Rekomendacji w BP)

[REDAKTOWANE] (Dział Kwalifikacji Technologii Medycznych w DS)

[REDAKTOWANE]

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 zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Hybrydowa rehabilitacja kardiologiczna” jako świadczenia gwarantowanego.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Nexavar (sorafenib) we wskazaniu: leczenie raka wątrobowokomórkowego (program lekowy).
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Primacor (chlorowodorek lerkanidypiny) we wskazaniu: leczenie łagodnego do umiarkowanego nadciśnienia tętniczego samoistnego.
7. Przygotowanie opinii o projekcie programu zdrowotnego „Program pomocy i edukacji w zespołach zaburzeń stresu pourazowego w ujęciu psychologiczno-psychiatrycznym”.
8. Przygotowanie opinii o projektach programów zdrowotnych jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program profilaktycznych szczepień ochronnych przeciw meningokokom dzieci zamieszkałych na terenie Powiatu Olkuskiego”
 - 2) „Szczepienia dzieci przeciwko zakażeniom inwazyjnym meningokokowym ze szczególnym uwzględnieniem dzieci w żłobkach i przedszkolach”,
 - 3) „Program zdrowotny na lata 2013-2018, dotyczący szczepień profilaktycznych dzieci zamieszkałych na terenie Gminy Masłów, przeciwko bakteriom meningokokowym grupy C”,
 - 4) „Szczepienia dzieci przeciw inwazyjnym zakażeniom pneumokokowym, ze szczególnym uwzględnieniem dzieci w żłobkach”,
 - 5) „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych wśród dzieci zamieszkałych na terenie Gminy Bogoria, przy zastosowaniu trzynastowalentnej (PCV13) szczepionki przeciwko pneumokokom”,

- 6) „Program zdrowotny na lata 2013-2018, dotyczącego szczepień profilaktycznych dzieci zamieszkałych na terenie Gminy Masłów, przeciwko bakteriom pneumokokowym”,
 - 7) „Szczepienia ochronne w wybranych grupach dzieci”,
 - 8) „Program profilaktyki zdrowotnej – „BECIKOWE PO GRĘBOCICKU”.
9. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Nplate (romiplostim) we wskazaniu: leczenie pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (kod ICD-10: D69.3).
10. Zamknięcie posiedzenia.

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

Ad.3. Konflikt interesów dotyczący firmy Amgen wraz z wnioskiem o wyłączenie jedynie z udziału w głosowaniu zgłosił [REDAKTOWANE], który w wyniku głosowania (7 głosów za takim wyłączeniem, 0 głosów przeciw) został wyłączony z głosowania nad tematem objętym punktem 9 porządku obrad.

Ad.2. Z powodu nieobecności członka Rady wyznaczonego przez prowadzącego posiedzenie do przedstawienia projektu stanowiska w sprawie objętej 1. punktem porządku obrad, prowadzący posiedzenie zaproponował, aby zmienić kolejność omawiania poszczególnych tematów. Rada przyjęła jednogłośnie propozycję przedstawioną przez [REDAKTOWANE].

Ad.8.1. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-140/2012 „Program profilaktycznych szczepień ochronnych przeciw meningokokom dzieci zamieszkałych na terenie powiatu olkuskiego”.

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

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada 9 głosami za, przy 0 głosach przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 2 do protokołu.

2. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-197/2012 „Szczepienia dzieci przeciwko zakażeniom inwazyjnym meningokokowym ze szczególnym uwzględnieniem dzieci w żłobkach i przedszkolach”.

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

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada 9 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 3 do protokołu.

3. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-265/2012 „Program zdrowotny na lata 2013–2018, dotyczący szczepień profilaktycznych dzieci zamieszkałych na terenie gminy Masłów przeciwko bakteriom meningokokowym grupy C”.

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

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 4 do protokołu.

4. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-196/2012 „Szczepienia dzieci przeciw inwazyjnym zakażeniom pneumokokowym, ze szczególnym uwzględnieniem dzieci w żłobkach”.

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

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 5 do protokołu.

5. [REDAKTOWANE], podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-248/2012 „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych wśród dzieci zamieszkałych na terenie Gminy Bogoria, przy zastosowaniu trzynastowalentnej (PCV 13) szczepionki przeciwko pneumokokom”.

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

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 6 do protokołu.

6. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-266/2012 „Program zdrowotny na lata 2013-2018, dotyczący szczepień profilaktycznych dzieci zamieszkałych na terenie gminy Masłów przeciwko bakteriom pneumokokowym”.

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

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 7 do protokołu.

7. [REDAKTOWANE] na podstawie prezentacji przedstawiła najistotniejsze informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-161/2012 „Szczepienia ochronne w wybranych grupach dzieci”.

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

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 8 do protokołu.

8. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z Raportu nr: AOTM-OT-441-181/2012 „Becikowe po Grębocicku”.

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

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 9 do protokołu.

Ad.5. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z Analizy weryfikacyjnej nr: AOTM-OT-4351-16/2012 „Wniosek o objęcie refundacją leku Nexavar (sorafenib) w ramach programu lekowego: leczenie raka wątrobowokomórkowego (ICD-10 C 22.0)”.

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

W dalszej kolejności przeprowadzono telekonferencję z ekspertem – [REDAKTOWANE].

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada 10 głosami za przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem.

Ad.4. Prace nad tematem objętym 4 punktem porządku obrad rozpoczęto od telekonferencji z ekspertem – [REDAKTOWANE].

Następnie [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z Raportu nr: AOTM-DS-DKTM-430-06-2012 „Hybrydowa rehabilitacja kardiologiczna”.

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

Decyzją prowadzącego posiedzenie, sformułowanie uchwały oraz głosowanie zostało przełożone na później.

cd. Ad.5. W tym miejscu prowadzący posiedzenie poinformował Radę, że podjęta w dniu dzisiejszym uchwała dotycząca tematu objętego pkt 5 porządku obrad, tj. przygotowania stanowiska w sprawie oceny leku Nexavar (sorafenib), zawiera błędy stylistyczne, które wymagają poprawienia.

Po wniesieniu poprawek stylistycznych, Rada 10 głosami za przy 0 głosów przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, stanowiącym załącznik nr 10 do protokołu.

Ad.6. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z Analizy weryfikacyjnej nr: AOTM-OT-4350-9/2012 „Wniosek o objęcie refundacją produktów leczniczych: Primacor, chlowodorek lerkanidypiny, tabletki powlekane 10 mg, 60 szt., kod EAN 5909990801886; Primacor, chlowodorek lerkanidypiny, tabletki powlekane 20 mg, 60 szt., kod EAN 5909990875252 we wskazaniu: leczenie łagodnego lub umiarkowanego samoistnego nadciśnienia tętniczego”.

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

W dalszej kolejności przeprowadzono telekonferencję z ekspertem – [REDAKTOWANE]
[REDAKTOWANE]
[REDAKTOWANE].

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada przyjęła uchwały, będące jej stanowiskami:

- 1) Primacor, chlowodorek lerkanidypiny, tabletki powlekane 10 mg, 60 szt., kod EAN 5909990801886 - w wyniku głosowania: 10 głosów za, 0 głosów przeciw, która stanowi załącznik nr 11 do protokołu,
- 2) Primacor, chlowodorek lerkanidypiny, tabletki powlekane 20 mg, 60 szt., kod EAN 5909990875252 - w wyniku głosowania: 10 głosów za, 0 głosów przeciw, która stanowi załącznik nr 12 do protokołu.

cd. Ad.4. Po przeprowadzeniu dyskusji nad tematem objętym 4 punktem porządku obrad tj. przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Hybrydowa rehabilitacja kardiologiczna” jako świadczenia gwarantowanego, Rada 10 głosami za, przy 0 głosów przeciw przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik nr 13 do protokołu.

Ad.7. [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawiła najistotniejsze informacje z Raportu nr: AOTM-OT-440-5/2012 „Program pomocy i edukacji w zespołach zaburzeń stresu pourazowego w ujęciu psychologiczno - psychiatrycznym”.

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

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

Ad.9. [REDAKTOWANE] oraz [REDAKTOWANE], na podstawie prezentacji, przedstawili najistotniejsze informacje z Analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-DS-4351-2/2012 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Nplate (romiplostym) we wskazaniu: Leczenie pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (kod ICD-10: D.69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej (grupa farmakoterapeutyczna: leki przeciwkrwotoczne; kod ATC: B02BX04) – zmodyfikowany program lekowy (II)”

Zaplanowana w tym miejscu telekonferencja z ekspertem - [REDAKTOWANE] nie odbyła się. Podjęto próbę połączenia telekonferencyjnego z ekspertem, który jednak był niedostępny. Z uwagi na dostępność pisemnych opinii innych ekspertów Rada uznała, że może procedować nad tym tematem.

Po przeprowadzeniu dyskusji Rada przyjęła uchwały, będące jej stanowiskami:


- 1) Nplate (Romiplostym), proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia roztworu do wstrzykiwań, 500 µg, 1 szt., EAN: 5909990767021 - w wyniku głosowania: 7 głosów za, 2 głosy przeciw, która stanowi załącznik nr 15 do protokołu,
- 2) Nplate (Romiplostym), proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia roztworu do wstrzykiwań, 250 µg, 1 szt., EAN: 5909990766994 - w wyniku głosowania: 7 głosów za, 2 głosy przeciw, która stanowi załącznik nr 16 do protokołu.

Ad.10. Prowadzący posiedzenie [REDAKTOWANE] zakończył posiedzenie Rady o godzinie 15:30.

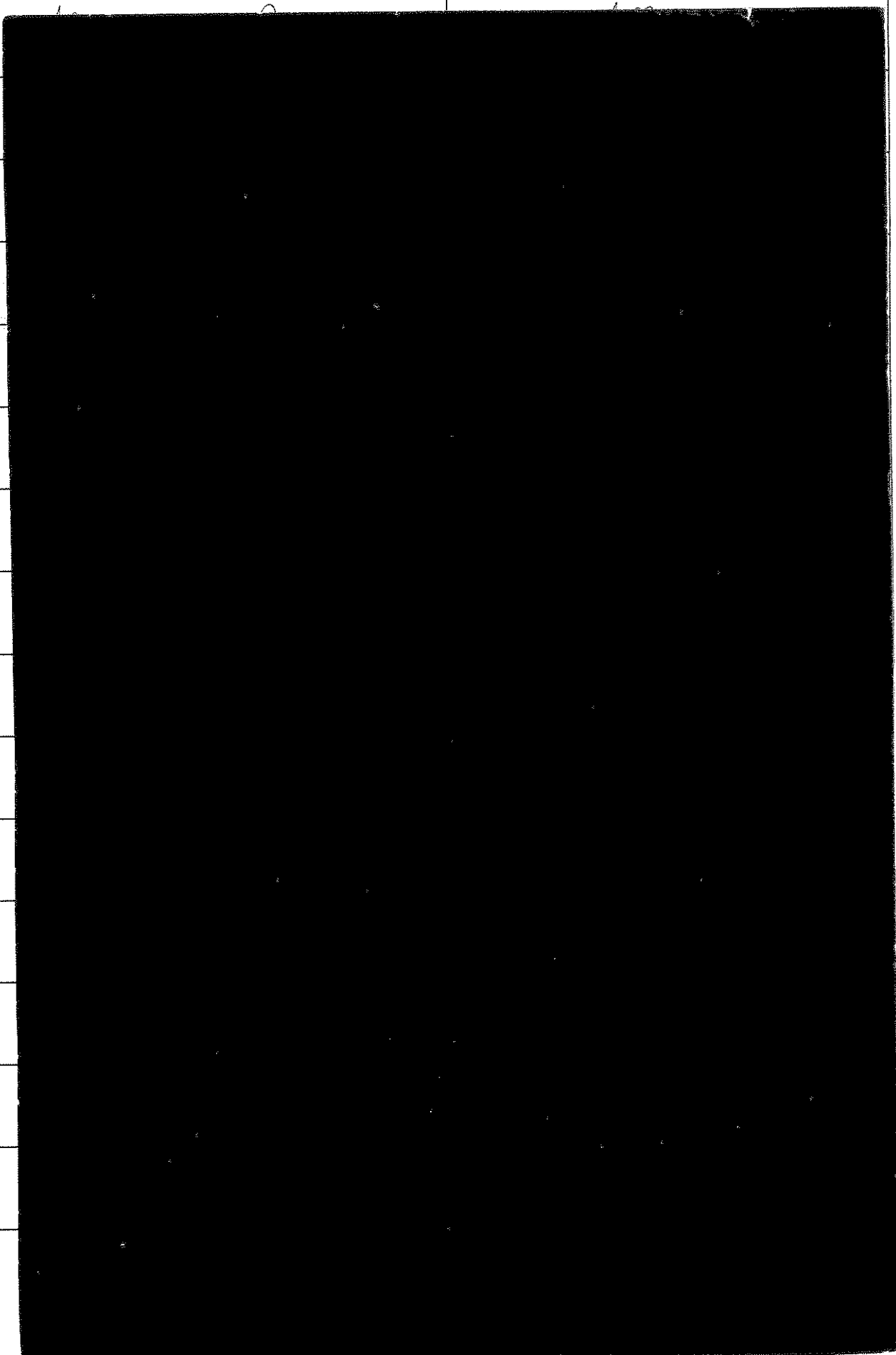
Protokół zatwierdził prowadzący posiedzenie:

.....
[REDAKTOWANE]

LISTA OBECNOŚCI
Posiedzenie Rady Przejrzystości nr 27/2012
dnia 15 października 2012 r.

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

| | |
|-----|--|
| 18. | |
| 19. | |
| 20. | |
| 21. | |
| 22. | |
| 23. | |
| 24. | |
| 25. | |
| 26. | |
| 27. | |
| 28. | |
| 29. | |
| 30. | |
| 31. | |
| 32. | |
| 33. | |
| 34. | |

| | |
|-----|---|
| 35. |  |
| 36. | |
| 37. | |
| 38. | |
| 39. | |
| 40. | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |



Opinia Rady Przejrzystości
Nr 221/2012 z dnia 15 października 2012
o projekcie programu „Program profilaktycznych szczepień
ochronnych przeciw meningokokom dzieci zamieszkałych na terenie
powiatu olkuskiego” powiatu olkuskiego

Rada Przejrzystości wydaje pozytywną opinię o programie „Program profilaktycznych szczepień ochronnych przeciw meningokokom dzieci zamieszkałych na terenie powiatu olkuskiego”, z funduszu samorządowego.

Uzasadnienie

Program dotyczy istotnego problemu zdrowotnego i społecznego, został przygotowany wzorcowo – bardzo starannie i rzetelnie, zawiera wszystkie elementy schematu programu zdrowotnego zaproponowanego przez AOTM. Uzupełnienia wymaga jedynie określenie sposobu prowadzenia akcji edukacyjnej i określenie wymagań stawianych realizatorowi programu.

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego powiatu olkuskiego z zakresu profilaktyki szczepień przeciwko meningokokom grupy C. Projekt programu zakłada szczepienie 2-latków (ok. 1204 dzieci z rocznika 2010) z powiatu olkuskiego, których rodzice lub opiekunowie prawni wyrażają zgodę na szczepienie. Za cel główny przyjęto zaszczepienie dzieci dwuletnich przeciwko meningokokom grupy C. Jako cele szczegółowe wskazano: przeciwdziałanie zachorowaniom i hamowanie problemu epidemiologicznego, jaki stanowi wzrastająca liczba chorych na inwazyjną chorobę meningokokową w Polsce przebiegającą pod postacią zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych bez posocznicy oraz zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych z posocznicą, a także zapalenie gardła, płuc, ucha środkowego, osierdzia, wsierdzia, stawów i inne schorzenia oraz zwiększenie dostępności do bezpłatnych szczepień przeciw meningokokom grupy C.

Planowane działania obejmują: akcje informacyjno-edukacyjną skierowaną do rodziców i opiekunów dzieci 2 letnich, wybór realizatora programu, szczepienie dzieci prowadzone pod nadzorem lekarzy i z udziałem rodziców, którzy wyrażą chęć zaszczepienia swojego dziecka objętego programem, monitorowanie programu. Program ma być realizowany w roku 2012 z możliwością kontynuacji w latach kolejnych. Szczepionką która ma być zastosowana w programie będzie szczepionka skoniugowana. W projekcie programu przedstawiono budżet całkowity oraz koszty jednostkowe. Program będzie w całości finansowany przez powiat olkuski i gminy powiatu olkuskiego, które przystąpią do projektu.

Problem zdrowotny

Projekt programu zdrowotnego odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego – zakażeń meningokokami. Realizuje priorytet zdrowotny „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom” oraz „poprawa jakości i skuteczności opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3”. Wyróżniono przynajmniej 13 grup serologicznych bakterii



z gatunku *Neisseria meningitidis*, ale ciężkie zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych powodują meningokoki z 5 grup serologicznych: MenA, B, C, Y oraz W135. *N. meningitidis* występuje u dzieci, młodzieży oraz dorosłych w wieku od 1 roku do 29 lat. Zakażenia mogą występować nie tylko w postaci zachorowań sporadycznych, endemicznych/hiperendemicznych, ale również epidemicznych/pandemicznych. W Polsce w zależności od grupy wiekowej przeważają serogrupy MenB lub MenC. Bakteryjne zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych stanowi poważne zagrożenie dla globalnego zdrowia, szacuje się około 500 tys. przypadków w skali światowej, w tym co najmniej 50 000 zgonów i tyle samo przypadków trwałych uszkodzeń neurologicznych. W większości przypadków do zakażenia dochodzi poprzez kontakt międzyosobniczy drogą kropelkową lub poprzez kontakt z wydzielinami układu oddechowego osoby zakażonej. Bliski i przedłużający się kontakt z osobą zakażoną – jak pocałunki, kichanie, kaszlenie na drugą osobę, czy życie w skupiskach i dzielenie się sztućcami i naczyniami – ułatwia rozprzestrzenianie się choroby. Około 50% przypadków choroby meningokokowej to ostre bakteryjne zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych, inne przypadki to zapalenie płuc, zapalenie stawów oraz posocznica meningokokowa.

Alternatywne świadczenia

W „Programie szczepień ochronnych na 2012 rok”, zgodnie z załącznikiem do Komunikatu Głównego Inspektora Sanitarnego z dnia 26 października 2011 roku, ujęto szczepienia przeciw zakażeniom meningokokami w populacji ogólnej w II kategorii tj. zalecane, niefinansowane ze środków znajdujących się w budżecie ministra właściwego do spraw zdrowia: szczepionka nieskoniugowana/polisacharydowa dzieciom powyżej 2 lat i dorosłym – dawkowanie według wskazań producenta, szczepionka skoniugowana od 2 miesiąca życia – dawkowanie według wskazań producenta.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

• Wnioski z oceny problemu zdrowotnego

Samorządowe programy szczepień przeciwko meningokokom grupy C dotyczą dobrze zdefiniowanego, określonego problemu zdrowotnego. Realizują priorytet zdrowotny „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom”. Działania przewidziane w ramach realizacji Programów wpisują się w Priorytety Narodowego Programu Zdrowia na lata 2007–2015.

Jak wynika z danych epidemiologicznych liczba zachorowań na inwazyjną chorobę meningokokową spada z każdym rokiem, jest to spowodowane m. in. coraz większą powszechnością szczepień. Obecnie ponad połowa zachorowań na Inwazyjną Chorobę Meningokokową w Polsce wywołana jest przez meningokoki grupy C, w 2010 r. zdiagnozowano 222 osoby, zapadalność na IChM (inwazyjna choroba meningokokowa) wynosiła 0,58/100 tys. ludności.

Jak wynika z odnalezionych wytycznych i opinii eksperckich najskuteczniejszą metodą profilaktyki zakażeń meningokokami grupy C są szczepienia profilaktyczne. Obecnie zaleca się stosowanie szczepionki polisacharydowej koniugowanej przeciwko meningokokom grupy C. Szczepienia rutynowe osób z grup ryzyka nie tylko indukuje odporność osobniczą, ale także populacyjną co pozwala uniknąć rozprzestrzeniania się zakażenia.

Zalecenia wynikające z odnalezionych wytycznych:

- Podstawową i najskuteczniejszą formą profilaktyki zakażeń bakteriami *N. meningitidis* różnych grup serologicznych są szczepienia.
- Szczepienia zalecane są w każdym wieku, jednak największy nacisk należy położyć na immunizację osób z grup wysokiego ryzyka:
 - dzieci i młodzieży w wieku 11 – 19 lat,
 - nowoprzyjętych studentów mieszkających w akademikach,
 - personel laboratoryjny mający kontakt z *N. meningitidis*,
 - rekruci wojenni,
 - osoby podróżujące do regionów, w których rozpowszechnione jest zakażenie meningokokami,
 - osoby z uszkodzoną lub usuniętą śledzioną,
 - osoby z obniżoną odpornością,

- osoby, które mogły być narażone na kontakt z bakteriami w ogniskach epidemicznych.
- Szczepienia są także zalecane w interwencyjnym zapobieganiu rozprzestrzeniania się lokalnych ognisk epidemicznych.
- Włączając programy szczepień w danym kraju należy brać pod uwagę sytuację epidemiologiczną, narodowe priorytety zdrowotne oraz sytuację ekonomiczną kraju.
- W Polsce zalecane jest stosowanie szczepionki MCC od 2. miesiąca życia, dzieciom powyżej 2 lat i dorosłym zaleca się stosowanie szczepionki polisacharydowej.
- Stosowanie szczepionki czterowalentnej MCV4 zaleca się:
 - osobom, które podróżują do krajów, w których częste jest występowanie meningokoków grup A, Y oraz W135,
 - osobom, które miały bliski kontakt z przypadkami zakażenia meningokokami grup A, Y oraz W135 powyżej 2 roku życia,
 - do kontroli rozprzestrzeniania się ognisk epidemiologicznych zakażeń meningokokami grup A, Y oraz W135,
 - W USA szczepionka MCV4 jest zalecana do podania w jednej dawce u w wieku 11–18 lat.

Odnaleziono pierwotne i wtórne dowody naukowe dotyczące efektywności kosztowej szczepień profilaktycznych przeciwko zakażeniom bakteriami *N. meningitidis* grupy C. Wynika z nich, że szczepienia są efektywne kosztowo, szczególnie w populacjach o dużym rozpowszechnieniu zakażeń. Bezpieczeństwo stosowania szczepionek MCC zostało potwierdzone w odnalezionych badaniach oraz w opinii eksperckiej.

Szczepionki polisacharydowe koniugowane przeciwko bakteriom *N. meningitidis* grupy C są skuteczne w indukowaniu zarówno odporności osobniczej, jak i populacyjnej. Są też bezpieczne w stosowaniu w każdej grupie wiekowej. Pozwalają ograniczyć rozwój choroby, związanych z nią powikłań i uniknięcia śmierci. Prowadzą także do ograniczenia rozprzestrzeniania się zakażeń i oszczędności związanych z mniejszymi nakładami na leczenie osób zakażonych.

Na podstawie odnalezionych dowodów naukowych należy rekomendować przeprowadzanie samorządowych programów szczepień profilaktycznych przeciwko bakteriom *N. meningitidis* grupy C. Tym bardziej, że są one zalecane w kalendarzu szczepień w grupie niefinansowanej ze środków Ministra Zdrowia. Wdrożenie samorządowego programu szczepień przeciwko meningokokom grupy C powinno być poprzedzone oceną lokalnej sytuacji epidemiologicznej i potwierdzeniem potrzeby przeprowadzenia programu.

• **Wnioski z oceny programu powiatu olkuskiego**

Projekt został opracowany w sposób szczegółowy, zawiera wszystkie elementy schematu programu zdrowotnego AOTM. Przedstawiono sytuację epidemiologiczną dotyczącą IChM oraz zakażeń meningokokami w Polsce, na terenie woj. małopolskiego oraz powiatu, na którym program ma być realizowany.

Odnosząc projekt opiniowanego programu do ogólnych kryteriów dobrze zaprojektowanego programu zdrowotnego (sformułowanych przez *American Public Health Association*¹) można stwierdzić, że:

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

II. Dostępność działań programu dla beneficjentów – w projekcie opisano sposób informowania o programie. Określono populację docelową kwalifikującą się do udziału w Programie – będą to 2-latki; szczepienia będą wykonywane co najmniej 3 razy w tygodniu (raz w godzinach popołudniowych).

III. Skuteczność działań – jak wynika z odnalezionych wytycznych i opinii eksperckich najskuteczniejszą metodą profilaktyki zakażeń meningokokami grupy C są szczepienia profilaktyczne. Szczepionki polisacharydowe koniugowane przeciwko bakteriom *N. meningitidis* grupy C są skuteczne w indukowaniu zarówno odporności osobniczej, jak i populacyjnej.

IV. W projekcie przedstawiono koszty całkowite, jednostkowe, koszt zaszczepienia jednego dziecka oraz planowanej akcji informacyjnej.

V. W zakresie monitorowania, projekt programu przewiduje ocenę zgłaszalności prowadzoną na podstawie wykazu dzieci zgłaszających się na szczepienia. W zakresie oceny efektywności zasadnym byłoby monitorowanie wyszczepialności oraz współczynników zapadalności i umieralności na IChM.

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 profilaktycznych szczepień ochronnych przeciw meningokokom dzieci zamieszkałych na terenie powiatu olkuskiego” nr: AOTM-OT-441-140/2012, Warszawa, październik 2012 i aneksu „Programy profilaktyki zakażeń meningokokowych – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych:, Warszawa, październik 2012.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 222/2012 z dnia 15 października 2012 r.
o projekcie programu zdrowotnego „Szczepienia dzieci przeciwko
zakażeniom inwazyjnym meningokokowym ze szczególnym
uwzględnieniem dzieci w żłobkach i przedszkolach”
Miasta Kraków

Rada Przejrzystości wydaje negatywną opinię o programie zdrowotnym „Szczepienia dzieci przeciwko zakażeniom inwazyjnym meningokokowym ze szczególnym uwzględnieniem dzieci w żłobkach i przedszkolach” zgłoszonego przez miasto Kraków, ze względu na poważne uchybienia formalne i merytoryczne w założeniach i opisie Programu.

Uzasadnienie

*Rada Przejrzystości dawała wielokrotnie wyraz znaczeniu profilaktycznych szczepień przeciwko *Neisseria meningitidis*, ze względu na znaczne ryzyko wystąpienia poważnych powikłań w przebiegu infekcji powodowanych przez tę bakterię, ze śmiertelnością nawet w 10% przypadków, możliwością wystąpienia sepsy, powikłań neurologicznych i innych powikłań układowych oraz narządowych. Problem zdrowotny jest dobrze znany i opisany. Każda inicjatywa mająca na celu ograniczenie tych negatywnych zjawisk uzasadnia finansowanie działań profilaktycznych w tym zakresie ze środków publicznych. Projekt programu w tym zakresie przedłożony przez Miasto Kraków jest jednakże niezwykle zdawkowy. Odbiega on znacząco od schematu programu zdrowotnego zaproponowanego przez AOTM na stronie internetowej Agencji. Wśród najpoważniejszych uchybień należy wymienić:*

- Brak oszacowania liczebności populacji docelowej zamieszkującej na terenie Gminy Miejskiej Kraków; z danych demograficznych wynika, że szczepieniom ma być poddanych 1,8% populacji dzieci w przewidzianych w Programie przedziałach wiekowych.*
- Trudny do uzasadnienia wybór do szczepienia grupy 6-latków wobec podania w opisie programu przedziałów wiekowych od 2 mż do 5 rż oraz roczników 14-19 lat, jako grup najwyższego ryzyka wystąpienia powikłań poinfekcyjnych, co także jest niezgodne z zaleceniami w tym zakresie wskazującymi na zasadność szczepień w każdym wieku.*



- *Mimo zapisu w tytule Programu o „szczególnym uwzględnieniu dzieci w żłobkach i przedszkolach” w opisie nie znajduje to żadnego odzwierciedlenia.*
- *Zdawkowy sposób opisu problemu zdrowotnego bez uzasadnienia potrzeby wdrożenia programu.*
- *Brak opisu oczekiwanych efektów programu.*
- *Brak mierników efektywności odpowiadających nieprecyzyjnie określonej celowi głównemu i nie rozgraniczonym z nim celom szczegółowym*
- *Brak opisu trybu zapraszania do programu*
- *Brak opisu planowanych interwencji, zasad udzielania świadczeń w ramach programu (z pominięciem m. in. badania lekarskiego), bezpieczeństwa ani skuteczności planowanych działań*
- *Błędne podanie terminów szczepień poszczególnych roczników.*
- *Brak opisu warunków jakie powinien spełniać realizator programu.*
- *Brak wyszczególnienia źródeł finansowania Programu, a także proporcji wydatkowania środków finansowych przewidzianych na szczepienia w poszczególnych latach jego realizacji i ich podziału między grupy wiekowe 1-3 lat i 6 lat.*

Należy zaznaczyć, że analogiczny program Gminy Miejskiej Kraków, w odniesieniu do dzieci w wieku 1-3 lat, Rada opiniowała 25 czerwca 2012, zwracając uwagę na szereg podobnych uchybień w konstrukcji programu. Nie wyciągnięto z tego żadnych wniosków.

Problem decyzyjny

Pismo od Dyrektora Biura ds. Ochrony Zdrowia Urzędu Miasta Krakowa przekazujące projekt programu zdrowotnego „Szczepienia dzieci przeciwko zakażeniom inwazyjnym meningokokowym ze szczególnym uwzględnieniem dzieci w żłobkach i przedszkolach”, który miasto Kraków ma zamiar realizować w okresie 2013–2015 r. (BZ-02.8030.63.2011.MPF z dn. 08.06.2012), nadeszło do Agencji dnia 14.06.2012 r., co wyznacza ustawowy termin wydania opinii na 14.09.2012 r. Przesłane materiały uznano za wystarczające do przeprowadzenia oceny.

Samorządowe programy zdrowotne z zakresu profilaktyki zakażeń meningokokowych były już prezentowane Radzie na posiedzeniach: w dniu 21 lutego 2011 r., 20 czerwca 2011 r., 17 października 2011 r., 19 grudnia 2011 r. oraz 25 czerwca 2012 r. (opinie Prezesa AOTM nr 7/2011, nr 8/2011, nr 9/2011, nr 10/2011 z 21 lutego 2011 roku, nr 30/2011, nr 31/2011, nr 32/2011 z 20 czerwca 2011 roku, nr 154/2011, nr 155/2011, nr 156/2011, nr 157/2011 i nr 158/2011 z 17 października 2011 roku, nr 184 z 19 grudnia 2011 roku, nr 107, nr 108, nr 109, nr 110, nr 111, nr 112, nr 113 z 25 czerwca 2012 roku). Wśród 20 wydanych opinii, 16 opinii odnosiło się do programów opartych przede wszystkim na szczepieniach przeciwko meningokokom dzieci w wieku do 8 r.ż., w 4 programach uwzględniono populację młodzieży w wieku 14–16 lat, w 1 populację dzieci w wieku 12 lat.

Program zdrowotny miasta Krakowa pt. „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych grupie dzieci od 6 tygodni do 5 lat oraz zakażeń meningokokowych w grupie dzieci w wieku od 1 do 3 lat, zamieszkałych w Gminie Miejskiej Kraków” był opiniowany na posiedzeniu Rady Przejrzystości 25 czerwca 2012 r. Opinia (nr 109/2012 z 25 czerwca 2012 r.) do programu była negatywna ze względu na nieprzedstawienie budżetu na żaden rok realizacji, nieoszacowanie populacji docelowej, brak kosztów działań informacyjnych, brak informacji na temat konieczności wyrażenia świadomej, pisemnej zgody na szczepienie przez rodziców, brak sposobu monitorowania.

W 4 wydanych opiniach sugerowano zaszczepienie w pierwszej kolejności dzieci w 13–14 miesiącu życia oraz dokonanie wyboru szczepionki w drodze przetargu publicznego. Podkreślono, że niewskazywanie w projekcie programu zdrowotnego konkretnego produktu leczniczego planowanego do wykorzystania w programie jest podejściem właściwym, zasadne jest bowiem rozpatrzenie wszystkich dostępnych produktów, z uwzględnieniem ich efektywności oraz ceny. W opiniach nr 31/2011, 158/2011 wyrażono się pozytywnie o szczepieniach dzieci w wieku 15–16 lat.

Problem zdrowotny

Neisseria meningitidis jest Gram-ujemną, otoczkową i urzęsioną dwóinką. Obok *Haemophilus influenzae* typu b oraz *Streptococcus pneumoniae* jest jednym z trzech zasadniczych czynników etiopatogenetycznych odpowiadających za większość przypadków zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych pojawiających się po okresie niemowlęctwa. Bakterie te charakteryzują się skłonnością do kolonizowania części nosowej gardła, a w konsekwencji powodują utajoną bakteriemie lub widoczną infekcję, np. zapalenie ucha, zapalenie płuc lub zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych.

Wyróżniono przynajmniej 13 grup serologicznych *Neisseria meningitidis*, ale ciężkie zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych powodują meningokoki z 5 grup serologicznych: MenA, B, C, Y oraz W135. *Neisseria meningitidis* występuje u dzieci, młodzieży oraz dorosłych w wieku od 1 roku do 29 lat. Zakażenia mogą występować nie tylko w postaci zachorowań sporadycznych, endemicznych/hiperendemicznych, ale również epidemicznych/pandemicznych. Grupa A powoduje epidemie o dużej skali w krajach rozwijających się (np. „pas meningokokowy” w Afryce). Bakterie z grupy MenB są główną przyczyną endemicznego zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych w krajach wysoko rozwiniętych i stanowią 30%-40% przypadków w Płn. Ameryce oraz do 80% w niektórych krajach europejskich (np. Norwegia, Holandia, Niemcy oraz Dania). Pozostała część zachorowań dotyczy szczepu grupy C. Zakażenia tym szczepem przeważają w Wielkiej Brytanii, Irlandii, Kanadzie, Grecji i Hiszpanii. W Polsce w zależności od grupy wiekowej przeważają serogrupy MenB lub MenC (Rycina 1). We wszystkich ww. krajach częstotliwość choroby jest najwyższa w zimie u dzieci poniżej 1 r.ż. Jednym z najważniejszych czynników wirulencji jest białko H-wiążące (fHbp), powoduje zdolność szczepów meningokokowych do unikania wrodzonej odpowiedzi immunologicznej.

Bakteryjne zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych stanowi problem ogólnoświatowy. Szacuje się, że na ogólną liczbę około 500 tys. przypadków zakażeń rocznie w skali globalnej, nastąpi co najmniej 50 000 zgonów i tyle samo przypadków trwałych uszkodzeń neurologicznych. Mimo zastosowania zaawansowanych metod leczenia oraz antybiotykoterapii śmiertelność nawet w krajach wysokorozwiniętych wynosi 5-10% i może osiągnąć 20% w krajach rozwijających się. W populacji osób z przebyłym zapaleniem opon mózgowych 10-20% cierpi na trwałe zaburzenia neurologiczne, takie jak epilepsja, opóźnienie umysłowe oraz sensoryczno-neuronalną głuchotę.

Uważa się, że 10 do 20% populacji jest nosicielami *Neisseria meningitidis*. Każdego roku w USA notuje się 3 tys. przypadków choroby meningokokowej, dla Zachodniej Europy liczba ta wynosi 7 700. Częstotliwość występowania w USA waha się w granicach 0.5-1.5/100 tys. przypadków w ciągu roku.

Wydaje się, że w porównaniu z danymi WHO, polskie dane epidemiologiczne są w tym zakresie niedoszacowane.

W większości przypadków do zakażenia dochodzi poprzez kontakt międzypersonalny drogą kropelkową lub poprzez kontakt z wydzielinami układu oddechowego osoby zakażonej. Bliski i przedłużający się kontakt z osobą zakażoną – jak pocałunki, kichanie, kaszlenie na drugą osobę, czy życie w skupiskach i dzielenie się sztućcami i naczyniami – ułatwia rozprzestrzenianie się choroby. Średni czas inkubacji wynosi 4 dni, ale może się wahać w granicach 2 do 10 dni. U niemowląt i młodszych dzieci choroba może mieć przebieg piorunujący, prowadzący w ciągu kilku godzin do zgonu. Jedynie u ograniczonej liczby zakażonych rozwija się choroba z zakażeniem opon mózgowo-rdzeniowych.

Pomijając aspekty kliniczne i terapeutyczne infekcji meningokokowych, w świetle założeń opiniowanego programu należy zwrócić uwagę przede wszystkim na odpowiednią profilaktykę. Do postępowania w tym zakresie należy m. in. stosowanie szczepień przy użyciu szczepionek przeciwko meningokokom grup A, C, Y oraz W135, a wśród nich szczepionek nieskoniugowanych monowalentnych polisacharydowych, używanych w szczepieniach dzieci powyżej 2. r.ż. oraz dorosłych, szczepionek nieskoniugowanych wielowalentnych polisacharydowych: A+C, A+C+W oraz A+C+Y+W135 oraz szczepionek koniugowanych dla serogrupy C oraz tetrawalentnych A, C, Y i W135. Skuteczność szczepień z zastosowaniem preparatów koniugowanych szacowana jest na ponad 90%.

Badania ogólnopolskie wskazują, że większość rodziców nie zdaje sobie sprawy, że na zakażenie meningokokami narażona jest również młodzież. Wysoki odsetek rodziców jest natomiast świadomych sposobów profilaktyki zakażeń – o tym, że można się chronić przed chorobami meningokokowymi za pomocą szczepionek (83%) oraz dbając o higienę (58%). Najczęstszym powodem niewykonywania szczepień jest brak informacji od lekarza na temat szczepionki (32%) oraz problemy finansowe jako bariera niestosowania profilaktyki w formie szczepień ochronnych (28%). Równocześnie przeprowadzono badanie internetowe na reprezentatywnej grupie lekarzy pediatrów. Wynika z niego, że jedynie 8% lekarzy twierdzi, że więcej niż połowa rodziców pyta o szczepienia przeciw meningokokom oraz, że tylko ponad połowa (54%) pediatrów zaleca szczepienia rodzicom dzieci z grup podwyższonego ryzyka (tzn. tym, które idą do szkoły, przedszkola czy żłobka). Z świetle powyższego należy zwracać szczególną uwagę na prawidłowo przeprowadzane w tym zakresie akcje informacyjne oraz stosowanie odpowiednich mierników oceny skuteczności programu.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty i uwagi, Rada Przejrzystości wydaje opinię jak na wstępie.

.....
[Redacted]
[Redacted]

Tryb wydania stanowiska:

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Szczepienia dzieci przeciwko zakażeniom inwazyjnym meningokokowym ze szczególnym uwzględnieniem dzieci w żłobkach i przedszkolach” nr: AOTM-OT-441-197/2012, Warszawa, październik 2012 i aneksu „Programy profilaktyki zakażeń meningokokowych – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych:, Warszawa, październik 2012.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 223/2012 z dnia 15 października 2012 r.
o projekcie programu zdrowotnego
„Program zdrowotny na lata 2013–2018, dotyczący szczepień
profilaktycznych dzieci zamieszkałych na terenie gminy Masłów
przeciwko bakteriom meningokokowym grupy C”
gminy Masłów

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt pod nazwą „Program zdrowotny na lata 2013–2018, dotyczący szczepień profilaktycznych dzieci zamieszkałych na terenie gminy Masłów przeciwko bakteriom meningokokowym grupy C” i uznaje za zasadną jego realizację.

Uzasadnienie

*Rada Przejrzystości dawała wielokrotnie wyraz znaczeniu profilaktycznych szczepień przeciwko *Neisseria meningitidis*, ze względu na znaczne ryzyko wystąpienia poważnych powikłań w przebiegu infekcji powodowanych przez tę bakterię, ze śmiertelnością nawet w 10% przypadków, możliwością wystąpienia sepsy, powikłań neurologicznych i innych powikłań układowych oraz narządowych. Problem zdrowotny jest dobrze znany i opisany. Każda inicjatywa mająca na celu ograniczenie tych negatywnych zjawisk uzasadnia finansowanie działań profilaktycznych w tym zakresie ze środków publicznych. Projekt programu zdrowotnego złożony przez Samorządowy Zespół Obsługi Oświaty w Masłowie zawiera podstawowe elementy i informacje pozwalające na jego pozytywne zaopiniowanie, choć odbiega od schematu programu zdrowotnego, zaproponowanego przez AOTM na stronie internetowej Agencji. Należy zwrócić uwagę na następujące cechy i elementy programu:*

- *Program jest kontynuacją - jak można wywnioskować - akcji szczepień profilaktycznych „przeciwko bakteriom meningokokowym grupy C”, prowadzonej w gminie w latach 2008-2012, z objęciem nią dzieci urodzonych w latach 1992-1996.*
- *Aktualnie planuje się zaszczepienie roczników 1997-2001 w okresie od roku 2013 do 2018; podano liczby dzieci, które powinny być objęte szczepieniami każdego roku. Ogółem ma być zaszczepionych 723 dzieci.*



- *Przedmiot, cel programu, opis problemu zdrowotnego oraz przesłanki do realizacji programu charakteryzuje znaczny poziom ogólności; wymienia się przede wszystkim wysokie ryzyko wystąpienia zapaleń opon mózgowo-rdzeniowych wśród powikłań zakażeń z udziałem *Neisseria meningitidis* i konieczność zapobiegania temu zjawisku. Nie określono celów szczegółowych.*
- *Podkreśla się zasadność szczepienia dzieci małych do 12 mż, ale także starszych dzieci oraz osób dorosłych ze zbiorowisk ludzkich, w których wyższe jest ryzyko rozprzestrzeniania się infekcji.*
- *Szczepienia mają być prowadzone pod nadzorem lekarzy pediatrów, z uwzględnieniem badania lekarskiego i po uzyskaniu zgody rodziców dziecka; lekarze w każdym z indywidualnych przypadków wykluczą ewentualne przeciwwskazania do szczepienia; korzystne byłoby dołączenie do projektu (tego typu projektów w przyszłości) wzoru zgody podpisywanej przez rodziców.*
- *W programie zamierza się podać 1 dawkę szczepionki przeciwko meningokokom grupy C, co jest zgodne ze wskazaniami producenta dotyczącymi dawkowania oraz zaleceniami w tej grupie wiekowej.*
- *Szacunkowe koszty programu, w rozbiciu na poszczególne lata jego realizacji będą w 100% pokryte ze środków Gminy Masłów.*
- *W projekcie nie przedstawiono kosztów jednostkowych zaszczepienia jednego dziecka, choć można wyliczyć, że koszt taki wynosi 135 zł. Przy aktualnych cenach rynkowych szczepionek przeciwko *Neisseria meningitidis* powinna być to kwota wystarczająca.*
- *Wybór realizatora lub realizatorów programu zostanie przeprowadzony przez Gminę Masłów w drodze otwartego konkursu ofert.*
- *Projekt programu nie przewiduje przeprowadzenia akcji informacyjnej. Nie wiadomo w jaki sposób ma się odbywać zawiadamianie uprawnionych osób o realizacji programu; jest to istotna wada projektu.*
- *W projekcie nie przedstawiono sposobu monitorowania programu (ocena zgłaszalności, ocena jakości świadczeń oraz efektywności programu opartej na analizie np. współczynników zapadalności oraz umieralności z powodu chorób o etiologii meningokokowej oraz długotrwałym monitorowaniu wyszczepialności).*

Reasumując przedłożony program uzyskuje pozytywną opinię, a jego niedociągnięcia mogą być usunięte w toku realizacji programu

Problem decyzyjny

Pismo od Kierownika Samorządowego Zespołu Obsługi Oświaty w Masłowie przekazujące projekt programu zdrowotnego „Program zdrowotny na lata 2013–2018, dotyczący szczepień profilaktycznych dzieci zamieszkałych na terenie gminy Masłów przeciwko

bakteriom meningokokowym grupy C”, który gmina Masłów ma zamiar realizować w okresie 2013–2018 r. (SZOO:8031-16/06/08/12 z dn. 16.08.2012), nadeszło do Agencji dnia 21.08.2012 r., co wyznacza ustawowy termin wydania opinii na 21.11.2012 r. Przesłane materiały uznano za wystarczające do przeprowadzenia oceny.

Dnia 5.09.2012 r. pismem AOTM-OT-441-265(2)/RR/2012 zwrócono się do Radcy Prawnego AOTM z zapytaniem czy w świetle art. 48 ust. 2a ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, Agencja ma obowiązek zaopiniowania projektów programów, jeśli nie przekazała ich jednostka samorządu terytorialnego, **a jedynie Samodzielny Zespół Obsługi Oświaty**. W odpowiedzi dnia 6.09.2012 r. pismem AOTM-RP-024-61(2)/JP/2012 otrzymano wyjaśnienie, że Samodzielny Zespół Obsługi Oświaty w Masłowie jest jednostką organizacyjną utworzoną przez gminę Masłów. Agencja zobowiązana jest uznać, że projekty programów zdrowotnych przesłane przez Samodzielny Zespół Obsługi Oświaty w Masłowie zostały przekazane przez jednostkę samorządu terytorialnego, jaką jest gmina Masłów, tym samym podlegają zaopiniowaniu przez AOTM.

Samorządowe programy zdrowotne z zakresu profilaktyki zakażeń meningokokowych były już prezentowane Radzie na posiedzeniach: w dniu 21 lutego 2011 r., 20 czerwca 2011 r., 17 października 2011 r., 19 grudnia 2011 r. oraz 25 czerwca 2012 r. (opinie Prezesa AOTM nr 7/2011, nr 8/2011, nr 9/2011, nr 10/2011 z 21 lutego 2011 roku, nr 30/2011, nr 31/2011, nr 32/2011 z 20 czerwca 2011 roku, nr 154/2011, nr 155/2011, nr 156/2011, nr 157/2011 i nr 158/2011 z 17 października 2011 roku, nr 184 z 19 grudnia 2011 roku, nr 107, nr 108, nr 109, nr 110, nr 111, nr 112, nr 113 z 25 czerwca 2012 roku). Wśród 20 wydanych opinii, 16 opinii odnosiło się do programów opartych przede wszystkim na szczepieniach przeciwko meningokokom dzieci w wieku do 8 r.ż., w 4 programach uwzględniono populację młodzieży w wieku 14–16 lat, w 1 populację dzieci w wieku 12 lat.

W 4 wydanych opiniach sugerowano zaszczepienie w pierwszej kolejności dzieci w 13–14 miesiącu życia oraz dokonanie wyboru szczepionki w drodze przetargu publicznego. Podkreślono, że niewskazywanie w projekcie programu zdrowotnego konkretnego produktu leczniczego planowanego do wykorzystania w programie jest podejściem właściwym, zasadne jest bowiem rozpatrzenie wszystkich dostępnych produktów, z uwzględnieniem ich efektywności oraz ceny. W opiniach nr 31/2011, 158/2011 wyrażono się pozytywnie o szczepieniach dzieci w wieku 15–16 lat.

Problem zdrowotny

Neisseria meningitidis jest Gram-ujemną, otoczkową i urzęsioną dwóinką. Obok *Haemophilus influenzae* typu b oraz *Streptococcus pneumoniae* jest jednym z trzech zasadniczych czynników etiopatogenetycznych odpowiadających za większość przypadków zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych pojawiających się po okresie niemowlęctwa. Bakterie te charakteryzują się skłonnością do kolonizowania części nosowej gardła, a w konsekwencji powodują utajoną bakteriemię lub widoczną infekcję, np. zapalenie ucha, zapalenie płuc lub zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych.

Wyróżniono przynajmniej 13 grup serologicznych *Neisseria meningitidis*, ale ciężkie zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych powodują meningokoki z 5 grup serologicznych: MenA, B, C, Y oraz W135. *Neisseria meningitidis* występuje u dzieci, młodzieży oraz dorosłych w wieku od 1 roku do 29 lat. Zakażenia mogą występować nie tylko w postaci zachorowań sporadycznych, endemicznych/hiperendemicznych, ale również epidemicznych/pandemicznych. Grupa A powoduje epidemie o dużej skali w krajach rozwijających się (np.

„pas meningokokowy” w Afryce). Bakterie z grupy MenB są główną przyczyną endemicznego zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych w krajach wysoko rozwiniętych i stanowią 30%-40% przypadków w Płn. Ameryce oraz do 80% w niektórych krajach europejskich (np. Norwegia, Holandia, Niemcy oraz Dania). Pozostała część zachorowań dotyczy szczepu grupy C. Zakażenia tym szczepem przeważają w Wielkiej Brytanii, Irlandii, Kanadzie, Grecji i Hiszpanii. W Polsce w zależności od grupy wiekowej przeważają serogrupy MenB lub MenC (Rycina 1). We wszystkich ww. krajach częstotliwość choroby jest najwyższa w zimie u dzieci poniżej 1 rż. Jednym z najważniejszych czynników wirulencji jest białko H-wiążące (fHbp), powoduje zdolność szczepów meningokokowych do unikania wrodzonej odpowiedzi immunologicznej.

Bakteryjne zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych stanowi problem ogólnoświatowy. Szacuje się, że na ogólną liczbę około 500 tys. przypadków zakażeń rocznie w skali globalnej, nastąpi co najmniej 50 000 zgonów i tyle samo przypadków trwałych uszkodzeń neurologicznych. Mimo zastosowania zaawansowanych metod leczenia oraz antybiotykoterapii śmiertelność nawet w krajach wysokorozwiniętych wynosi 5-10% i może osiągnąć 20% w krajach rozwijających się. W populacji osób z przebyłym zapaleniem opon mózgowych 10-20% cierpi na trwałe zaburzenia neurologiczne, takie jak epilepsja, opóźnienie umysłowe oraz sensoryczno-neuronalną głuchotę.

Uważa się, że 10 do 20% populacji jest nosicielami *Neisseria meningitidis*. Każdego roku w USA notuje się 3 tys. przypadków choroby meningokokowej, dla Zachodniej Europy liczba ta wynosi 7 700. Częstotliwość występowania w USA waha się w granicach 0.5-1.5/100 tys. przypadków w ciągu roku.

Wydaje się, że w porównaniu z danymi WHO polskie dane epidemiologiczne są w tym zakresie niedoszacowane.

W większości przypadków do zakażenia dochodzi poprzez kontakt międzypersonalny drogą kropelkową lub poprzez kontakt z wydzielinami układu oddechowego osoby zakażonej. Bliski i przedłużający się kontakt z osobą zakażoną – jak pocałunki, kichanie, kaszlenie na drugą osobę, czy życie w skupiskach i dzielenie się sztućcami i naczyniami – ułatwia rozprzestrzenianie się choroby. Średni czas inkubacji wynosi 4 dni, ale może się wahać w granicach 2 do 10 dni. U niemowląt i młodszych dzieci choroba może mieć przebieg piorunujący, prowadzący w ciągu kilku godzin do zgonu. Jedynie u ograniczonej liczby zakażonych rozwija się choroba z zakażeniem opon mózgowo-rdzeniowych.

Pomijając aspekty kliniczne i terapeutyczne infekcji meningokokowych, w świetle założeń opiniowanego programu należy zwrócić uwagę przede wszystkim na odpowiednią profilaktykę. Do postępowania w tym zakresie należy m. in. stosowanie szczepień przy użyciu szczepionek przeciwko meningokokom grup A, C, Y oraz W135, a wśród nich szczepionek nieskoniugowanych monowalentnych polisacharydowych, używanych w szczepieniach dzieci powyżej 2. rż. oraz dorosłych, szczepionek nieskoniugowanych wielowalentnych polisacharydowych: A+C, A+C+W oraz A+C+Y+W135 oraz szczepionek koniugowanych dla serogrupy C oraz tetrawalentnych A, C, Y i W135. Skuteczność szczepień z zastosowaniem preparatów koniugowanych szacowana jest na ponad 90%.

Badania ogólnopolskie wskazują, że większość rodziców nie zdaje sobie sprawy, że na zakażenie meningokokami narażona jest również młodzież. Wysoki odsetek rodziców jest natomiast świadomych sposobów profilaktyki zakażeń – o tym, że można się chronić przed chorobami meningokokowymi za pomocą szczepionek (83%) oraz dbając o higienę (58%). Najczęstszym powodem niewykonywania szczepień jest brak informacji od lekarza na temat

szczepionki (32%) oraz problemy finansowe jako bariera niestosowania profilaktyki w formie szczepień ochronnych (28%). Równocześnie przeprowadzono badanie internetowe na reprezentatywnej grupie lekarzy pediatrów. Wynika z niego, że jedynie 8% lekarzy twierdzi, że więcej niż połowa rodziców pyta o szczepienia przeciw meningokokom oraz, że tylko ponad połowa (54%) pediatrów zaleca szczepienia rodzicom dzieci z grup podwyższonego ryzyka (tzn. tym, które idą do szkoły, przedszkola czy żłobka). Z świetle powyższego należy zwracać szczególną uwagę na prawidłowo przeprowadzane w tym zakresie akcje informacyjne oraz stosowanie odpowiednich mierników oceny skuteczności programu, co warto zadedykować autorom projektu.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty i uwagi, Rada Przejrzystości wydaje opinię jak na wstępie.

.....
[Redacted signature]

Tryb wydania stanowiska:

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Program zdrowotny na lata 2013–2018, dotyczący szczepień profilaktycznych dzieci zamieszkałych na terenie gminy Masłów przeciwko bakteriom meningokokowym grupy C” nr: AOTM-OT-441-265/2012, Warszawa, październik 2012 i aneksu „Programy profilaktyki zakażeń meningokokowych – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych:, Warszawa, październik 2012.



Opinia Rady Przejrzystości

Nr 224/2012 z dnia 15 października 2012 r.

o projekcie programu zdrowotnego „Szczepienia dzieci przeciw inwazyjnym zakażeniom pneumokokowym, ze szczególnym uwzględnieniem dzieci w żłobkach”

Miasta Kraków

Rada Przejrzystości wydaje negatywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Szczepienia dzieci przeciw inwazyjnym zakażeniom pneumokokowym, ze szczególnym uwzględnieniem dzieci w żłobkach” zgłoszonego przez Miasto Kraków, ze względu na poważne uchybienia formalne i merytoryczne w założeniach i opisie Programu.

Uzasadnienie

Rada Przejrzystości dawała wielokrotnie wyraz znaczeniu profilaktycznych szczepień przeciwko zakażeniom pneumokokowym. Infekcje o tej etiologii mogą się wiązać z szeregiem powikłań ogólnoustrojowych, układowych i narządowych z wysokimi współczynnikami ryzyka zgonu w przypadkach pneumokokowych zapaleń opon mózgowo-rdzeniowych lub zapaleń płuc z bakteriami. U ponad ¼ dzieci po przebytych zapaleniu opon mózgowo-rdzeniowych obserwuje się powikłania neurologiczne, nie mówiąc o szeregu innych powikłaniach układowych i narządowych. Każda inicjatywa mająca na celu ograniczenie tych negatywnych zjawisk uzasadnia finansowanie działań profilaktycznych w tym zakresie ze środków publicznych. Projekt programu w tym zakresie przedłożony przez Miasto Kraków jest jednakże niezwykle zdawkowy. Odbiega on znacząco od schematu programu zdrowotnego zaproponowanego przez AOTM na stronie internetowej Agencji. Zwracają uwagę następujące uchybienia:

- *nie oszacowano liczebności populacji docelowej:*

Program ma być realizowany w okresie 2013–2015 r. Z projektu programu nie wynika, czy liczba 200 dzieci, które mają być objęte szczepieniami, będzie zaszczepiona w ciągu całego 3-letniego okresu realizacji, czy w każdym roku. Nie oszacowano liczebności populacji całkowitej kwalifikującej się do objęcia programem. Granica wiekowa populacji także nie została dobrze sprecyzowana – w jednym miejscu projektu podaje się, że będą to dzieci uczęszczające do żłobka w wieku do 3 lat, w innym miejscu dzieci w wieku 6 mż–2 rż uczęszczające do żłobka.



Zgodnie z danymi GUS w 2010 r. Kraków zamieszkiwało 23 533 dzieci w wieku 0–2 lat lub 30 215 w wieku 0–3 lat. Nie odnaleziono danych na temat odsetka dzieci uczęszczających w tym wieku do żłobków. Niezależnie od tego należy wnioskować, że szczepieniom miałyby być poddanych mniej niż 1% dzieci w wieku 0-2 lat, co mija się jednym z celów tego typu profilaktyki, jakim jest indukowanie odporności zbiorowej w środowisku rodzinnym lub społecznym dziecka.

W projekcie nie przedstawiono żadnych innych kryteriów kwalifikacji oprócz kryterium wieku (w tym aspekcie także występują w projekcie rozbieżności) i konieczności uczęszczania do żłobka,

- Nie przedstawiono celów szczegółowych.
- Nie opisano oczekiwanych efektów oraz mierników efektywności odpowiadających celom, trybu zapraszania do programu, etapów i części składowych, kryteriów i sposobu kwalifikacji uczestników, zasad udzielania świadczeń w ramach programu, źródeł finansowania, argumentów przemawiających za tym, że wykorzystanie dostępnych zasobów jest optymalne, sposobu monitorowania ani w zakresie zgłaszalności, ani jakości świadczeń, czy efektywności, nie odniesiono się do kwestii bezpieczeństwa, warunków, jakie powinien spełniać realizator.
- Projekt programu nie przewiduje przeprowadzenia akcji informacyjnej.
- W opisie projektu brakuje informacji, czy przed szczepieniem każde dziecko zostanie poddane kwalifikującemu badaniu lekarskiemu.
- Nie podkreślono konieczności uzyskania od rodziców świadomej, pisemnej zgody na zaszczepienie dziecka.
- Nie podano, czy podmiot wskazany do realizacji programu został wybrany w drodze konkursu ofert, zgodnie z wymogami ustawowymi.
- Mimo prawidłowego wyboru szczepionki skoniugowanej Prevenar 13, planowany schemat szczepienia jest niezgodny z zaleceniami producenta szczepionki oraz rekomendacjami.
- W projekcie nie przedstawiono sposobu monitorowania programu. Ocena zgłaszalności powinna być dokonana na podstawie liczby dzieci zgłoszonych do programu przez rodziców, liczby dzieci, którym podano szczepionkę, liczby dzieci, których ze względu na przeciwwskazania lekarskie nie zaszczepiono. Ocena jakości świadczeń mogłaby się odbywać poprzez ankiety skierowane do rodziców dzieci, oceniające ich zadowolenie.
- Nie podano sposobu i źródeł finansowania programu!

Problem decyzyjny

Pismo od Dyrektora Biura ds. Ochrony Zdrowia Urzędu Miasta Krakowa przekazujące projekt programu zdrowotnego „Szczepienia dzieci przeciw inwazyjnym zakażeniom pneumokokowym, ze szczególnym uwzględnieniem dzieci w żłobkach”, który miasto Kraków

ma zamiar realizować w okresie 2013–2015 r. (BZ-02.8030.63.2011.MPF z dn. 08.06.2012), nadeszło do Agencji dnia 14.06.2012 r., co wyznacza ustawowy termin wydania opinii na 14.09.2012 r. Przesłane materiały uznano za wystarczające do przeprowadzenia oceny.

Samorządowe programy zdrowotne z zakresu profilaktyki zakażeń pneumokokowych były już prezentowane Radzie na posiedzeniach: 9/2010 w dniu 12 kwietnia 2010 r. (opinia Prezesa AOTM nr 7/2010 z 12 kwietnia 2010 roku), 18/2010 w dniu 6 września 2010 r. (opinie Prezesa AOTM nr 38/2010, nr 39/2010 z 6 września 2010 r.), 25/2010 w dniu 29 listopada 2010 r. (opinia Prezesa AOTM nr 60/2010 z 29 listopada 2010 roku), 4/2011 w dniu 28 lutego 2011 r. (opinie Prezesa AOTM nr 13/2011, nr 14/2011, nr 15/2011 z 28 lutego 2011 r.), 12/2011 w dniu 20 czerwca 2011 r. (opinie Prezesa AOTM nr 33/2011, nr 34/2011, 35/2011, 36/2011, 37/2011 z 20 czerwca 2011 r.), 18/2011 w dniu 5 września 2011 r. (opinie Prezesa AOTM nr 82/2011, nr 83/2011, nr 84/2011 z dnia 5 września 2011 r.), 17 października 2011 r. (opinie Prezesa AOTM nr 154/2011, nr 155/2011, nr 156/2011, nr 157/2011), 23 stycznia 2012 r. (opinie Prezesa AOTM nr 2/2012, nr 3/2012, nr 4/2012, nr 5/2012 z 23 stycznia 2012 r.), 26 marca 2012 r. (opinie Prezesa AOTM nr 35/2012, nr 36/2012, nr 37/2012, nr 38/2012, nr 39/2012, nr 40/2012 z 26 marca 2012 r.) oraz 18 czerwca 2012 r. (opinie Prezesa nr 103/2012, nr 104/2012, nr 105/2012, nr 106/2012 z 18 czerwca 2012 r.). Wśród 33 wydanych dotychczas opinii, 6 było negatywnych, wszystkie opinie odnosiły się do programów opartych na szczepieniach przeciwko pneumokokom dzieci w wieku do 5 r.ż.

W wydanych opiniach podkreślano, że „Istnieje wiele wtórnych dowodów naukowych potwierdzających efektywność i bezpieczeństwo szczepionek przeciwko pneumokokom, również u dzieci poniżej 2 roku życia. Szczepienia te są powszechnie akceptowane, zalecane przez ekspertów polskich i zagranicznych, finansowane w wielu krajach europejskich, i charakteryzują się wysokim prawdopodobieństwem osiągnięcia kosztowej efektywności w systemach opieki zdrowotnej państw rozwiniętych. Silna odpowiedź immunologiczna na szczepionkę skoniugowaną nie tylko skutecznie zabezpiecza przed inwazyjną chorobą pneumokokową, ale ma też wpływ na infekcje śluzówkowe i powoduje redukcję nosicielstwa. Wpływa również na obniżenie zapadalności na daną chorobę w populacji nieszczepionej. Dzieci z grup ryzyka są w Polsce objęte obowiązkowym szczepieniem przeciwko pneumokokom. Równocześnie należy mieć na względzie, że podejmowanie tego typu działań w jednostkach samorządowych wynika z braku zaspokojenia potrzeby szczepienia dzieci przeciwko pneumokokom w skali kraju. Rutynowe szczepienia dzieci do 2 lat 3–4 dawkami szczepionki skoniugowanej PCV (z ew. programem „catch-up” – zabezpieczania dzieci do lat 5 wg oddzielnego schematu) jest zalecane w wielu krajach i wydaje się obecnie standardem postępowania”.

Problem zdrowotny

Infekcje układu oddechowego są trzecią co do częstości przyczyną zgonów dzieci poniżej 5-go roku życia na świecie. Wśród czynników etiopatogenetycznych istotne miejsce zajmują zakażenia pneumokokowe prowadzące do zapaleń dróg oddechowych, ropnego zapalenia ucha środkowego i zatok obocznych nosa, a także do posocznicy, zapaleń opon mózgowo-rdzeniowych, zapaleń wsierdza lub masywnego zapalenia otrzewnej u osób po splenektomii. Drogi oddechowe mogą być pierwotną lokalizacją zakażenia pneumokokowego, które następnie rozwija się do choroby inwazyjnej. W części przypadków zakażenie inwazyjne poprzedza zapalenie płuc, gdyż pewna część zapaleń płuc jest pochodzenia krwiopochodnego.

Zapadalność na inwazyjne zakażenia pneumokokowe ma dwa szczyty: u młodszych dzieci i u osób po 75 r.ż. Śmiertelność dzieci z zapaleniem opon mózgowych w wyniku inwazyjnego zakażenia pneumokokowego wynosi 20%, z zapaleniem płuc i bakteriecią 7%; następstwem

zapaleń opon mózgowych są powikłania neurologiczne u 26% dzieci, u których infekcja nie zakończyła się zgonem. Sytuację dodatkowo komplikuje rozwój antybiotykoopornych szczepów *Streptococcus pneumoniae*.

Według polskich badań epidemiologicznych – zapadalność na inwazyjną postaci infekcji o etiologii pneumokokowej u dzieci do 2 r.ż. wynosi 19/100 000, w grupie 2-5 lat - 5,8/100 000, a powyżej 5 r.ż. – 17,6/100 000; wg danych WHO rocznie zachorowuje 11 666 - 14 565 dzieci, z czego tego 28-71 przypadków kończy się zgonem.

W ramach szczepień ochronnych mogą być wykorzystane dwa typy szczepionek przeciwko *Streptococcus pneumoniae*: polisacharydowa, zawierająca 23 serotypy pneumokoków – PPV-23 (pneumococcal polysaccharide vaccine), oraz sprzężona z białkiem siedmiowalentna PCV-7 (pneumococcal conjugate vaccine). Sprzężenie antygenów polisacharydowych z białkiem jest niezbędne w przypadku szczepienia dzieci poniżej 2. roku życia, gdyż nie odpowiadają one syntezą przeciwciał na antygeny węglowodanowe. Warto podkreślić, że serotypy zawarte w PPV-23 odpowiedzialne są za 85–90% pneumokokowych zakażeń inwazyjnych u dzieci i dorosłych rejestrowanych w USA, natomiast serotypy reprezentowane w PCV-7 odpowiadają za 89–93% pneumokokowych zakażeń inwazyjnych u dzieci poniżej 2 roku życia w USA i odpowiednio za 71–86% w Europie (szczepionka została przygotowana na rynek amerykański i jest skierowana przeciwko serotypom najczęstszym w USA).

Szczepienie dzieci przeciwko *Streptococcus pneumoniae* ma szersze znaczenie niż tylko zapobieganie zakażeniom i ich powikłaniom. Przekłada się na indukowanie odporności zbiorowej (*herd immunity*). Szczepienie dzieci zapobiega bowiem rozprzestrzenianiu się zakażeń w instytucjach je gromadzących (np. przedszkolach), a także w rodzinach, ze szczególną podatnością osób starszych. Zapobieganie zachorowaniom ogranicza także konieczność stosowania antybiotyków i zmniejsza ryzyko nabywania przez bakterie antybiotykooporności. Szczepienia mają też oddziaływania krzyżowe na serotypy nie pokrywane bezpośrednio przez szczepionkę. Stosując rutynowe szczepienia należy obserwować rozwój serotypów niepokrywanych szczepionką i rozwój ich lekooporności.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty i uwagi, Rada Przejrzystości wydaje opinię jak na wstępie.

.....
[Redacted signature block]

Tryb wydania stanowiska:

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Szczepienia dzieci przeciw inwazyjnym zakażeniom pneumokokowym, ze szczególnym uwzględnieniem dzieci w żłobkach” realizowany przez: miasto Kraków” nr: AOTM-OT-441-196/2012, Warszawa, październik 2012 i aneksu „Programy profilaktyki zakażeń pneumokokowych – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, Warszawa, październik 2012.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 225/2012 z dnia 15 października 2012 r.
o projekcie programu „Program profilaktyki zakażeń
pneumokokowych wśród dzieci zamieszkałych na terenie Gminy
Bogoria, przy zastosowaniu trzynastowalentnej (PCV 13) szczepionki
przeciwko pneumokokom” gminy Bogoria

Rada Przejrzystości wydaje pozytywną opinię o projekcie programu „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych wśród dzieci zamieszkałych na terenie Gminy Bogoria, przy zastosowaniu trzynastowalentnej (PCV 13) szczepionki przeciwko pneumokokom” ze środków publicznych.

Uzasadnienie

Program dotyczy istotnego problemu zdrowotnego i społecznego, został przygotowany z dużą starannością i zawiera wszystkie elementy schematu programu zdrowotnego zaproponowanego przez AOTM. Doprecyzowania wymaga sposób kwalifikowania dzieci do szczepień - czy będą nimi objęte wszystkie dzieci zamieszkałe w gminie Bogoria (104 versus 69 zakwalifikowane do szczepień), czy o szczepieniu dziecka w ramach tego programu będzie decydował lekarz, a jeśli tak to jakimi kryteriami będzie się kierował.

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego gminy Bogoria z zakresu profilaktyki szczepień przeciwko pneumokokom. Projekt programu zakłada szczepienie 3-latków (dzieci urodzonych w 2009 r.) zamieszkałych na terenie gminy Bogoria. Zaszczepionych ma zostać 69 dzieci. Za cel główny programu uznano poprawę stanu zdrowia dzieci z terenu gminy Bogoria poprzez obniżenie liczby zachorowań mieszkańców na choroby wywołane pneumokokami dzięki przeprowadzeniu skutecznych szczepień. Jako cele szczegółowe wskazano: edukację zgłaszających się do programu rodziców w zakresie istniejących zagrożeń ze strony pneumokoków oraz możliwości zapobiegania im, przebadanie i zaszczepienie w terminie do 31 grudnia 2012 r. jak największej liczby dzieci, urodzonych w roku 2009, zamieszkujących na terenie gminy Bogoria, zmniejszenie liczby zakażeń inwazyjnych - posocznicy i zapalenia opon mózgowo rdzeniowych, liczby zapalenia płuc i zapalenia ucha środkowego wywoływanych przez bakterie pneumokokowe, zmniejszenie nosicielstwa bakterii pneumokokowych w jamie nosowogardłowej oraz zmniejszenie kosztów związanych z leczeniem w/w schorzeń.

Planowane działania obejmują: dotarcie z informacją o programie do rodziców dzieci, spełniających kryteria włączenia, rekrutacja dzieci, badanie dzieci, szczepienia wg przyjętego schematu, zgodnego ze wskazaniami producenta szczepionki oraz monitorowanie programu. Planuje się zastosowanie jednej dawki 13-walentnej szczepionki koniugowanej (co jest to zgodne ze wskazaniami producenta szczepionki).



Program ma być realizowany w roku 2012. W projekcie przedstawiono koszty jednostkowe zaszczepienia jednego dziecka oraz budżet całkowity, nie oszacowano kosztów edukacji rodziców ani akcji informacyjnej. Program ma być finansowany z budżetu gminy Bogoria.

Problem zdrowotny

Projekt programu zdrowotnego odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego – zakażeń pneumokokami. Stawia sobie za cel realizację priorytetów zdrowotnych „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom”, „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu przewlekłych chorób układu oddechowego” oraz „poprawa jakości i skuteczności opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3”.

Pneumokoki są szeroko rozpowszechnionymi w środowisku patogenami, które mogą być przyczyną zarówno zakażeń dróg oddechowych, jak i zakażeń inwazyjnych, takich jak posocznice, zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych, zapalenia wsierdza i masywne zapalenie otrzewnej u osób po splenektomii.

Alternatywne świadczenia

W „Programie szczepień ochronnych na 2012 rok”, zgodnie z załącznikiem do Komunikatu Głównego Inspektora Sanitarnego z dnia 26 października 2011 roku, ujęto szczepienia przeciw zakażeniom pneumokokami jako szczepienia obowiązkowe w grupach wysokiego ryzyka oraz w populacji ogólnej – zalecane, jednak niefinansowane ze środków publicznych. Zatem projektowane programy powinny obejmować tylko populacje, u których szczepienia przeciwko pneumokokom nie są finansowane ze środków publicznych. Do osób narażonych w sposób szczególny na zakażenie należą dzieci od 2 m.ż. do 5 r.ż. m.in z wadą OUN, zakażone HIV, po przeszczepieniu szpiku, chorujące na przewlekłe choroby serca, białaczkę, przewlekłą niewydolność nerek, choroby metaboliczne, przewlekłe choroby płuc, po leczeniu immunosupresyjnym oraz urodzone przed ukończeniem 37 t.c. lub z masą urodzeniową poniżej 2 500 g. Do grup ryzyka zachorowania należą dzieci uczęszczające do żłobka, przedszkola, z chorobami przewlekłymi, z zaburzeniami odporności – w ich przypadku szczepienia są zalecane, niefinansowane.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

- **Wnioski z oceny problemu zdrowotnego:**

Samorządowe programy szczepień przeciw pneumokokowym u dzieci dotyczą dokładnie określonego problemu zdrowotnego, którego rozległość można oszacować i któremu można zapobiegać. Realizują priorytety zdrowotne „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom” oraz „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu przewlekłych chorób układu oddechowego”. Niektóre programy szczepień dzieci, z uwagi na obejmowaną populację, realizują priorytet zdrowotny „poprawa jakości i skuteczności opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3”.

Dzieci w wieku 0–5 lat stanowią populację szczególnie narażoną na zakażenie pneumokokowe (drugą taką populacją są osoby starsze, czego nie dotyczy niniejsza analiza), które może przekształcić się w inwazyjne choroby pneumokokowe (IPD; zapadalność w populacji 0–2 r.ż. 19/100 000, 0–5 r.ż. – 17,6/100 000), stanowiące zagrożenie dla życia, a także niosące ryzyko powikłań odległych (np. pneumokokowe zapalenie opon mózgowych ma neurologiczne następstwa u 26% przeżywających dzieci). Zagrożone są zwłaszcza dzieci przebywające w zbiorowiskach: w populacji polskiej nosicielami *S. pneumoniae* jest 62% dzieci chodzących do żłobka i tylko 22% dzieci przebywających w domu.

W Polsce szczepienia przeciw pneumokokowe finansowane są ze środków publicznych jedynie w grupach wysokiego ryzyka dzieci do lat 5; w pozostałych grupach wiekowych dzieci i dorosłych są zalecane, ale niefinansowane.

Odnalezione dowody naukowe dotyczące efektywności klinicznej i kosztowej szczepień szczepionkami polisacharydowymi (PPV; w Polsce 23-walentne; przeznaczone dla osób >2 r.ż.) są nieliczne i słabej jakości, istnieje natomiast wiele wtórnych dowodów naukowych potwierdzających efektywność i bezpieczeństwo szczepionek skoniugowanych (PCV; w Polsce 7-, 11- i 13-walentna; przeznaczone dla dzieci do 5 r.ż.).

Efektywność PCV w zapobieganiu IPD wywołanym przez serotypy zawarte w szczepionce oszacowano na 80% (95%CI 58–90%, $p < 0,0001$), w zapobieganiu IPD wywołanym przez wszystkie serotypy – 58% (95%CI 29–75%, $p = 0,001$). Efektywność PCV w zapobieganiu pneumokokowym zapaleniom płuc jest znacznie niższa i w stosunku do klinicznie rozpoznanych zapaleniom płuc wynosi 6% (95% CI 2–9%, $p = 0,0006$). Zapobieganie umieralności ze wszystkich przyczyn oszacowano na 11% (95% CI -1% do 21%, $p = 0,08$) – brak istotności statystycznej.

PCV jest szczepionką ogólnie bezpieczną, choć kwestia bezpieczeństwa u osób z reaktywnymi chorobami układu oddechowego wymaga dalszych badań.

Mimo dużej różnorodności założeń odnalezionych analiz ekonomicznych, można przyjąć, że – przy założeniu, że korzystne efekty szczepienia, na które składa się indukowanie odporności zbiorowej, wypieranie serotypów zawartych w szczepionce przez pozostałe, narastanie antybiotykooporności i indukowanie odporności krzyżowej, utrzymają się na dłuższą metę oraz że 3 (2+1) dawki PCV zapewniają podobną odporność szczepionych co 4 (3+1) dawki – programy rutynowych szczepień PCV7 w krajach rozwiniętych można uznać za kosztowo-efektywne.

W związku z tym 24 (75%) z 32 krajów europejskich wprowadziło szczepienia przeciwko pneumokokom do kalendarzy szczepień u dzieci, w populacji ogólnej lub w grupach wysokiego ryzyka (te ostatnie w 7 krajach). W 12 krajach zalecane jest podanie 3+1 dawek szczepionki, w 11 – 2+1 (szczepienie podstawowe + dawka przypominająca). Szczepienia finansowane są w pełni ze środków publicznych albo współfinansowane. W większości krajów europejskich stosowana jest szczepionka 7-walentna, jedynie w Zjednoczonym Królestwie – 13-walentna. Poza Europą narodowe programy szczepień w USA, Kanadzie, Australii i Nowej Zelandii uwzględniają podawanie dzieciom szczepionki przeciw pneumokokowej (w USA od 2010 roku rekomendowana jest szczepionka 13-walentna). Uwaga: w cytowanych danych, pochodzących z europejskiej sieci epidemiologicznej EUVAC.NET, Polskę wskazano jako kraj, w którym szczepienia PCV nie są finansowane, co od 2009 r. nie jest już prawdą.

- **Wnioski z oceny programu gminy Bogoria:**

Projekt programu został przygotowany w sposób bardzo staranny i szczegółowy, opracowany zgodnie ze schematem programu zdrowotnego AOTM.

Program ma być realizowany w 2012 r. Programem planuje się objąć 69 dzieci urodzonych w 2009 r. Jednak zgodnie z danymi GUS w 2009 r. w gminie Bogoria urodziło się 104 dzieci. W projekcie jest niejasność co do kryteriów kwalifikacji – czy będą to wszystkie dzieci urodzone w 2009 r. zamieszkałe na terenie gminy czy lekarz na podstawie innych kryteriów samodzielnie dokona „rekrutacji” dzieci.

W ramach programu planuje się szczepienie 3-latków jedną dawką 13-walentnej szczepionki koniugowanej. Jest to zgodne ze wskazaniami producenta szczepionki.

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

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

II. Dostępność działań programu dla beneficjentów – projekt przewiduje przeprowadzenie akcji informacyjnej.

III. Skuteczność działań – jak wynika z odnalezionych wytycznych najlepszą metodą zapobiegania zachorowaniom jest szczepienie dzieci szczepionką przeciwko pneumokokom. Działanie szczepionki polega na wytworzeniu w organizmie swoistych przeciwciał przeciw bakteriom, co chroni dziecko przed zachorowaniem. Silna odpowiedź immunologiczna na szczepionkę skoniugowaną nie tylko skutecznie zabezpiecza przed inwazyjną chorobą pneumokokową, ale ma też wpływ na infekcje śluzówkowe i powoduje redukcję nosicielstwa. Wpływa również na obniżenie zapadalności na daną chorobę w populacji nieszczepionej. Zjawisko to wynika ze zmniejszenia nosicielstwa zjadliwych serotypów pneumokoka w jamie nosowo-gardłowej dzieci, czyli ograniczenia rezerwuaru patogenu.

IV. Projekt programu zawiera koszty jednostkowe zaszczepienia jednego dziecka oraz koszty całkowite. Nie oszacowano kosztów edukacji oraz działań informacyjnych.

V. W projekcie przedstawiono sposób monitorowania w zakresie oceny zgłaszalności, jakości świadczeń oraz efektywności.

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 profilaktyki zakażeń pneumokokowych wśród dzieci zamieszkałych na terenie Gminy Bogoria, przy zastosowaniu trzynastowalentnej (PCV 13) szczepionki przeciwko pneumokokom*”, nr: AOTM-OT-441-248/2012, Warszawa, październik i aneksu „*Programy profilaktyki zakażeń pneumokokowych – wspólne podstawy oceny*”, Aneks do raportów szczegółowych, październik 2012.



Opinia Rady Przejrzystości
Nr 226/2012 z dnia 15 października 2012 r.
o projekcie programu zdrowotnego
„Program zdrowotny na lata 2013–2018, dotyczący szczepień
profilaktycznych dzieci zamieszkałych na terenie gminy Masłów
przeciwko bakteriom pneumokokowym” gminy Masłów

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt pod nazwą „Program zdrowotny na lata 2013-2018, dotyczący szczepień profilaktycznych dzieci zamieszkałych na terenie gminy Masłów przeciwko bakteriom pneumokokowym” i uznaje za zasadną jego realizację, pod warunkiem zweryfikowania budżetu, który na podstawie analizy projektu wydaje się być niedoszacowany.

Uzasadnienie

Rada Przejrzystości przy Prezesie AOTM dawała wielokrotnie wyraz znaczeniu profilaktycznych szczepień przeciwko zakażeniom pneumokokowym. Infekcje o tej etiologii mogą się wiązać z szeregiem powikłań ogólnoustrojowych, układowych i narządowych z wysokimi współczynnikami ryzyka zgonu w przypadkach pneumokokowych zapaleń opon mózgowo-rdzeniowych lub zapaleń płuc z bakteriami. U ponad ¼ dzieci po przebytych zapaleniu opon mózgowo-rdzeniowych obserwuje się powikłania neurologiczne, nie mówiąc o szeregu innych powikłaniach układowych i narządowych. Każda inicjatywa mająca na celu ograniczenie tych negatywnych zjawisk uzasadnia finansowanie działań profilaktycznych w tym zakresie ze środków publicznych. Projekt programu zdrowotnego złożony przez Samorządowy Zespół Obsługi Oświaty w Masłowie zawiera podstawowe elementy i informacje pozwalające na jego pozytywne zaopiniowanie, choć odbiega od schematu programu zdrowotnego, zaproponowanego przez AOTM na stronie internetowej Agencji. Należy zwrócić uwagę na następujące cechy i elementy programu:

- W projekcie programu założono szczepienie dzieci urodzonych w latach 2010 – 2015 i zameldowanych w chwili szczepienia na terenie Gminy Masłów.*
- Szczepieniu jedną dawką mają być poddane dzieci powyżej 2 rż w okresie od roku 2013 do roku 2018; podano liczby dzieci, które powinny być objęte szczepieniami każdego roku. Ogółem ma być zaszczepionych 600*



dzieci. W latach 2012 (szczepienie w 2015) – 2015 (szczepienie w roku 2018) założono średnią liczbę 100 urodzeń rocznie na terenie gminy.

- Nie wskazano szczepionki jaka ma być zastosowana; w projekcie wymienia się jedynie szczepionki polisacharydowe przeciwko 23 serotypom pneumokoków, nieimmunogenne jednakże dla dzieci poniżej 2 rż oraz szczepionki koniugowane przeciwko 10-13 serotypom pneumokoków, podawane dzieciom od 6 mż, jako zabezpieczenie przed zapaleniem opon mózgowo-rdzeniowych, posocznicą (sepsą), bakteriami, zapaleniami uszu.
- Przedmiot, cel programu, opis problemu zdrowotnego oraz przesłanki do realizacji programu charakteryzuje znaczny poziom ogólności; wymienia się jedynie „zapobieżenie zachorowaniom na choroby wywołane zakażeniem bakteriami pneumokokowymi wśród mieszkańców Gminy Masłów. Nie określono celów szczegółowych.
- Podkreśla się znaczenie profilaktyki w grupie dzieci powyżej 2 rż, mających nawiązywać pierwsze kontakty społeczne w żłobku.
- Szczepienia mają być prowadzone pod nadzorem lekarzy pediatrów, z uwzględnieniem badania lekarskiego i po uzyskaniu zgody rodziców dziecka; lekarze w każdym z indywidualnych przypadków wykluczą ewentualne przeciwwskazania do szczepienia; korzystne byłoby dołączenie do projektu (tego typu projektów w przyszłości) wzoru zgody podpisywanej przez rodziców.
- Szacunkowe koszty programu, w rozbiciu na poszczególne lata jego realizacji będą w 100% pokryte ze środków Gminy Masłów.
- W projekcie nie przedstawiono kosztów jednostkowych zaszczepienia jednego dziecka, choć można wyliczyć, że koszt taki wynosi 60,- zł. Ceny szczepionek przeciwko pneumokokom są jednak 4-5 krotnie wyższe! Jest to zatem podstawowa słabość projektu, gdyż można uznać, że jego budżet jest niedoszacowany. Wymaga to wyjaśnienia.
- Wybór realizatora lub realizatorów programu zostanie przeprowadzony przez Gminę Masłów w drodze otwartego konkursu ofert.
- Projekt programu nie przewiduje przeprowadzenia akcji informacyjnej. Nie wiadomo w jaki sposób ma się odbywać zawiadamianie uprawnionych osób o realizacji programu; jest to istotna wada projektu.
- W projekcie nie przedstawiono sposobu monitorowania programu (ocena zgłaszalności, ocena jakości świadczeń oraz efektywności programu opartej na analizie np. współczynników zapadalności oraz umieralności z powodu chorób

o etiologii meningokokowej oraz długotrwałym monitorowaniu wyszczepialności).

Reasumując przedłożony program uzyskuje pozytywną opinię, a jego niedociągnięcia projektu mogą być usunięte w toku realizacji programu. Najistotniejszym problemem jest zweryfikowanie budżetu projektu.

Problem decyzyjny

Pismo od Kierownika Samorządowego Zespołu Obsługi Oświaty w Masłowie przekazujące projekt programu zdrowotnego „Program zdrowotny na lata 2013-2018, dotyczący szczepień profilaktycznych dzieci zamieszkałych na terenie gminy Masłów przeciwko bakteriom pneumokokowym”, który gmina Masłów ma zamiar realizować w okresie 2013–2018 r. (SZOO:8031-16/06/08/12 z dn. 16.08.2012), nadeszło do Agencji dnia 21.08.2012 r., co wyznacza ustawowy termin wydania opinii na 21.11.2012 r. Przesłane materiały uznano za wystarczające do przeprowadzenia oceny.

Dnia 5.09.2012 r. pismem AOTM-OT-441-265(2)/RR/2012 zwrócono się do Rady Prawnego AOTM z zapytaniem czy w świetle art. 48 ust. 2a ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, Agencja ma obowiązek zaopiniowania projektów programów, jeśli nie przekazała ich jednostka samorządu terytorialnego, a jedynie Samodzielny Zespół Obsługi Oświaty. W odpowiedzi dnia 6.09.2012 r. pismem AOTM-RP-024-61(2)/JP/2012 otrzymano wyjaśnienie, że Samodzielny Zespół Obsługi Oświaty w Masłowie jest jednostką organizacyjną utworzoną przez gminę Masłów. Agencja zobowiązana jest uznać, że projekty programów zdrowotnych przesłane przez Samodzielny Zespół Obsługi Oświaty w Masłowie zostały przekazane przez jednostkę samorządu terytorialnego, jaką jest gmina Masłów, tym samym podlegają zaopiniowaniu przez AOTM.

Samorządowe programy zdrowotne z zakresu profilaktyki zakażeń pneumokokowych były już prezentowane Radzie na posiedzeniach: 9/2010 w dniu 12 kwietnia 2010 r. (opinia Prezesa AOTM nr 7/2010 z 12 kwietnia 2010 roku), 18/2010 w dniu 6 września 2010 r. (opinie Prezesa AOTM nr 38/2010, nr 39/2010 z 6 września 2010 r.), 25/2010 w dniu 29 listopada 2010 r. (opinia Prezesa AOTM nr 60/2010 z 29 listopada 2010 roku), 4/2011 w dniu 28 lutego 2011 r. (opinie Prezesa AOTM nr 13/2011, nr 14/2011, nr 15/2011 z 28 lutego 2011 r.), 12/2011 w dniu 20 czerwca 2011 r. (opinie Prezesa AOTM nr 33/2011, nr 34/2011, 35/2011, 36/2011, 37/2011 z 20 czerwca 2011 r.), 18/2011 w dniu 5 września 2011 r. (opinie Prezesa AOTM nr 82/2011, nr 83/2011, nr 84/2011 z dnia 5 września 2011 r.), 17 października 2011 r. (opinie Prezesa AOTM nr 154/2011, nr 155/2011, nr 156/2011, nr 157/2011), 23 stycznia 2012 r. (opinie Prezesa AOTM nr 2/2012, nr 3/2012, nr 4/2012, nr 5/2012 z 23 stycznia 2012 r.), 26 marca 2012 r. (opinie Prezesa AOTM nr 35/2012, nr 36/2012, nr 37/2012, nr 38/2012, nr 39/2012, nr 40/2012 z 26 marca 2012 r.) oraz 18 czerwca 2012 r. (opinie Prezesa nr 103/2012, nr 104/2012, nr 105/2012, nr 106/2012 z 18 czerwca 2012 r.). Wśród 33 wydanych dotychczas opinii, 6 było negatywnych, wszystkie opinie odnosiły się do programów opartych na szczepieniach przeciwko pneumokokom dzieci w wieku do 5 r.ż.

W wydanych opiniach podkreślano, że „Istnieje wiele wtórnych dowodów naukowych potwierdzających efektywność i bezpieczeństwo szczepionek przeciwko pneumokokom, również u dzieci poniżej 2 roku życia. Szczepienia te są powszechnie akceptowane, zalecane przez ekspertów polskich i zagranicznych, finansowane w wielu krajach europejskich, i charakteryzują się wysokim prawdopodobieństwem osiągnięcia kosztowej efektywności w systemach opieki zdrowotnej państw rozwiniętych. Silna odpowiedź immunologiczna na szczepionkę skoniugowaną nie tylko skutecznie zabezpiecza przed inwazyjną chorobą

pneumokokową, ale ma też wpływ na infekcje śluzówkowe i powoduje redukcję nosicielstwa. Wpływa również na obniżenie zapadalności na daną chorobę w populacji nieszczepionej. Dzieci z grup ryzyka są w Polsce objęte obowiązkowym szczepieniem przeciwko pneumokokom. Równocześnie należy mieć na względzie, że podejmowanie tego typu działań w jednostkach samorządowych wynika z braku zaspokojenia potrzeby szczepienia dzieci przeciwko pneumokokom w skali kraju. Rutynowe szczepienia dzieci do 2 lat 3–4 dawkami szczepionki skoniugowanej PCV (z ew. programem „catch-up” – zabezpieczania dzieci do lat 5 wg oddzielnego schematu) jest zalecane w wielu krajach i wydaje się obecnie standardem postępowania”.

Problem zdrowotny

Infekcje układu oddechowego są trzecią co do częstości przyczyną zgonów dzieci poniżej 5-go roku życia na świecie. Wśród czynników etiopatogenetycznych istotne miejsce zajmują zakażenia pneumokokowe prowadzące do zapaleń dróg oddechowych, ropnego zapalenia ucha środkowego i zatok obocznych nosa, a także do posocznic, zapaleń opon mózgowo-rdzeniowych, zapaleń wsierdza lub masywnego zapalenia otrzewnej u osób po splenektomii. Drogi oddechowe mogą być pierwotną lokalizacją zakażenia pneumokokowego, które następnie rozwija się do choroby inwazyjnej. W części przypadków zakażenie inwazyjne poprzedza zapalenie płuc, gdyż pewna część zapaleń płuc jest pochodzenia krwiopochodnego.

Zapadalność na inwazyjne zakażenia pneumokokowe ma dwa szczyty: u młodszych dzieci i u osób po 75 r.ż. Śmiertelność dzieci z zapaleniem opon mózgowych w wyniku inwazyjnego zakażenia pneumokokowego wynosi 20%, z zapaleniem płuc i bakteriami 7%; następstwem zapaleń opon mózgowych są powikłania neurologiczne u 26% dzieci, u których infekcja nie zakończyła się zgonem. Sytuację dodatkowo komplikuje rozwój antybiotykoopornych szczepów *Streptococcus pneumoniae*.

Według polskich badań epidemiologicznych – zapadalność na inwazyjną postaci infekcji o etiologii pneumokokowej u dzieci do 2 rż wynosi 19/100 000, w grupie 2-5 lat - 5,8/100 000, a powyżej 5 rż – 17,6/100 000; wg danych WHO roczna zapadalność wynosi 11 666 - 14 565 dzieci, z czego tego 28-71 przypadków kończy się zgonem.

W ramach szczepień ochronnych mogą być wykorzystane dwa typy szczepionek przeciwko *Streptococcus pneumoniae*: polisacharydowa, zawierająca 23 serotypy pneumokoków – PPV-23 (pneumococcal polysaccharide vaccine), oraz sprzężona z białkiem siedmiowalentna PCV-7 (pneumococcal conjugate vaccine). Sprzężenie antygenów polisacharydowych z białkiem jest niezbędne w przypadku szczepienia dzieci poniżej 2. roku życia, gdyż nie odpowiadają one syntezą przeciwciał na antygeny węglowodanowe. Warto podkreślić, że serotypy zawarte w PPV-23 odpowiedzialne są za 85–90% pneumokokowych zakażeń inwazyjnych u dzieci i dorosłych rejestrowanych w USA, natomiast serotypy reprezentowane w PCV-7 odpowiadają za 89–93% pneumokokowych zakażeń inwazyjnych u dzieci poniżej 2 roku życia w USA i odpowiednio za 71–86% w Europie (szczepionka została przygotowana na rynek amerykański i jest skierowana przeciwko serotypom najczęstszym w USA).

Szczepienie dzieci przeciwko *Streptococcus pneumoniae* ma szersze znaczenie niż tylko zapobieganie zakażeniom i ich powikłaniom. Przekłada się na indukowanie odporności zbiorowej (*herd immunity*). Szczepienie dzieci zapobiega bowiem rozprzestrzenianiu się zakażeń w instytucjach je gromadzących (np. przedszkolach), a także w rodzinach, ze szczególną podatnością osób starszych. Zapobieganie zachorowaniom ogranicza także konieczność stosowania antybiotyków i zmniejsza ryzyko nabywania przez bakterie antybiotykooporności. Szczepienia mają też oddziaływania krzyżowe na serotypy nie

pokrywane bezpośrednio przez szczepionkę. Stosując rutynowe szczepienia należy obserwować rozwój serotypów niepokrywanych szczepionką i rozwój ich lekooporności.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty i uwagi, Rada Przejrzystości wydaje opinię jak na wstępie.

.....
[Redacted signature]

Tryb wydania stanowiska:

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Program zdrowotny na lata 2013-2018, dotyczący szczepień profilaktycznych dzieci zamieszkałych na terenie gminy Masłów przeciwko bakteriom pneumokokowym” nr:AOTM-OT-441-266/2012, Warszawa, październik 2012 i aneksu „Programy profilaktyki zakażeń pneumokokowych – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów szczegółowych, październik 2012.



Opinia Rady Przejrzystości
Nr 227/2012 z dnia 15 października 2012
o projekcie programu zdrowotnego „Szczepienia ochronne
w wybranych grupach dzieci”
miasta Katowice

Rada Przejrzystości wydaje negatywną opinię o programie „Szczepienia ochronne w wybranych grupach dzieci” miasta Katowice z funduszy samorządowych.

Uzasadnienie

Program został przygotowany wyjątkowo niestarannie, niezgodnie ze schematem programu zdrowotnego zaproponowanego przez AOTM. Zawiera istotne uchybienia, które uniemożliwiają jego realizację – nie przedstawiono budżetu całkowitego ani kosztów jednostkowych, nie odniesiono się do kwestii bezpieczeństwa ani skuteczności planowanych działań, nie określono wieku beneficjentów programu, dzieci z Domu Dziecka ani z Zakładów Opiekuńczych ani zasad kwalifikowania do szczepień. Brak także celów szczegółowych programu, brak oczekiwanych efektów programu i mierników efektywności, brak oceny zgłaszalności do programu, brak oceny jakości świadczeń, brak akcji informacyjnej, nie wiadomo w jakim czasie program ma być realizowany w latach 2014-2020 (pismo przewodnie), czy 2007-2013 (opis projektu). Pomimo iż program jest realizowany od roku 2007, nie przedstawiono wyników z jego realizacji. Rada zwraca uwagę na ogromny dysonans pomiędzy szczytnymi celami programu – szczepienia dzieci z Domu Dziecka i Zakładów Opiekuńczych a przygotowaniem programu, które uniemożliwia jego realizację

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego miasta Katowice z zakresu profilaktyki szczepień przeciwko pneumokokom, meningokokom i wirusom grypy. Projekt programu zakłada szczepienie dzieci mieszkających w Domach Dziecka, w Zakładach Opiekuńczych i zależnie od możliwości finansowych, dzieci w żłobkach, z rodzin zastępczych oraz dzieci w okresie remisji chorób podstawowych leczonych w poradniach onkologicznych, nefrologicznych i gastroenterologicznych poprzez chemioterapię i immunosupresję. W projekcie nie sprecyzowano wieku dzieci z ww. populacji ani nie oszacowano liczebności całkowitej, zatem nie wiadomo jaki procent wszystkich dzieci będą stanowiły te, które zamierza się objąć programem. Za główny cel programu uznano zmniejszenie zapadalności na choroby wywoływane przez meningokoki, pneumokoki i wirus grypy, ograniczenie liczby powikłań, głównie w grupach dzieci szczególnie narażonych, zmniejszenie nosicielstwa w całej populacji dziecięcej. Planowane działania obejmują: przeprowadzenie badań



lekarskich kwalifikujących do szczepień, przeprowadzenie szczepień według schematu proponowanego przez producenta szczepionki.

Zgodnie z informacją podaną w piśmie przewodnim okres realizacji programu przypada na lata 2014–2020, jednak projekt programu dotyczy okresu 2007–2013 r. Jediną szczepionką jaką wymieniono w projekcie jest szczepionka 7-walentna skoniugowana przeciwko pneumokokom. W projekcie nie odniesiono się do pozostałych szczepień. Program ma być finansowany z budżetu Urzędu Miasta Katowice aczkolwiek projekt programu nie zawiera budżetu.

Problem zdrowotny

Projekt programu zdrowotnego odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego – zakażeń pneumokokami, meningokokami oraz wirusem grypy. Realizuje priorytety zdrowotne „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom”, „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu przewlekłych chorób układu oddechowego” i „poprawa jakości i skuteczności opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3”.

Pneumokoki są szeroko rozpowszechnionymi w środowisku patogenami, które mogą być przyczyną zarówno zakażeń dróg oddechowych, jak i zakażeń inwazyjnych, takich jak posocznice, zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych, zapalenia wsierdza i masywne zapalenie otrzewnej u osób po splenektomii.

Wyróżniono przynajmniej 13 grup serologicznych bakterii z gatunku *Neisseria meningitidis*, ale ciężkie zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych powodują meningokoki z 5 grup serologicznych: MenA, B, C, Y oraz W135. *N. meningitidis* występuje u dzieci, młodzieży oraz dorosłych w wieku od 1 roku do 29 lat. Zakażenia mogą występować nie tylko w postaci zachorowań sporadycznych, endemicznych/hiperendemicznych, ale również epidemicznych/pandemicznych. W Polsce w zależności od grupy wiekowej przeważają serogrupy MenB lub MenC. Bakteryjne zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych stanowi poważne zagrożenie dla globalnego zdrowia, szacuje się około 500 tys. przypadków w skali światowej, w tym co najmniej 50 000 zgonów i tyle samo przypadków trwałych uszkodzeń neurologicznych. W większości przypadków do zakażenia dochodzi poprzez kontakt międzypersonalny drogą kropelkową lub poprzez kontakt z wydzielinami układu oddechowego osoby zakażonej. Bliski i przedłużający się kontakt z osobą zakażoną – jak pocałunki, kichanie, kaszlenie na drugą osobę, czy życie w skupiskach i dzielenie się sztućcami i naczyniami – ułatwia rozprzestrzenianie się choroby. Około 50% przypadków choroby meningokokowej to ostre bakteryjne zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych, inne przypadki to zapalenie płuc, zapalenie stawów oraz posocznica meningokokowa.

Programy profilaktyki zakażeń wirusem grypy wchodzi w zakres Narodowego Programu Zdrowia na lata 2007–2015 – cel strategiczny 7: zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym oraz w zakres priorytetów zdrowotnych Ministerstwa Zdrowia. Grypa jest chorobą charakteryzującą się wysoką zakaźnością i jest wywoływana przez wirusy grypy typu A, B lub C z rodziny *Orthomyxoviridae*. Zakażenie następuje drogą kropelkową, a okres inkubacji trwa około 3-7 dni. Kliniczny przebieg choroby zależy m.in. od właściwości wirusa, wieku pacjenta, statusu immunologicznego oraz współistnienia innych chorób. Powikłanie pogrypowe niejednokrotnie uwidaczniają się dopiero po pewnym czasie od przebytej infekcji i mogą być związane m.in. z nieprawidłowościami w funkcjonowaniu układu oddechowego, zaburzeniami neurologicznymi, niewydolnością nerek lub zapaleniem mięśnia sercowego i osierdza. Za najskuteczniejszy rodzaj profilaktyki uważa się szczepienia.

Alternatywne świadczenia

W „Programie szczepień ochronnych na 2012 rok”, zgodnie z załącznikiem do Komunikatu Głównego Inspektora Sanitarnego z dnia 26 października 2011 roku, ujęto szczepienia przeciw zakażeniom pneumokokami jako szczepienia obowiązkowe w grupach wysokiego ryzyka oraz w populacji ogólnej – zalecane, jednak niefinansowane ze środków publicznych. Zatem projektowane programy powinny obejmować tylko populacje, u których szczepienia przeciwko pneumokokom nie są finansowane ze środków publicznych. Do osób narażonych w sposób szczególny na zakażenie należą dzieci od 2 m.ż. do 5 r.ż. m.in z wadą OUN, zakażone HIV, po przeszczepieniu szpiku, chorujące na przewlekłe choroby serca, białaczkę, przewlekłą niewydolność nerek, choroby metaboliczne, przewlekłe choroby płuc, po

leczeniu immunosupresyjnym oraz urodzone przed ukończeniem 37 t.c. lub z masą urodzeniową poniżej 2 500 g. Do grup ryzyka zachorowania należą dzieci uczęszczające do żłobka, przedszkola, z chorobami przewlekłymi, z zaburzeniami odporności – w ich przypadku szczepienia są zalecane, niefinansowane.

Szczepienia przeciw zakażeniom meningokokami w populacji ogólnej ujęto w II kategorii tj. zalecane, niefinansowane ze środków znajdujących się w budżecie ministra właściwego do spraw zdrowia: szczepionka nieskoniugowana/polisacharydowa dzieciom powyżej 2 lat i dorosłym – dawkowanie według wskazań producenta, szczepionka skoniugowana od 2 miesiąca życia – dawkowanie według wskazań producenta.

Szczepienia przeciw grypie znajdują się w grupie szczepień zalecanych, ale niefinansowanych ze środków znajdujących się w budżecie Ministra Zdrowia i w budżecie NFZ.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

Wnioski z oceny problemu zdrowotnego

- **Szczepienia przeciwko pneumokokom**

Samorządowe programy szczepień przeciw pneumokokowym u dzieci dotyczą dokładnie określonego problemu zdrowotnego, którego rozległość można oszacować i któremu można zapobiegać. Realizują priorytety zdrowotne „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom” oraz „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu przewlekłych chorób układu oddechowego”. Niektóre programy szczepień dzieci, z uwagi na obejmowaną populację, realizują priorytet zdrowotny „poprawa jakości i skuteczności opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3”.

Dzieci w wieku 0–5 lat stanowią populację szczególnie narażoną na zakażenie pneumokokowe (drugą taką populacją są osoby starsze, czego nie dotyczy niniejsza analiza), które może przekształcić się w inwazyjne choroby pneumokokowe (IPD; zapadalność w populacji 0–2 r.ż. 19/100 000, 0–5 r.ż. – 17,6/100 000), stanowiące zagrożenie dla życia, a także niosące ryzyko powikłań odległych (np. pneumokokowe zapalenie opon mózgowych ma neurologiczne następstwa u 26% przeżywających dzieci). Zagrożone są zwłaszcza dzieci przebywające w zbiorowiskach: w populacji polskiej nosicielami *S. pneumoniae* jest 62% dzieci chodzących do żłobka i tylko 22% dzieci przebywających w domu.

W Polsce szczepienia przeciw pneumokokowe finansowane są ze środków publicznych jedynie w grupach wysokiego ryzyka dzieci do lat 5; w pozostałych grupach wiekowych dzieci i dorosłych są zalecane, ale niefinansowane.

Odnalezione dowody naukowe dotyczące efektywności klinicznej i kosztowej szczepień szczepionkami polisacharydowymi (PPV; w Polsce 23-walentne; przeznaczone dla osób >2 r.ż.) są nieliczne i słabej jakości, istnieje natomiast wiele wtórnych dowodów naukowych potwierdzających efektywność i bezpieczeństwo szczepionek skoniugowanych (PCV; w Polsce 7-, 11- i 13-walentna; przeznaczone dla dzieci do 5 r.ż.).

Efektywność PCV w zapobieganiu IPD wywołanym przez serotypy zawarte w szczepionce oszacowano na 80% (95%CI 58–90%, $p < 0,0001$), w zapobieganiu IPD wywołanym przez wszystkie serotypy – 58% (95%CI 29–75%, $p = 0,001$). Efektywność PCV w zapobieganiu pneumokokowym zapaleniom płuc jest znacznie niższa i w stosunku do klinicznie rozpoznanych zapaleniom płuc wynosi 6% (95% CI 2–9%, $p = 0,0006$). Zapobieganie umieralności ze wszystkich przyczyn oszacowano na 11% (95% CI -1% do 21%, $p = 0,08$) – brak istotności statystycznej.

PCV jest szczepionką ogólnie bezpieczną, choć kwestia bezpieczeństwa u osób z reaktywnymi chorobami układu oddechowego wymaga dalszych badań.

Mimo dużej różnorodności założeń odnalezionych analiz ekonomicznych, można przyjąć, że – przy założeniu, że korzystne efekty szczepienia, na które składa się indukowanie odporności zbiorowej, wypieranie serotypów zawartych w szczepionce przez pozostałe, narastanie antybiotykooporności i indukowanie odporności krzyżowej, utrzymają się na dłuższą metę oraz że 3 (2+1) dawki PCV zapewniają podobną odporność szczepionych co 4 (3+1) dawki – programy rutynowych szczepień PCV7 w krajach rozwiniętych można uznać za kosztowo-efektywne.

W związku z tym 24 (75%) z 32 krajów europejskich wprowadziło szczepienia przeciwko pneumokokom do kalendarzy szczepień u dzieci, w populacji ogólnej lub w grupach wysokiego ryzyka (te ostatnie w 7 krajach). W 12 krajach zalecane jest podanie 3+1 dawek szczepionki, w 11 – 2+1

(szczepienie podstawowe + dawka przypominająca). Szczepienia finansowane są w pełni ze środków publicznych albo współfinansowane. W większości krajów europejskich stosowana jest szczepionka 7-walentna, jedynie w Zjednoczonym Królestwie – 13-walentna. Poza Europą narodowe programy szczepień w USA, Kanadzie, Australii i Nowej Zelandii uwzględniają podawanie dzieciom szczepionki przeciw pneumokokowej (w USA od 2010 roku rekomendowana jest szczepionka 13-walentna). Uwaga: w cytowanych danych, pochodzących z europejskiej sieci epidemiologicznej EUVAC.NET, Polskę wskazano jako kraj, w którym szczepienia PCV nie są finansowane, co od 2009 r. nie jest już prawdą.

Pediatryczny Zespół Ekspertów ds. Programu Szczepień Ochronnych w 2010 r. wskazuje na konieczność pilnego wprowadzenia powszechnych szczepień przeciwko pneumokokom dla wszystkich dzieci do 2 r.ż.

Szczepienie przeciw pneumokokom powinno się rozpoczynać w pierwszym kwartale życia, aby już w drugim półroczu życia uzyskać ochronne miana przeciwciał. Odwlekanie szczepienia (najczęściej ze względów finansowych) do momentu, gdy można podać np. jedną dawkę (> 2 r.ż.) jest postępowaniem niewłaściwym, gdyż największa zachorowalność na IChP występuje właśnie w pierwszych dwóch latach życia.

- **Szczepienia przeciwko meningokokom**

Samorządowe programy szczepień przeciwko meningokokom grupy C dotyczą dobrze zdefiniowanego, określonego problemu zdrowotnego. Realizują priorytet zdrowotny „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom”. Działania przewidziane w ramach realizacji Programów wpisują się w Priorytety Narodowego Programu Zdrowia na lata 2007–2015.

Jak wynika z danych epidemiologicznych liczba zachorowań na inwazyjną chorobę meningokokową spada z każdym rokiem, jest to spowodowane m. in. coraz większą powszechnością szczepień. Obecnie ponad połowa zachorowań na Inwazyjną Chorobę Meningokokową w Polsce wywołana jest przez meningokoki grupy C, w 2010 r. zdiagnozowano 222 osoby, zapadalność na IChM (inwazyjna choroba meningokokowa) wynosiła 0,58/100 tys. ludności.

Jak wynika z odnalezionych wytycznych i opinii eksperckich najskuteczniejszą metodą profilaktyki zakażeń meningokokami grupy C są szczepienia profilaktyczne. Obecnie zaleca się stosowanie szczepionki polisacharydowej koniugowanej przeciwko meningokokom grupy C. Szczepienia rutynowe osób z grup ryzyka nie tylko indukuje odporność osobniczą, ale także populacyjną co pozwala uniknąć rozprzestrzeniania się zakażenia.

Zalecenia wynikające z odnalezionych wytycznych:

- Podstawową i najskuteczniejszą formą profilaktyki zakażeń bakteriami *N. meningitidis* różnych grup serologicznych są szczepienia.
- Szczepienia zalecane są w każdym wieku, jednak największy nacisk należy położyć na immunizację osób z grup wysokiego ryzyka:
 - dzieci i młodzieży w wieku 11 – 19 lat,
 - nowoprzyjętych studentów mieszkających w akademikach,
 - personel laboratoryjny mający kontakt z *N. meningitidis*,
 - rekruci wojenni,
 - osoby podróżujące do regionów, w których rozpowszechnione jest zakażenie meningokokami,
 - osoby z uszkodzoną lub usuniętą śledzioną,
 - osoby z obniżoną odpornością,
 - osoby, które mogły być narażone na kontakt z bakteriami w ogniskach epidemicznych.
- Szczepienia są także zalecane w interwencyjnym zapobieganiu rozprzestrzeniania się lokalnych ognisk epidemicznych.
- Włączając programy szczepień w danym kraju należy brać pod uwagę sytuację epidemiologiczną, narodowe priorytety zdrowotne oraz sytuację ekonomiczną kraju.
- W Polsce zalecane jest stosowanie szczepionki MCC od 2. miesiąca życia, dzieciom powyżej 2 lat i dorosłym zaleca się stosowanie szczepionki polisacharydowej.
- Stosowanie szczepionki czterowalentnej MCV4 zaleca się:

- osobom, które podróżują do krajów, w których częste jest występowanie meningokoków grup A, Y oraz W135,
- osobom, które miały bliski kontakt z przypadkami zakażenia meningokokami grup A, Y oraz W135 powyżej 2 roku życia,
- do kontroli rozprzestrzeniania się ognisk epidemiologicznych zakażeń meningokokami grup A, Y oraz W135,
- W USA szczepionka MCV4 jest zalecana do podania w jednej dawce u w wieku 11–18 lat.

Odnaleziono pierwotne i wtórne dowody naukowe dotyczące efektywności kosztowej szczepień profilaktycznych przeciwko zakażeniom bakteriami *N. meningitidis* grupy C. Wynika z nich, że szczepienia są efektywne kosztowo, szczególnie w populacjach o dużym rozpowszechnieniu zakażeń. Bezpieczeństwo stosowania szczepionek MCC zostało potwierdzone w odnalezionych badaniach oraz w opinii eksperckiej.

Szczepionki polisacharydowe koniugowane przeciwko bakteriom *N. meningitidis* grupy C są skuteczne w indukowaniu zarówno odporności osobniczej, jak i populacyjnej. Są też bezpieczne w stosowaniu w każdej grupie wiekowej. Pozwalają ograniczyć rozwój choroby, związanych z nią powikłań i uniknięcia śmierci. Prowadzą także do ograniczenia rozprzestrzeniania się zakażeń i oszczędności związanych z mniejszymi nakładami na leczenie osób zakażonych.

Na podstawie odnalezionych dowodów naukowych należy rekomendować przeprowadzanie samorządowych programów szczepień profilaktycznych przeciwko bakteriom *N. meningitidis* grupy C. Tym bardziej, że są one zalecane w kalendarzu szczepień w grupie niefinansowanej ze środków Ministra Zdrowia. Wdrożenie samorządowego programu szczepień przeciwko meningokokom grupy C powinno być poprzedzone oceną lokalnej sytuacji epidemiologicznej i potwierdzeniem potrzeby przeprowadzenia programu.

- **Szczepienia przeciwko grypie**

Wśród chorób zakaźnych grypa jest schorzeniem związanym z największą liczbą zachorowań. Zachorowalność największa jest wśród osób młodych natomiast zgonów z powodu grypy występują głównie w populacji osób >60 r. ż. (ponad 80% zgonów z powodu grypy w niektórych sezonach). Zmniejszenie zapadalności na choroby zakaźne, którym można zapobiegać przez szczepienia należy do priorytetów Narodowego Programu Zdrowia na lata 2007-2015 oraz jest zgodne z dwoma priorytetami zdrowotnymi.

Aktualny stan rekomendacji praktyki klinicznej w odniesieniu do rozpatrywanych populacji przedstawia się następująco:

W wytycznych AAP szczegółowo wymieniono schorzenia stanowiące wskazania do szczepienia przeciwko grypie przewlekłe chorych dzieci ≥ 6 mies. życia [3].

Dzieci między 6 a 24 miesiącem życia Zidentyfikowane zalecenia nie są zgodne w odniesieniu do rutynowych szczepień dzieci zdrowych. WHO zaleca szczepienie przeciwko grypie sezonowej dzieci w wieku 6-23 miesięcy, w zależności od warunków lokalnych (sytuacji epidemiologicznej i możliwości danego kraju), jednocześnie jednak określa skuteczność szczepień w grupie <2 r. ż. jako niską. ECDPC nie zalicza dzieci do dwóch najważniejszych grup ryzyka powikłań grypy, natomiast stwierdza, że istnieją pewne dane uzasadniające szczepienia dzieci (najczęściej wyodrębniane grupy wiekowe to <2 lub <5 lat), niemniej jednak dane europejskie dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa szczepień dzieci są ograniczone; ponadto poszczególne kraje europejskie nie są zgodne w zaleceniach w odniesieniu do prowadzenia szczepień w tej populacji. Powszechne szczepienia zdrowych dzieci nie są zalecane m.in. we Francji i Belgii. Z kolei wytyczne amerykańskie, w tym *American Academy of Pediatrics* (AAP), zgodnie rekomendują rutynowe coroczne szczepienia przeciwko grypie wszystkich dzieci w wieku od 6 mies. do 18 r. ż., a kanadyjska agencja zdrowia publicznego – szczepienie zdrowych dzieci w wieku 6 – 23 mies. życia.

Wytyczne polskie są bliskie zaleceniom amerykańskim. Polski Program Szczepień Ochronnych uwzględnia wśród szczepień zalecanych zaszczepienie przeciwko grypie dzieci zdrowych w wieku od 6 miesiąca do 18 roku życia, ze wskazań epidemiologicznych. Z kolei Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce rekomenduje szczepienie dzieci od 6 do 23 miesiąca życia ze wskazań medycznych (oraz dzieci starszych – uczęszczających do szkół, przedszkoli – ze względów epidemiologicznych).

Opinie ekspertów: Żaden z ekspertów nie odniósł się w sposób bezpośredni do zasadności szczepień w grupie dzieci w wieku od 6 do 24 m.ż.; nie otrzymano opinii eksperta klinicznego w dziedzinie pediatrii.

Skuteczność szczepień oraz koszty zależne są od takich czynników jak: dopasowanie antygenowe szczepionki do krążącego wirusa, inwazyjność wirusa, stan epidemiologiczny oraz stopień wyszczepialności. Rzeczywista skuteczności szczepień, przede wszystkim w zapobieganiu hospitalizacjom i zgonom, pozostaje niepewna.

Często występujące działania niepożądane to bóle głowy, potliwość, ból mięśni/stawów, gorączka, złe samopoczucie, dreszcze, uczucie zmęczenia, reakcje w miejscu podania (obrzęk, ból, wybroczyny, stwardnienie). W wytycznych praktyki klinicznej szczepienia szczepionkami inaktywowanymi określa się jako bezpieczne.

Aspekty organizacyjne Efektywne programy szczepień przeciwko grypie powinny uwzględniać m.in. precyzyjny plan identyfikacji i wzywania osób kwalifikujących się do udziału w programie oraz elementy informacyjne (m.in. powinno się informować o niezakaźności wirusów zawartych w szczepionce inaktywowanej oraz o możliwości wystąpienia niepożądanych objawów ze strony układu oddechowego nie mających związku ze szczepieniem).

Wnioski z oceny programu miasta Katowice

Projekt programu nie został przygotowany zgodnie ze schematem programu zdrowotnego AOTM, nie zawiera on większości jego elementów. Nie uwzględniono w nim przede wszystkim: sytuacji epidemiologicznej panującej na terenie jst (jednostki samorządu terytorialnego) realizacji programu, liczebności ani dokładnych kryteriów wiekowych populacji docelowej programu, cele nie zostały rozgraniczone na główne oraz szczegółowe, brak oczekiwanych efektów, mierników efektywności odpowiadającym celom, trybu zapraszania do programu, dokładnego opisu części składowych programu, dokładnego opisu planowanych interwencji, nie odniesiono się do kwestii bezpieczeństwa ani skuteczności planowanych działań, nie przedstawiono budżetu całkowitego ani kosztów jednostkowych, sposobu monitorowania w zakresie oceny zgłaszalności ani jakości świadczeń, okres realizacji programu podany w piśmie przewodnim jest inny (2014–2020 r.) niż okres w projekcie programu (projekt dotyczy programu na lata 2007–2013). Mimo, iż przedmiotowy program jest prowadzony od 2007 r. nie przedstawiono wyników z jego realizacji.

W projekcie nie sprecyzowano wieku dzieci z Domów Dziecka i Zakładów Opiekuńczych, które mają być szczepione.

W zakresie planowanych interwencji tj. szczepionek, projekt został przygotowany w sposób bardzo niestaranny. Autorzy podają informację, że zamierzają szczepić przeciwko meningokokom i grypie, nie odnosząc się w najmniejszym zakresie do jakichkolwiek szczepionek oraz nie precyzując wieku dzieci, które zamierzają się szczepić. Schemat szczepień zależny jest od wyjściowego wieku dziecka. W przypadku podania szczepionki zarówno przeciwko meningokokom jak i wirusowi grypy, u pacjentów z obniżoną odpornością spowodowaną m.in. leczeniem immunosupresyjnym, może nie wystąpić spodziewana odpowiedź immunologiczna.

W ramach programu przeciwko pneumokokom, dzieciom do 5 r.ż. zamierza się podać szczepionkę skoniugowaną 7-walentną, a starszym – polisacharydową. Autorzy projektu nie uzasadnili wyboru szczepionki. W projekcie nie przedstawiono schematu dawkowania, który jest zależny od wyjściowego wieku dziecka. W przypadku dzieci z grup ryzyka (opisanych w PSO), szczepienie przeciwko pneumokokom jest obowiązkowe finansowe ze środków publicznych. Decyzję o szczepieniu dzieci z grup wysokiego ryzyka szczepionkami skoniugowanymi przeciwko pneumokokom należy podejmować indywidualnie.

Program ma być finansowany z budżetu Urzędu Miasta Katowice, jednak nie przedstawiono żadnego budżetu programu, zatem nie wiadomo czy programem zostaną objęte dodatkowo dzieci uczęszczające do żłobków, z rodzin zastępczych, w okresie remisji leczone w poradniach onkologicznych, nefrologicznych i gastroenterologicznych.

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

- I. Program odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, opierającego się na profilaktyce zakażeń pneumokokami, meningokokami oraz wirusem grypy.
- II. Dostępność działań programu dla beneficjentów – w projekcie nie opisano sposobu informowania o programie. Nie sprecyzowano wieku dzieci, które mają być objęte szczepieniami.
- III. Skuteczność działań – jak wynika z odnalezionych wytycznych proponowane interwencje polegające na szczepieniu przeciwko pneumokokom, meningokokom oraz wirusowi grypy są najlepszą metodą zapobiegania zachorowaniom wywoływanym przez te patogeny.
- IV. W projekcie nie przedstawiono budżetu
- V. W projekcie przedstawiono sposób monitorowania tylko w zakresie jego efektywności.

.....
[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 „Szczepienia ochronne w wybranych grupach dzieci” nr: AOTM-OT-441-161/2012, Warszawa, październik 2012 i aneksów „Programy profilaktyki zakażeń pneumokokowych”, „Programy profilaktyki zakażeń meningokokowych”, „Programy profilaktycznych szczepień przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka”, Aneksy do raportów szczegółowych, Warszawa, październik 2012.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 228/2012 z dnia 15 października 2012
o projekcie programu „Becikowe po Grębocicku”
gminy Grębocice

Rada Przejrzystości wyraża pozytywną opinię o programie „Becikowe po Grębocicku” z funduszy samorządowych.

Uzasadnienie

Program dotyczy dokładnie określonego i istotnego społecznie problemu zdrowotnego, został on przygotowany zgodnie ze schematem programu zdrowotnego AOTM, jest kontynuacją Programu z roku 2011 i 2012-2013, otrzymał dwukrotnie pozytywną opinię Prezesa AOTM. Zawiera tak istotne elementy jak szczegółowy budżet, zaplanowano zaszczepienie wszystkich dzieci z gminy Grębocice, dobrze przygotowaną akcją informacyjną, zgodę rodziców i kwalifikację do szczepień. Natomiast Rada zwraca także uwagę na uchybienia, które wymagają korekty – przyjęty w Programie schemat szczepień przeciwko pneumokokom nie jest zgodny z przyjętym schematem, rozbieżności co do ilości dawek poszczególnych szczepionek, inne w założeniach programu, inne w przeznaczonych do tego celu środkach budżetowych, niepełny sposób monitorowania programu, mierniki efektywności programu nie zostały wybrane w sposób odpowiadający celom programu.

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego gminy Grębocice z zakresu profilaktyki szczepień przeciwko pneumokokom, meningokokom oraz rotawirusom. Projekt programu zakłada szczepienie dzieci w wieku od 6 t.ż. do 2 r.ż. Szczepieniami mają być objęte wszystkie dzieci zameldowane na terenie gminy Grębocice urodzone w 2013 r. W ramach programu zakłada się także dokończenie cyklu szczepień dzieci urodzonych w 2012 r. (kontynuacja programu z 2012 r.). Za główny cel programu uznano poprawę stanu zdrowia dzieci w przedziale wiekowym 0–2 r.ż. poprzez przeprowadzenie skutecznych szczepień. Jako cele szczegółowe wskazano: objęcie programem możliwie wysokiej liczby dzieci, uzyskanie możliwie najwyższej frekwencji, zmniejszenie zapadalności i umieralności na inwazyjne choroby wśród dzieci, zmniejszenie zapadalności na nieinwazyjne choroby wśród dzieci, zmniejszenie chorobowości populacji ogólnej dzięki podniesieniu odporności populacyjnej, zmniejszenie ilości stosowanych antybiotyków, zwiększenie świadomości rodziców. Planowane działania obejmują: dotarcie z informacją o programie do rodziców dzieci spełniających kryteria włączenia, edukacja rodziców o zaletach szczepień (rozmowy, broszury); rekrutacja dzieci, badanie dzieci, szczepienia wg przyjętego schematu, zgodnego ze wskazaniami producenta szczepionki oraz monitorowanie programu.

Program ma być realizowany w 2013 r. Szczepionki, jakie mają być zastosowane w programie, to: przeciwko pneumokokom – szczepionka skoniugowana Prevenar 13, przeciwko meningokokom – szczepionka skoniugowana Meningitec, przeciwko zakażeniom rotawirusowym – Rotarix. W projekcie



przedstawiono budżet całkowity oraz koszty szczegółowe. Program ma być finansowany z budżetu gminy Grębocice.

Problem zdrowotny

Projekt programu zdrowotnego odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego - zakażeń pneumokokami, meningokokami, rotawirusami. Realizuje priorytety zdrowotne „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom”, „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu przewlekłych chorób układu oddechowego” oraz „poprawa jakości i skuteczności opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3”.

Pneumokoki są szeroko rozpowszechnionymi w środowisku patogenami, które mogą być przyczyną zarówno zakażeń dróg oddechowych, jak i zakażeń inwazyjnych, takich jak posocznice, zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych, zapalenia wsierdza i masywne zapalenie otrzewnej u osób po splenektomii.

Wyróżniono przynajmniej 13 grup serologicznych bakterii z gatunku *Neisseria meningitidis*, ale ciężkie zapalenia opon mózgowo-rdzeniowych powodują meningokoki z 5 grup serologicznych: MenA, B, C, Y oraz W135. *N. meningitidis* występuje u dzieci, młodzieży oraz dorosłych w wieku od 1 roku do 29 lat. Zakażenia mogą występować nie tylko w postaci zachorowań sporadycznych, endemicznych/hiperendemicznych, ale również epidemicznych/pandemicznych. W Polsce w zależności od grupy wiekowej przeważają serogrupy MenB lub MenC. Bakteryjne zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych stanowi poważne zagrożenie dla globalnego zdrowia, szacuje się około 500 tys. przypadków w skali światowej, w tym co najmniej 50 000 zgonów i tyle samo przypadków trwałych uszkodzeń neurologicznych. W większości przypadków do zakażenia dochodzi poprzez kontakt międzysobiczny drogą kropelkową lub poprzez kontakt z wydzielinami układu oddechowego osoby zakażonej. Bliski i przedłużający się kontakt z osobą zakażoną – jak pocałunki, kichanie, kaszlenie na drugą osobę, czy życie w skupiskach i dzielenie się sztućcami i naczyniami – ułatwia rozprzestrzenianie się choroby. Około 50% przypadków choroby meningokokowej to ostre bakteryjne zapalenie opon mózgowo-rdzeniowych, inne przypadki to zapalenie płuc, zapalenie stawów oraz posocznica meningokokowa.

Jednym z najczęstszych czynników etiologicznych biegunek u dzieci są rotawirusy należące do rodziny *Reoviridae*. Biegunki rotawirusowe stanowią u dzieci częstą przyczynę przyjęć do szpitala oraz występują w oddziałach dziecięcych jako zakażenia szpitalne. Zakażenia rotawirusowe dotyczą głównie dzieci w wieku 9–23 m.ż., u wielu z nich zdarzają się powtórne zachorowania. Źródło zakażenia stanowią chorzy. Choroba przenoszona jest głównie drogą pokarmową. Charakterystycznym objawem zakażeń rotawirusowych jest ostra, wodnista biegunka, u 90% pacjentów poprzedzona intensywnymi wymiotami oraz gorączką.

Alternatywne świadczenia

W „Programie szczepień ochronnych na 2012 rok”, zgodnie z załącznikiem do Komunikatu Głównego Inspektora Sanitarnego z dnia 26 października 2011 roku, ujęto szczepienia przeciw zakażeniom pneumokokami jako szczepienia obowiązkowe w grupach wysokiego ryzyka oraz w populacji ogólnej – zalecane, jednak niefinansowane ze środków publicznych. Zatem projektowane programy powinny obejmować tylko populacje, u których szczepienia przeciwko pneumokokom nie są finansowane ze środków publicznych. Do osób narażonych w sposób szczególny na zakażenie należą dzieci od 2 m.ż. do 5 r.ż. m.in z wadą OUN, zakażone HIV, po przeszczepieniu szpiku, chorujące na przewlekłe choroby serca, białaczkę, przewlekłą niewydolność nerek, choroby metaboliczne, przewlekłe choroby płuc, po leczeniu immunosupresyjnym oraz urodzone przed ukończeniem 37 t.c. lub z masą urodzeniową poniżej 2 500 g. Do grup ryzyka zachorowania należą dzieci uczęszczające do żłobka, przedszkola, z chorobami przewlekłymi, z zaburzeniami odporności – w ich przypadku szczepienia są zalecane, niefinansowane.

Szczepienia przeciw zakażeniom meningokokami w populacji ogólnej ujęto w II kategorii tj. zalecane, niefinansowane ze środków znajdujących się w budżecie ministra właściwego do spraw zdrowia: szczepionka nieskoniugowana/polisacharydowa dzieciom powyżej 2 lat i dorosłym – dawkowanie według wskazań producenta, szczepionka skoniugowana od 2 miesiąca życia – dawkowanie według wskazań producenta.

Szczepienia przeciwko biegunce rotawirusowej ujęto jako szczepienia zalecane, niefinansowane ze środków publicznych: dzieciom od 6 tygodnia życia do 24 tygodnia życia.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

Wnioski z oceny problemu zdrowotnego

- **Szczepienia przeciwko pneumokokom**

Samorządowe programy szczepień przeciw pneumokokowym u dzieci dotyczą dokładnie określonego problemu zdrowotnego, którego rozległość można oszacować i któremu można zapobiegać. Realizują priorytety zdrowotne „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom” oraz „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu przewlekłych chorób układu oddechowego”. Niektóre programy szczepień dzieci, z uwagi na obejmowaną populację, realizują priorytet zdrowotny „poprawa jakości i skuteczności opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3”.

Dzieci w wieku 0–5 lat stanowią populację szczególnie narażoną na zakażenie pneumokokowe (drugą taką populacją są osoby starsze, czego nie dotyczy niniejsza analiza), które może przekształcić się w inwazyjne choroby pneumokokowe (IPD; zapadalność w populacji 0–2 r.ż. 19/100 000, 0–5 r.ż. – 17,6/100 000), stanowiące zagrożenie dla życia, a także niosące ryzyko powikłań odległych (np. pneumokokowe zapalenie opon mózgowych ma neurologiczne następstwa u 26% przeżywających dzieci). Zagrożone są zwłaszcza dzieci przebywające w zbiorowiskach: w populacji polskiej nosicielami *S. pneumoniae* jest 62% dzieci chodzących do żłobka i tylko 22% dzieci przebywających w domu.

W Polsce szczepienia przeciw pneumokokowe finansowane są ze środków publicznych jedynie w grupach wysokiego ryzyka dzieci do lat 5; w pozostałych grupach wiekowych dzieci i dorosłych są zalecane, ale niefinansowane.

Odnalezione dowody naukowe dotyczące efektywności klinicznej i kosztowej szczepień szczepionkami polisacharydowymi (PPV; w Polsce 23-walentne; przeznaczone dla osób >2 r.ż.) są nieliczne i słabej jakości, istnieje natomiast wiele wtórnych dowodów naukowych potwierdzających efektywność i bezpieczeństwo szczepionek skoniugowanych (PCV; w Polsce 7-, 11- i 13-walentna; przeznaczone dla dzieci do 5 r.ż.).

Efektywność PCV w zapobieganiu IPD wywołanym przez serotypy zawarte w szczepionce oszacowano na 80% (95%CI 58–90%, $p < 0,0001$), w zapobieganiu IPD wywołanym przez wszystkie serotypy – 58% (95%CI 29–75%, $p = 0,001$). Efektywność PCV w zapobieganiu pneumokokowym zapaleniom płuc jest znacznie niższa i w stosunku do klinicznie rozpoznanych zapaleń płuc wynosi 6% (95% CI 2–9%, $p = 0,0006$). Zapobieganie umieralności ze wszystkich przyczyn oszacowano na 11% (95% CI -1% do 21%, $p = 0,08$) – brak istotności statystycznej.

PCV jest szczepionką ogólnie bezpieczną, choć kwestia bezpieczeństwa u osób z reaktywnymi chorobami układu oddechowego wymaga dalszych badań.

Mimo dużej różnorodności założeń odnalezionych analiz ekonomicznych, można przyjąć, że – przy założeniu, że korzystne efekty szczepienia, na które składa się indukowanie odporności zbiorowej, wypieranie serotypów zawartych w szczepionce przez pozostałe, narastanie antybiotykooporności i indukowanie odporności krzyżowej, utrzymają się na dłuższą metę oraz że 3 (2+1) dawki PCV zapewniają podobną odporność szczepionych co 4 (3+1) dawki – programy rutynowych szczepień PCV7 w krajach rozwiniętych można uznać za kosztowo-efektywne.

W związku z tym 24 (75%) z 32 krajów europejskich wprowadziło szczepienia przeciwko pneumokokom do kalendarzy szczepień u dzieci, w populacji ogólnej lub w grupach wysokiego ryzyka (te ostatnie w 7 krajach). W 12 krajach zalecane jest podanie 3+1 dawek szczepionki, w 11 – 2+1 (szczepienie podstawowe + dawka przypominająca). Szczepienia finansowane są w pełni ze środków publicznych albo współfinansowane. W większości krajów europejskich stosowana jest szczepionka 7-walentna, jedynie w Zjednoczonym Królestwie – 13-walentna. Poza Europą narodowe programy szczepień w USA, Kanadzie, Australii i Nowej Zelandii uwzględniają podawanie dzieciom szczepionki przeciw pneumokokowej (w USA od 2010 roku rekomendowana jest szczepionka 13-walentna). Uwaga: w cytowanych danych, pochodzących z europejskiej sieci epidemiologicznej EUVAC.NET, Polskę wskazano jako kraj, w którym szczepienia PCV nie są finansowane, co od 2009 r. nie jest już prawdą.

Pediatryczny Zespół Ekspertów ds. Programu Szczepień Ochronnych w 2010 r. wskazuje na konieczność pilnego wprowadzenia powszechnych szczepień przeciwko pneumokokom dla wszystkich dzieci do 2 r.ż.

Szczepienie przeciw pneumokokom powinno się rozpoczynać w pierwszym kwartale życia, aby już w drugim półroczu życia uzyskać ochronne miana przeciwciał. Odwlekanie szczepienia (najczęściej ze względów finansowych) do momentu, gdy można podać np. jedną dawkę (> 2 r.ż.) jest postępowaniem niewłaściwym, gdyż największa zachorowalność na IChP występuje właśnie w pierwszych dwóch latach życia.

- **Szczepienia przeciwko meningokokom**

Samorządowe programy szczepień przeciwko meningokokom grupy C dotyczą dobrze zdefiniowanego, określonego problemu zdrowotnego. Realizują priorytet zdrowotny „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom”. Działania przewidziane w ramach realizacji Programów wpisują się w Priorytety Narodowego Programu Zdrowia na lata 2007–2015.

Jak wynika z danych epidemiologicznych liczba zachorowań na inwazyjną chorobę meningokokową spada z każdym rokiem, jest to spowodowane m. in. coraz większą powszechnością szczepień. Obecnie ponad połowa zachorowań na Inwazyjną Chorobę Meningokokową w Polsce wywołana jest przez meningokoki grupy C, w 2010 r. zdiagnozowano 222 osoby, zapadalność na IChM (inwazyjna choroba meningokokowa) wynosiła 0,58/100 tys. ludności.

Jak wynika z odnalezionych wytycznych i opinii eksperckich najskuteczniejszą metodą profilaktyki zakażeń meningokokami grupy C są szczepienia profilaktyczne. Obecnie zaleca się stosowanie szczepionki polisacharydowej koniugowanej przeciwko meningokokom grupy C. Szczepienia rutynowe osób z grup ryzyka nie tylko indukuje odporność osobniczą, ale także populacyjną co pozwala uniknąć rozprzestrzeniania się zakażenia.

Zalecenia wynikające z odnalezionych wytycznych:

- Podstawową i najskuteczniejszą formą profilaktyki zakażeń bakteriami *N. meningitidis* różnych grup serologicznych są szczepienia.
- Szczepienia zalecane są w każdym wieku, jednak największy nacisk należy położyć na immunizację osób z grup wysokiego ryzyka:
 - dzieci i młodzieży w wieku 11 – 19 lat,
 - nowoprzyjętych studentów mieszkających w akademikach,
 - personel laboratoryjny mający kontakt z *N. meningitidis*,
 - rekruci wojenni,
 - osoby podróżujące do regionów, w których rozpowszechnione jest zakażenie meningokokami,
 - osoby z uszkodzoną lub usuniętą śledzioną,
 - osoby z obniżoną odpornością,
 - osoby, które mogły być narażone na kontakt z bakteriami w ogniskach epidemicznych.
- Szczepienia są także zalecane w interwencyjnym zapobieganiu rozprzestrzeniania się lokalnych ognisk epidemicznych.
- Włączając programy szczepień w danym kraju należy brać pod uwagę sytuację epidemiologiczną, narodowe priorytety zdrowotne oraz sytuację ekonomiczną kraju.
- W Polsce zalecane jest stosowanie szczepionki MCC od 2. miesiąca życia, dzieciom powyżej 2 lat i dorosłym zaleca się stosowanie szczepionki polisacharydowej.
- Stosowanie szczepionki czterowalentnej MCV4 zaleca się:
 - osobom, które podróżują do krajów, w których częste jest występowanie meningokoków grup A, Y oraz W135,
 - osobom, które miały bliski kontakt z przypadkami zakażenia meningokokami grup A, Y oraz W135 powyżej 2 roku życia,
 - do kontroli rozprzestrzeniania się ognisk epidemiologicznych zakażeń meningokokami grup A, Y oraz W135,
 - W USA szczepionka MCV4 jest zalecana do podania w jednej dawce u w wieku 11–18 lat.

Odnaleziono pierwotne i wtórne dowody naukowe dotyczące efektywności kosztowej szczepień profilaktycznych przeciwko zakażeniom bakteriami *N. meningitidis* grupy C. Wynika z nich, że szczepienia są efektywne kosztowo, szczególnie w populacjach o dużym rozpowszechnieniu zakażeń. Bezpieczeństwo stosowania szczepionek MCC zostało potwierdzone w odnalezionych badaniach oraz w opinii eksperckiej.

Szczepionki polisacharydowe koniugowane przeciwko bakteriom *N. meningitidis* grupy C są skuteczne w indukowaniu zarówno odporności osobniczej, jak i populacyjnej. Są też bezpieczne w stosowaniu w każdej grupie wiekowej. Pozwalają ograniczyć rozwój choroby, związanych z nią powikłań i uniknięcia śmierci. Prowadzą także do ograniczenia rozprzestrzeniania się zakażeń i oszczędności związanych z mniejszymi nakładami na leczenie osób zakażonych.

Na podstawie odnalezionych dowodów naukowych należy rekomendować przeprowadzanie samorządowych programów szczepień profilaktycznych przeciwko bakteriom *N. meningitidis* grupy C. Tym bardziej, że są one zalecane w kalendarzu szczepień w grupie niefinansowanej ze środków Ministra Zdrowia. Wdrożenie samorządowego programu szczepień przeciwko meningokokom grupy C powinno być poprzedzone oceną lokalnej sytuacji epidemiologicznej i potwierdzeniem potrzeby przeprowadzenia programu.

- **Szczepienia przeciwko rotawirusom**

Samorządowe programy szczepień przeciw rotawirusom u dzieci dotyczą dokładnie określonego problemu zdrowotnego, któremu można zapobiegać. Realizują priorytety zdrowotne „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom” oraz „poprawa jakości i skuteczności opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3”.

Zakażenia rotawirusowe dotyczą głównie dzieci w wieku 9–23 m.ż., u wielu z nich zdarzają się powtórne zachorowania. Biegunki rotawirusowe stanowią u dzieci częstą przyczynę przyjęć do szpitala oraz występują w oddziałach dziecięcych jako zakażenia szpitalne. Biegunki te stanowią istotny problem epidemiologiczny oraz kliniczny zarówno w krajach rozwiniętych jak i rozwijających się. Do 5 r.ż. każde dziecko przechodzi co najmniej jedną infekcję. Charakterystycznym objawem zakażeń rotawirusowych jest ostra, wodnista biegunka, u 90% pacjentów poprzedzona intensywnymi wymiotami oraz gorączką. W Polsce biegunki rotawirusowe u dzieci występują najczęściej w miesiącach jesiennych, zimowych oraz wczesnowiosennych. Zapadalności na biegunki rotawirusowe dzieci w wieku poniżej 60 m.ż. w Polsce, w roku 1996 wynosiła 310/100 000. Udział procentowy zakażeń rotawirusowych w ogólnej liczbie zakażeń wywołujących biegunki u dzieci waha się w granicach od 20% do 80%. Najczęstszymi powikłaniami zakażenia rotawirusami są odwodnienie i zaburzenia elektrolitowe. W skrajnych, źle leczonych przypadkach, mogą one doprowadzić do wstrząsu hipowolemicznego i zgonu. Rzadkie powikłania mogą dotyczyć przewodu pokarmowego (np. zapalenie wątroby, hipertransaminazemia, gastropareza), jak i być zlokalizowane poza nim (np. drgawki gorączkowe lub bezgorączkowe, zapalenie mózgu, zapalenia mózdzku, zapalenie płuc).

W Polsce szczepienia przeciwko rotawirusom ujęte są w Programie Szczepień Ochronnych jako zalecane dzieciom od 6 t.ż. do 24 t.ż., niefinansowane ze środków publicznych. W Polsce zarejestrowane są dwie szczepionki – *Rotarix*, podawana w dwóch dawkach (1 dawkę można podawać od 6 t.ż., odstęp między dawkami co najmniej 4 tygodnie, druga dawka musi zostać podana przed 24 t.ż., a najlepiej przed 16 t.ż.) oraz *RotaTeq*, podawana w trzech dawkach (1 dawka między 6. a 12 t.ż., przerwy między dawkami co najmniej 4 tygodnie, wszystkie 3 dawki powinny być podane przed 26 t.ż., a najlepiej przed 20–22 t.ż.).

WHO rekomenduje włączenie szczepionki przeciwko rotawirusom do wszystkich narodowych programów szczepień dla wszystkich niemowląt. W odnalezionych rekomendacjach zagranicznych zaleca się szczepienie przeciw rotawirusom wszystkich niemowląt, nie przedstawia się preferencji co do wyboru jednej z dwóch dostępnych szczepionek. Rekomendacje są zgodne co do wieku rozpoczęcia szczepienia tj. od 6 t.ż. Cały cykl szczepienia powinien być zakończony przed 32 t.ż. Zgodnie z rekomendacjami *Canadian Paediatric Society* (2010 r.) obydwie szczepionki są bezpieczne i skuteczne. Jeżeli to możliwe, to cała seria szczepienia powinna być wykonana przy użyciu tej samej szczepionki. Według Amerykańskiego Komitetu Doradczego ds. Szczepień Ochronnych (ACIP) (2009 r.) niemowlęta, które przeszły już wirusowe zakażenia przewodu pokarmowego przed otrzymaniem całego cyklu szczepienia, powinny rozpocząć lub dokończyć szczepienie. Niemowlęta karmione piersią powinny być szczepione wg tego samego schematu dawkowania co niemowlęta niekarmione

piersią. Zgodnie z rekomendacjami CDC (2011 r.), Amerykańskiego Komitetu Doradczego ds. Szczepień Ochronnych (ACIP) (2009 r.) oraz Amerykańskiej Akademii Pediatricznej (AAP) (2009 r.) szczepienie nie powinno być rozpoczynane u niemowląt w wieku 15 t.ż. i starszych ze względu na niewystarczające dane na temat bezpieczeństwa pierwszej dawki podanej u starszych niemowląt. Szczepionka przeciw rotawirusom może być podana w trakcie łagodnego zakażenia przewodu pokarmowego, łagodnych infekcji górnych dróg oddechowych, z lub bez gorączki.

Ekspert wyraził się pozytywnie o szczepieniach dzieci przeciwko rotawirusom, stwierdzając, że wszelkie inicjatywy nawet w małym zakresie terytorialnym skutecznie będą ograniczać szerzenie się zakażeń na danym terenie, a tym samym mniej środków wydatkowanych będzie na ewentualne leczenie szpitalne stanów ostrych, oraz powikłań.

Wnioski z oceny programu gminy Grębocice

Projekt programu został przygotowany w sposób szczegółowy, opracowany zgodnie ze schematem programu zdrowotnego AOTM. Jedynie mierniki efektywności odpowiadające celom programu nie są w stosunku do nich do końca adekwatne. W projekcie wymieniono pozycje piśmiennictwa, na podstawie których opracowano przedmiotowy projekt.

Program stanowi kontynuację programów z 2011 i 2012–2013 r. Poprzednie opinie Prezesa były pozytywne. Nie przedstawiono wyników z realizacji poprzednich edycji programów. Poprzedni projekt dotyczył już programu na okres 2012–2013, jednak ponownie przesłano do opiniowania projekt programu na 2013 r. (zmiana dotyczy budżetu, pozostałe elementy pozostały bez zmian).

Program ma być realizowany w 2013 r. Przedstawiono dwa modele realizacji: model jednorazowy, który miałby trwać 1,5 roku oraz model wielokrotnego cyklu szczepień zakłada się doszczepianie kolejnych dzieci w późniejszym okresie. Oszacowano liczebność populacji docelowej. Programem zamierza się objąć wszystkie dzieci z gminy Grębocice urodzone w 2013 r. oraz dokończyć cykl szczepień dzieci z 2012 r.

W projekcie widnieją sprzeczne informacje co do ilości dawek poszczególnych szczepionek. W jednym miejscu pisze się, że pełne uczestnictwo w programie polega na podaniu 3 dawek szczepionki przeciwko pneumokokom, 3 dawek przeciwko meningokokom i 2 dawek przeciwko rotawirusom, natomiast w części budżetowej przeznaczono środki na 2 dawki każdej ze szczepionek.

Przeciwko pneumokokom zamierza się szczepić szczepionką skoniugowaną Prevenar 13 prawdopodobnie 3 dawkami: w 3–4 m.ż., 7 m.ż. i 13–14 m.ż. Zgodnie z ChPL szczepionki, w przypadku niemowląt w wieku od 6 t.ż. do 6 m.ż. zalecany cykl szczepienia obejmuje 4 dawki (podstawowy cykl szczepienia obejmuje 3 dawki, dawkę uzupełniającą zaleca się podać między 11. a 15 m.ż.). 3 dawkowy schemat szczepień można rozważyć w przypadku, gdy Prevenar 13 jest podawany w ramach obowiązującego programu szczepień niemowląt.

Przeciwko meningokokom zamierza się szczepić szczepionką skoniugowaną Meningitec prawdopodobnie 3 dawkami: w 5–6 m.ż., 7–8 m.ż., w 2 r.ż. Zgodnie z ChPL podstawowy cykl obejmuje 2 dawki a dawkę przypominającą podaje się po jego zakończeniu, zatem przyjęty w projekcie schemat szczepień przeciwko meningokokom jest zgodny z zalecanym.

Przeciwko rotawirusom zamierza się szczepić szczepionką Rotarix 2 dawkami: w 6–8 t.ż., 12–16 t.ż. Schemat ten jest zgodny z dawkowaniem przedstawionym w ChPL.

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

- I. Program odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, opierającego się na profilaktyce zakażeń pneumokokami, meningokokami oraz rotawirusami.
- II. Dostępność działań programu dla beneficjentów – w projekcie opisano sposób informowania o programie. Określono populację docelową kwalifikującą się do udziału w Programie – będą to wszystkie dzieci w wieku 6 t.ż. – 2 r.ż. zameldowane na terenie gminy Grębocice.
- III. Skuteczność działań – jak wynika z odnalezionych wytycznych proponowane interwencje polegające na szczepieniu przeciwko pneumokokom, meningokokom oraz rotawirusom są najlepszą metodą zapobiegania zachorowaniom wywoływanym przez te patogeny.
- IV. W projekcie przedstawiono koszty całkowite oraz jednostkowe.

V. W projekcie przedstawiono sposób monitorowania.

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 „Becikowe po Grębocicku” nr: AOTM-OT-441-181/2012, Warszawa, październik 2012 i aneksów „Programy profilaktyki zakażeń pneumokokowych”, „Programy profilaktyki zakażeń meningokokowych”, „Programy profilaktyki zakażeń rotawirusowych”, Aneksy do raportów szczegółowych, Warszawa, październik 2012.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 89/2012 z dnia 15 października 2012 r.
w sprawie zasadności finansowania
produktu leczniczego Nexavar (sorafenib), EAN: 5909990805594,
we wskazaniu: leczenie raka wątrobowokomórkowego
(ICD-10 C 22.0)

Rada uważa za niezasadne finansowanie produktu leczniczego Nexavar (sorafenib) w ramach uzgodnionego z wnioskodawcą projektu przedmiotowego programu „Leczenie raka wątrobowokomórkowego”. Rada uważa jednocześnie za zasadne finansowanie produktu leczniczego Nexavar (sorafenib) w ramach istniejącego programu lekowego, pod warunkiem zachowania efektywności kosztowej terapii.

Uzasadnienie

Rada zwraca uwagę, że główną zmianą projektu programu lekowego, w stosunku do programu aktualnie obowiązującego, jest rozszerzenie populacji chorych, którzy mogą kwalifikować się do przedmiotowego leczenia o podgrupę z przerzutami poza wątrobę oraz chorych z rozpoznaniem raka wątrobowokomórkowego ustalonym zgodnie z tzw. kryteriami barcelońskimi (a nie, jak obecnie, w oparciu o histologiczne lub cytologiczne rozpoznanie raka). Wyniki analizy podgrup badania SHARP (Llovet 2008) wykazują jednak, że skuteczność sorafenibu w podgrupie chorych z rozsiewem poza wątrobę (rozsiew do węzłów chłonnych lub płuc) jest znacząco mniejsza, niż gdy brak jest rozsiewu poza wątrobę. W podgrupie chorych z rozsiewem poza wątrobę sorafenib nie wpływa w statystycznie istotny sposób na czasy przeżycia. Nie wykazano również poprawy jakości życia w tej podgrupie.

Rada uważa także, że nie jest zasadne włączenie do programu chorych, u których rozpoznanie raka wątrobowokomórkowego ustalono zgodnie z kryteriami barcelońskimi (a nie w oparciu o histologiczne lub cytologiczne rozpoznanie raka). Do badania badania SHARP (Llovet 2008) kwalifikowano bowiem wyłącznie chorych, u których rozpoznanie potwierdzono wynikiem badania histopatologicznego, nie jest więc możliwe wiarygodne oszacowanie efektu działania sorafenibu u chorych, u których brak jest rozpoznania histopatologicznego.

Jak wykazuje analiza wnioskodawcy, w niewyselekcjonowanej grupie chorych, terapia sorafenibem jest [REDACTED].



Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Nexavar 200 mg, tabletki powlekane, 112 sztuk. EAN: 5909990805594 we wskazaniu: leczenie raka wątrobowokomórkowego (ICD-10 C 22.0). Wniosek dotyczy zamieszczenia w Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych jako leku dostępnego w ramach programu lekowego, bezpłatnie we wskazaniu określonym stanem klinicznym i w ramach istniejącej grupy limitowej (1078.0, Sorafenib).

Rada Konsultacyjna wydała pozytywne stanowisko nr 50/14/2010 z dnia 5.07.2010 r. w sprawie zakwalifikowania sorafenibu w leczeniu raka wątrobowokomórkowego w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego NFZ

Problem zdrowotny

Rak wątrobowokomórkowy (RW) to najczęstszy złośliwy nowotwór pierwotny wątroby u dorosłych (80-85%). W Europie jego zachorowalność wynosi ok. 2-5/100 000 osób rocznie (3 x częściej wśród mężczyzn). U chorych na zaawansowanego RW, którzy nie kwalifikują się lub mają progresję po leczeniu miejscowym, stosuje się leczenie systemowe (chemioterapia ma na celu zwiększenie odpowiedzi na leczenie, a sorafenib nieznacznie wydłuża czas przeżycia u starannie wybranych chorych), a u pacjentów z niewydolnością wątroby staranne postępowanie objawowe (Watchfull Whiting).

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Nexavar zawiera substancję czynną SOR (sorafenib), inhibitor wielokinazowy, który in vitro i in vivo wykazuje działanie przeciwproliferacyjne i przeciwwangiogenne.

Alternatywne technologie medyczne

Standardowym postępowaniem u chorych na raka wątrobowokomórkowego, u których brak jest możliwości resekcji guza lub transplantacji wątroby jest leczenie miejscowe (ablacja falami radiowymi, przezskórna alkoholizacja, radioterapia stereotaktyczna) lub chemoembolizacja przektętnicza (TACE). W zaawansowanym RW jeśli nie kwalifikuje się do leczenia chirurgicznego ani loko-regionalnego lub jeśli nastąpiła progresja po takim leczeniu odpowiednim komparatorem dla SOR jest najlepsze leczenie wspomagające (wg opinii eksperckich i wytycznych klinicznych).

Skuteczność kliniczna

Wnioskodawca przedstawił przegląd systematyczny, do którego włączono jedno pierwotne randomizowane badanie kliniczne (III fazy) porównujące SOR z PLC (placebo) (badanie SHARP) w populacji pacjentów z zaawansowanym RW, którzy nie kwalifikowali się do leczenia miejscowego lub mieli progresję po leczeniu chirurgicznym lub miejscowo-regionalnym. Badanie przerwano wcześniej niż planowano, a jego wyniki ucięto (cenzorowano).

W niniejszym badaniu w populacji pacjentów z zaawansowanym RW wykazano istotną statystycznie różnicę na korzyść SOR vs PLC odnośnie: zmniejszenia ryzyka śmiertelności po 6 miesiącach obserwacji, zwiększenia przeżycia całkowitego po 12 miesiącach obserwacji, zwiększenia przeżycia wolnego od progresji choroby po 4 miesiącach obserwacji oraz dobrej kontroli choroby, a także wydłużenia czasu przeżycia całkowitego oraz czasu do progresji radiologicznej. Znamiennych statystycznie różnic pomiędzy grupami nie wykazano w stosunku do: czasu do progresji objawowej, częściowej odpowiedzi po 12 miesiącach obserwacji i stabilizacji choroby po 12 miesiącach obserwacji.

Wyniki analizy post hoc badania SHARP dla subpopulacji pacjentów z rozsiewem choroby (główna populacja, o którą wnioskodawca chce rozszerzyć program lekowy) sugerują, że SOR vs PLC wydłuża czas do progresji choroby i zwiększa kontrolę choroby oraz nie wpływa w znaczący sposób na czas całkowitego przeżycia. Wpływ leczenia sorafenibem na przeżycie chorych z rozsiewem poza wątrobę (węzły chłonne lub płuca) był w tym badaniu wyraźnie mniejszy, niż w podgrupie bez rozsiewu poza wątrobę (RR 0.85 vs. 0.55).

Skuteczność praktyczna

Wnioskodawca nie odniósł się do skuteczności praktycznej wnioskowanej technologii.

Bezpieczeństwo stosowania

W populacji pacjentów z zaawansowanym RW (badanie SHARP) w grupie przyjmującej SOR vs PLC wykazano istotnie statystycznie: większą częstość występowania: jakichkolwiek zdarzeń niepożądanych, zdarzeń niepożądanych związanych z podawaniem leku powodujących zaprzestanie leczenia, a także poszczególnych zdarzeń niepożądanych: łysienia, suchości skóry, innych dermatologicznych zdarzeń niepożądanych, niedożywienia i utraty łaknienia, bólu podbrzusza nieznanego pochodzenia, zmiany głosu, nadciśnienia w jakimkolwiek stopniu oraz utraty wagi, zespołu ręka-stopą, biegunki w jakimkolwiek stopniu oraz w 3 stopniu, a także nieprawidłowych wyników badań laboratoryjnych: hipofosfatemii w 3 stopniu toksyczności i trombocytopenii 3 lub 4 stopnia. W grupie przyjmującej SOR vs PLC wykazano także znamienne statystycznie mniejszą częstość występowania zgonu niezwiązanego z progresją choroby (w okresie 30 dni od ostatniej dawki leku).

Pomiędzy grupami nie wykazano istotnych statystycznie różnic odnoszących się do: wycofania z badania z powodu zdarzeń niepożądanych, wycofania z badania z powodu radiologicznej lub objawowej progresji, jakichkolwiek ciężkich zdarzeń niepożądanych, ciężkich zdarzeń niepożądanych wątrobowo-żółciowych, ciężkich epizodów krwotocznych, ciężkich krwawień żyłaków, ciężkich niewydolności nerek, ciężkich zawałów lub niedokrwienia serca, niewydolności wątroby, wodobrzusza, zaprzestania terapii z powodu zdarzeń niepożądanych, a także poszczególnych zdarzeń niepożądanych: świądu, wysypki, nudności, wymiotów, dysfunkcji wątroby w jakimkolwiek stopniu i 3 stopniu toksyczności; innych dermatologicznych zdarzeń niepożądanych, niedożywienia i utraty łaknienia, nadciśnienia, bólu podbrzusza nieznanego pochodzenia w 3 stopniu toksyczności; zmęczenia w 3 i 4 stopniu toksyczności oraz krwawienia w jakimkolwiek stopniu, 3 i 4 stopniu toksyczności.

W 2 metaanalizach (Shutz 2011, Choueiri 2010) wykazano, że leczenie SOR związane jest ze zwiększeniem ryzyka niepożądanych zdarzeń zakrzepowo-zatorowych oraz hematologicznych (neutropenii, trombocytopenii, limfopenii), z wyjątkiem anemii, której ryzyko się zmniejszało.

Wyniki badań o niższej wiarygodności są zgodne z ChPL Nexavar, wskazując, że najczęstszymi działaniami niepożądanymi występującymi po leczeniu SOR są zdarzenia niepożądane związane z układem pokarmowym i skórą. W badaniach tych po podaniu SOR raportowano także pojedyncze przypadki zgonów w wyniku krwotoku śródczaszkowego oraz krwotoku przewodu pokarmowego.

Zgodnie z ChPL najpoważniejszymi działaniami niepożądanymi są: zawał serca/niedokrwienie, perforacja przewodu pokarmowego, zapalenie wątroby wywołane przez lek, krwawienie i nadciśnienie tętnicze/przełom nadciśnieniowy.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka



Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Wnioskodawca opracował model ekonomiczny umożliwiający ocenę opłacalności stosowania sorafenibu (Nexavar) w leczeniu RW w porównaniu z brakiem aktywnego leczenia (BSC) w Polsce. Wykonano analizę kosztów-efektywności i analizę kosztów-konsekwencji. Wnioskodawca nie przeprowadził analizy kosztów-użyteczności, z uwagi na brak danych dotyczących użyteczności. W analizie przyjęto perspektywę podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (NFZ) oraz wspólną podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorcy (NFZ i pacjenta) w dożywotnim horyzoncie czasowym (14 lat). Uwzględniono wyniki kliniczne z badania SHARP dla populacji pacjentów z zaawansowanym RW oraz bezpośrednie koszty medyczne, tj. koszty: leków (sorafenibu i innych stosowanych w przypadku wystąpienia działań niepożądanych), monitorowania pacjenta i opieki standardowej oraz hospitalizacji i opieki paliatywnej. Wyniki AE wnioskodawcy wykazały, że terapia sorafenibem w

porównaniu z BSC [REDAKTOWANE] w przedmiotowym wskazaniu z perspektywy płatnika publicznego ani wspólnej, zarówno w wariantcie z RSS odpowiednio [REDAKTOWANE], jak i bez RSS odpowiednio: [REDAKTOWANE].

Analiza wrażliwości nie zmieniała wnioskowania z analizy podstawowej, z wyjątkiem sytuacji, gdy zmieniono parametr dotyczący czasu przeżycia pacjentów z grupy SOR (maksymalna wartość) i BSC (minimalna wartość).

Wnioskodawca oszacował cenę progową zbytu netto produktu leczniczego Nexavar w wysokości: [REDAKTOWANE] z perspektywy płatnika publicznego i [REDAKTOWANE] z perspektywy wspólnej. Proponowana cena zbytu netto [REDAKTOWANE].

Model ekonomiczny wnioskodawcy jest zgodny z założeniami odnalezionych analiz ekonomicznych, z wyjątkiem brytyjskiego raportu (Connock 2009), w którym wykonano analizę kosztów użyteczności (użyteczność stanów zdrowia oszacowano na podstawie kwestionariusza dotyczącego jakości życia).

Należy mieć także na uwadze, że zużycie zasobów określono na podstawie badania kwestionariuszowego (populacja pacjentów w ankiecie nie odpowiadała w pełni kryteriom włączenia do aktualnego i proponowanego programu lekowego).

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Wnioskodawca przedstawił oszacowanie przewidywanych wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia decyzji o rozszerzeniu kryteriów włączenia pacjentów do programu lekowego: leczenie raka wątrobowokomórkowego (ICD-10 C22.0). Analizę przeprowadzono z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (NFZ) w 3-letnim horyzoncie czasowym. Przyjęto, że populację docelową dla sorafenibu stanowią pacjenci spełniający zmodyfikowane kryteria włączenia/wykluczenia do projektu programu lekowego (poszerzono głównie o pacjentów z przerzutami poza wątrobę). Uwzględniono kategorie kosztowe, takie jak: koszt sorafenibu, koszty opcjonalnych schematów postępowania, które będą wypierane przez sorafenib, koszt diagnostyki oraz koszty leczenia pacjentów po wystąpieniu progresji.

Podjęcie pozytywnej decyzji o finansowaniu sorafenibu zgodnie z projektem programu lekowego spowoduje [REDAKTOWANE] wydatków płatnika publicznego w wariantcie z [REDAKTOWANE] RSS [REDAKTOWANE] i bez RSS [REDAKTOWANE] odpowiednio w latach 2013, 2014 i 2015.

Parametrami mającymi największy wpływ na wyniki analizy z uwzględnieniem RSS są zgodnie z wynikami jednokierunkowych analiz wrażliwości: czas do progresji choroby i czas przeżycia (przy zastosowaniu wartości minimalnych: inkrementalne koszty [REDAKTOWANE] w latach 2013-2015) oraz odsetek pacjentów ze stopniem niewydolności wątroby A w skali Child-Pugh (przy zastosowaniu wartości maksymalnych: inkrementalne koszty [REDAKTOWANE] [REDAKTOWANE] odpowiednio w latach 2013-2015).

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

W analizie racjonalizacyjnej wnioskodawca zaproponował rozwiązania, które miałyby pozwolić zrównoważyć koszty refundacji produktu leczniczego Nexavar (sorafenib) dla płatnika publicznego poprzez uwolnienie środków publicznych przyznanych na realizację programu leczenia RW, które według danych wnioskodawcy w drugiej połowie 2011 zostały wykorzystane w 13,5%, a w pierwszej połowie 2012 roku w około 25% założonego planu rzeczowo-finansowego.

Rozwiązanie zaproponowane przez wnioskodawcę wskazuje środki finansowe w wysokości 16,05 mln PLN. Nie odnosi się ono bezpośrednio do horyzontu analizy (2013-2015 rok), lecz jest zabiegiem jednorazowym. Wydaje się, że takie rozwiązanie nie spełnia założeń analizy racjonalizacyjnej dlatego, że środki przeznaczone na realizację programu leczenia RW były już uwzględnione w budżecie płatnika publicznego, a propozycja wnioskodawcy nie uwalnia nowych środków, lecz wskazuje na pełne wykorzystanie środków przeznaczonych na funkcjonowanie rzeczowego programu.

Wdrożenie rozwiązań zaproponowanych przez wnioskodawcę przyniesie oszczędności dla płatnika publicznego na poziomie 16,05 mln PLN, a całkowity [REDAKTOWANE] wydatków płatnika publicznego z

uwzględnieniem RSS wyniesie w horyzoncie analizy [REDAKTOWANE] bez RSS [REDAKTOWANE] z RSS; [REDAKTOWANE] bez RSS) wnioskodawca proponuje pokryć z utrzymania kontraktów NFZ na dotychczasowym poziomie, co według niego pozwoli na finansowanie przedmiotowego programu lekowego w jego nowej (proponowanej) formie w kolejnych latach jego funkcjonowania. Wnioskodawca nie przedstawił żadnych wyliczeń związanych z tym twierdzeniem.

Podsumowując, wnioskodawca nie przedstawił rozwiązań, które są w stanie pokryć całkowite koszty inkrementalne związane z pozytywnym rozpatrzeniem wniosku. Dodatkowo analiza racjonalizacyjna wnioskodawcy nie pokrywa się z horyzontem czasowym analizy wpływu na budżet. W 3-letnim horyzoncie czasowym (zgodnym z horyzontem przyjętym dla analizy wpływu na budżet) niepokryte zostaną środki w wysokości [REDAKTOWANE] uwzględniając RSS ([REDAKTOWANE] PLN bez RSS).

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Odnaleziono 6 wytycznych klinicznych (polskie, amerykańskie, europejskie) zalecających stosowanie sorafenibu w leczeniu pacjentów z RW zaawansowanym (w tym z przerzutami), gdy nie można zastosować leczenia miejscowego lub jest ono nieskuteczne.

Znaleziono także 3 rekomendacje (brytyjska, szkocka, nowozelandzka) nie zalecające finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Nexavar w leczeniu pacjentów z RW z powodu wysokich kosztów związanych z uzyskaniem niedużej korzyści klinicznej oraz 2 rekomendacje (francuska, australijska) zalecające finansowanie niniejszej technologii medycznej w związku z wykazaną korzyścią kliniczną (niewielką) i brakiem innych opcji terapeutycznych. Jedną z nich (australijska) ograniczono do stosowania u populacji pacjentów, którym może przynieść największą korzyść kliniczną.

Dodatkowe uwagi Rady

Rada zwraca uwagę na to, że standardowym postępowaniem u chorych na raka wątrobowokomórkowego, u których brak jest możliwości resekcji guza lub transplantacji wątroby jest leczenie miejscowe (ablacja falami radiowymi, przezskórna alkoholizacja, radioterapia stereotaktyczna) lub chemoembolizacja przektętnicza (TACE). Zadaniem Rady metody te nie są w zadowalającym stopniu wykorzystywane w leczeniu chorych na raka wątrobowokomórkowego w Polsce. Nieskuteczność leczenia miejscowego nie wyklucza chorych z udziału w istniejącym programie leczenia sorafenibem.

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

.....
[REDAKTOWANE]
[REDAKTOWANE]

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-4351-16/2012, „Wniosek o objęcie refundacją leku Nexavar (sorafenib) w ramach programu lekowego: leczenie raka wątrobowokomórkowego (ICD-10 C 22.0)”, 4 października 2012 r.

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

1. Stanowisko eksperckie przedstawione na posiedzeniu RP w dniu 15.10.2012 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 90/2012 z dnia 15 października 2012 r.
w sprawie zasadności finansowania
leku Primacor (chlorowoderek lerkanidypiny) (EAN 5909990801886)
we wskazaniu: leczenie łagodnego lub umiarkowanego samoistnego
nadciśnienia tętniczego

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Primacor, chlorowoderek lerkanidypiny, tabletki powlekane 10 mg, we wskazaniu – leczenie łagodnego lub umiarkowanego samoistnego nadciśnienia tętniczego.

Uzasadnienie

Primacor jest kolejnym blokerem kanałów wapniowych z grupy dihydropirydyn przeznaczonym do leczenia nadciśnienia tętniczego.

Dostępne badania kliniczne Primacoru wskazują na podobną do innych leków tej klasy redukcję ciśnienia tętniczego. Obecnie brak jest danych na temat wpływu wnioskowanej technologii na twarde punkty końcowe w postaci zmniejszenia ryzyka sercowo-naczyniowego, co stanowi główny powód leczenia nadciśnienia tętniczego. Z przedstawionej analizy finansowej wynika, że refundacja Primacoru będzie generować dodatkowe koszty. Nie ma więc podstaw do finansowania Primacoru ze środków publicznych.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Primacor (chlorowoderek lerkanidypiny), we wskazaniu: leczenie łagodnego lub umiarkowanego samoistnego nadciśnienia tętniczego. Wniosek dotyczy zamieszczenia

jako leków dostępnych w aptece na receptę w całym zakresie zarejestrowanych wskazań z odpłatnością

w ramach następujących dawek i opakowań:

- Primacor (chlorowoderek lerkanidypiny), tabletki powlekane 10 mg, 60 szt., EAN 5909990801886
- Primacor (chlorowoderek lerkanidypiny), tabletki powlekane 20 mg, 60 szt., EAN 5909990875252

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Primacor (chlorowoderek lerkanidypiny); tabletki powlekane; 10 mg, 60 szt.; EAN 5909990801886.

Problem zdrowotny

Nadciśnienie tętnicze pierwotne (ICD 10: I10) to trwałe podwyższenie ciśnienia tętniczego spowodowane różnorodnymi czynnikami genetycznymi i środowiskowymi, które powodują



zaburzenie fizjologicznej regulacji ciśnienia tętniczego. W przeciwieństwie do nadciśnienia wtórnego, w pierwotnym nie udaje się wykryć jednoznacznej przyczyny.

Za prawidłowe przyjmuje się wartości ciśnienia tętniczego: skurczowego <140 mmHg i rozkurczowego <90 mmHg. O łagodnym nadciśnieniu tętniczym mówimy, gdy SBP (skurczowe ciśnienie tętnicze) wynosi 140-159 mmHg i/lub DBP (rozkurczowe ciśnienie tętnicze) 90-99 mmHg, o umiarkowanym nadciśnieniu, gdy SBP wynosi 160-179 mmHg i/lub DBP 100-109 mmHg.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Produkt leczniczy Primacor, tabletki powlekane 10 mg, podawane doustnie (grupa farmakoterapeutyczna: selektywni antagoniści kanału wapniowego działający głównie na naczynia, kod ATC C08CA13, zawiera substancję czynną chlorowoderek lerkanidypiny, antagonistę kanału wapniowego z grupy pochodnych dihydropirydyny, hamującym przezbłonowy transport jonów wapnia do komórek serca i mięśni gładkich.

Działanie hipotensyjne jest wynikiem bezpośredniego działania rozkurczającego mięśnie gładkie naczyń krwionośnych, co powoduje zmniejszenie całkowitego obwodowego oporu naczyniowego.

Alternatywne technologie medyczne

[Redacted text]

Skuteczność kliniczna

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text block]

Skuteczność praktyczna

[Redacted text block]

Bezpieczeństwo stosowania

[Redacted text block]

Zgodnie z ChPL po zastosowaniu LER najczęściej występowały: obrzęki obwodowe, bóle, zawroty głowy, częstoskurcz, uczucie kołatania serca, uczucie uderzenia gorąca.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie zaproponowano instrumentu dzielenia ryzyka.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Analiza ekonomiczna przedstawiona przez wnioskodawcę

Analiza ekonomiczna wnioskodawcy nie spełnia wymogów określonych Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu (Dz.U.12.388) w następującym zakresie: wnioskodawca nie wyznaczył ceny progowej przy porównaniu z najtańszą refundowaną technologią lekową, z perspektywy zgodnej z §5. ust. 10 Rozporządzenia (tj. NFZ i NFZ+pacjent) - §5. ust. 6 pkt. 3 Rozporządzenia.

W obliczeniach Agencji, przeprowadzonych w związku z zastrzeżeniami do obliczeń wnioskodawcy, z perspektywy NFZ roczny koszt refundacji [redacted] na poziomie [redacted] jest [redacted] z kosztem refundacji [redacted] oraz [redacted] natomiast jest [redacted] o [redacted] w porównaniu z kosztem refundacji [redacted]. Z perspektywy wspólnej (NFZ+pacjent) roczny koszt stosowania [redacted] na poziomie [redacted] jest [redacted] o [redacted] w porównaniu z [redacted] i o [redacted] w porównaniu z [redacted] oraz [redacted] o [redacted] w porównaniu z [redacted] i o [redacted] w porównaniu z [redacted].

• Analiza progowa

oraz [redacted] Maksymalna cena zbytu netto, przy której z perspektywy NFZ+pacjent koszt stosowania lerkaniidypiny nie jest wyższy od minimalnego spośród kosztów stosowania technologii tworzących grupę limitową 41.0 Antagoniści wapnia – pochodne dihydropirydyny (spełnienie w §5. Ust. 6 pkt. 3 Rozporządzenia) wynosi dla produktu Primacor 10mg × 60 tabl. 13,97 zł, natomiast dla produktu Primacor 20mg × 60 tabl. 23,40 zł. Maksymalna urzędowa cena zbytu, przy której z perspektywy NFZ+pacjent koszt stosowania lerkaniidypiny nie jest wyższy od minimalnego spośród kosztów stosowania technologii tworzących grupę limitową 41.0 (spełnienie n. 13 ust. 3 Ustawy o refundacji) wynosi dla produktu Primacor 10mg × 60 tabl. 15,09 zł, natomiast dla produktu Primacor 20mg × 60 tabl.: 25,27 zł. [redacted]

Maksymalna cena zbytu netto, przy której z perspektywy NFZ koszt stosowania lerkaniidypiny nie jest wyższy od minimalnego spośród kosztów stosowania technologii tworzących grupę limitową 41.0 (spełnienie w §5. Ust. 6 pkt. 3 Rozporządzenia) wynosi dla produktu Primacor 10mg × 60 tabl. 8,47 zł, natomiast dla produktu Primacor 20mg × 60 tabl. 14,20 zł. Maksymalna urzędowa cena zbytu, przy której z perspektywy NFZ koszt stosowania lerkaniidypiny nie jest wyższy od minimalnego spośród kosztów stosowania technologii tworzących grupę limitową 41.0 (spełnienie n. 13 ust. 3 Ustawy o

refundacji) wynosi dla produktu Primacor 10mg × 60 tabl. 9,15 zł, natomiast dla produktu Primacor 20mg × 60 tabl. 15,34 zł.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Celem analizy przedłożonej przez wnioskodawcę

W analizie wnioskodawcy, po

AOTM przeprowadził obliczenia w związku z modyfikacją dyskusyjnych założeń oraz w związku z korektą błędów w skoroszybie kalkulacyjnym służącym przeprowadzaniu obliczeń. Według obliczeń, z wykorzystaniem dodatkowo

może wiązać się ze

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

W ramach analizy weryfikacyjnej przeprowadzono wyszukiwanie aktualnych rekomendacji postępowania klinicznego oraz rekomendacji finansowych dotyczących zastosowania lerkanidypiny w rozpatrywanym wskazaniu. Należy mieć na uwadze, że większość wytycznych klinicznych nie faworyzuje stosowania konkretnych produktów leczniczych, czy też danej grupy leków w przedmiotowym wskazaniu, a odnosi się pozytywnie do aktualnie dostępnych grup leków mających zastosowanie w leczeniu nadciśnienia tętniczego.

Nie odnaleziono rekomendacji dotyczących finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Primacor w przedmiotowym wskazaniu. Odnaleziono jedynie rekomendacje dotyczące substancji czynnej – lerkanidypiny, wchodzącej w skład innych produktów leczniczych. Były to dwie pozytywne rekomendacje francuskiego HAS i szkockiego SMC.

Dodatkowe uwagi Rady (opcjonalnie)

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 Nr: AOTM-OT-4350-9/2012 „Wniosek o objęcie refundacją produktów leczniczych: Primacor, chlowodorek lerkanidypiny, tabletki powlekane 10 mg, 60 szt., kod EAN 5909990801886; Primacor, chlowodorek lerkanidypiny, tabletki powlekane 20 mg, 60 szt., kod EAN 5909990875252 we wskazaniu: leczenie łagodnego lub umiarkowanego samoistnego nadciśnienia tętniczego”. Warszawa, 4 października 2012 r.

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

1. Stanowisko eksperckie przedstawione na posiedzeniu RP w dniu 15.10.2012 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 91/2012 z dnia 15 października 2012 r.
w sprawie zasadności finansowania
leku Primacor (chlorowoderek lerkanidypiny) (EAN 5909990875252)
we wskazaniu: leczenie łagodnego lub umiarkowanego samoistnego
nadciśnienia tętniczego

Rada przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Primacor, chlorowoderek lerkanidypiny, tabletki powlekane 20 mg, we wskazaniu – leczenie łagodnego lub umiarkowanego samoistnego nadciśnienia tętniczego.

Uzasadnienie

Primacor jest kolejnym blokerem kanałów wapniowych z grupy dihydropirydyn przeznaczonym do leczenia nadciśnienia tętniczego.

Dostępne badania kliniczne Primacoru wskazują na podobną do innych leków tej klasy redukcję ciśnienia tętniczego. Obecnie brak jest danych na temat wpływu wnioskowanej technologii na twarde punkty końcowe w postaci zmniejszenia ryzyka sercowo-naczyniowego, co stanowi główny powód leczenia nadciśnienia tętniczego. Z przedstawionej analizy finansowej wynika, że refundacja Primacoru będzie generować dodatkowe koszty. Nie ma więc podstaw do finansowania Primacoru ze środków publicznych.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Primacor (chlorowoderek lerkanidypiny), we wskazaniu: leczenie łagodnego lub umiarkowanego samoistnego nadciśnienia tętniczego. Wniosek dotyczy zamieszczenia

jako leków dostępnych w aptece na receptę w całym zakresie zarejestrowanych wskazań z odpłatnością w ramach następujących dawek i opakowań:

- Primacor (chlorowoderek lerkanidypiny), tabletki powlekane 10 mg, 60 szt., EAN 5909990801886
- Primacor (chlorowoderek lerkanidypiny), tabletki powlekane 20 mg, 60 szt., EAN 5909990875252

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Primacor (chlorowoderek lerkanidypiny); tabletki powlekane; 20 mg, 60 szt.; EAN 5909990875252.

Problem zdrowotny

Jak w stanowisku nr 90/2012

Opis wnioskowanej technologii medycznej



Jak w stanowisku nr 90/2012

Alternatywne technologie medyczne

Jak w stanowisku nr 90/2012

Skuteczność kliniczna

Jak w stanowisku nr 90/2012

Skuteczność praktyczna

Jak w stanowisku nr 90/2012

Bezpieczeństwo stosowania

Jak w stanowisku nr 90/2012

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Jak w stanowisku nr 90/2012

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Jak w stanowisku nr 90/2012

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Jak w stanowisku nr 90/2012

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Jak w stanowisku nr 90/2012

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Jak w stanowisku nr 90/2012

Dodatkowe uwagi Rady (opcjonalnie)

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

.....
[Redacted signature area]

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 19 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych Nr: AOTM-OT-4350-9/2012 „Wniosek o objęcie refundacją produktów leczniczych: Primacor, chlowoderek lerkanidypiny, tabletki powlekane 10 mg, 60 szt., kod EAN 5909990801886; Primacor, chlowoderek lerkanidypiny, tabletki powlekane 20 mg, 60 szt., kod EAN 5909990875252 we wskazaniu: leczenie łagodnego lub umiarkowanego samoistnego nadciśnienia tętniczego”.
Warszawa, 4 października 2012 r.

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

1. Stanowisko eksperckie przedstawione na posiedzeniu RP w dniu 15.10.2012 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 92/2012 z dnia 15 października 2012 r.
w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej
„Hybrydowa rehabilitacja kardiologiczna”
jako świadczenia gwarantowanego

Aktualnie przygotowany projekt programu nie pozwala wydać pozytywnego stanowiska w sprawie realizacji świadczenia „Hybrydowa rehabilitacja kardiologiczna” w ramach koszyka świadczeń gwarantowanych.

Uzasadnienie

Hybrydowa rehabilitacja kardiologiczna stanowić może ważny element opieki nad chorym. Jednocześnie Rada zwraca uwagę na brak precyzyjnie oszacowanej populacji (np. brak kryteriów włączenia i wyłączenia), dla której świadczenie miałyby być realizowane. Brak precyzyjnego opisu świadczenia uniemożliwia oszacowanie jego kosztów.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy wydania rekomendacji w sprawie kwalifikacji świadczenia zdrowotnego „Hybrydowa rehabilitacja kardiologiczna”. Przedmiotowe świadczenie stanowi kombinację świadczeń rehabilitacji kardiologicznej w warunkach stacjonarnych lub w warunkach oddziału dziennego, które są obecnie finansowane ze środków publicznych w ramach rehabilitacji leczniczej, oraz telerehabilitacji, która była przedmiotem oceny Agencji w 2010 r. i uzyskała pozytywną opinię Rady Konsultacyjnej ws. zakwalifikowania jako świadczenia gwarantowanego. Z uwagi na powyższe uznano, że nie jest konieczna powtórna pełna ocena technologii medycznej. Ograniczono się do uproszczonej analizy wpływu na budżet płatnika z wykorzystaniem danych wskazanych przez Ministra.

Problem zdrowotny

Nie dotyczy.

Opis ocenianego świadczenia

Na hybrydową rehabilitację kardiologiczną składają się II fazy: rehabilitacji kardiologicznej w warunkach stacjonarnych lub w warunkach oddziału dziennego (I faza), trwającej do 2 tygodni, oraz telerehabilitacji (II faza) - do 8 tygodni. Świadczenie dedykowane jest wszystkim pacjentom po zdarzeniach sercowo-naczyniowych zakwalifikowanych do wczesnej rehabilitacji kardiologicznej, którzy po okresie edukacyjnym pozytywnie wykażą się umiejętnością obsługi aparatury oraz realizacji procedury w domu (umiejętność samooceny i wykonywanie zaleconego programu ćwiczeń). Świadczenie ma być finansowane w ramach świadczeń odrębnie kontraktowanych, w rehabilitacji leczniczej.

Alternatywne świadczenia



Obecnie, ze środków publicznych finansowane są świadczenia rehabilitacji kardiologicznej w warunkach stacjonarnych oraz rehabilitacji kardiologicznej w warunkach oddziału dziennego, w ramach zakresu świadczeń: „rehabilitacja lecznicza”.

Skuteczność kliniczna

Nie dotyczy.

Bezpieczeństwo stosowania

Nie dotyczy.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Nie dotyczy.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Wydatki inkrementalne z tytułu pozytywnej decyzji o finansowaniu ocenianego świadczenia wyniosą w pierwszych latach, w przypadku przejścia 30% chorych dotychczas leczonych w ramach rehabilitacji kardiologicznej dziennej i stacjonarnej oraz rozszerzenia dostępności rehabilitacji kardiologicznej dla 30 000 nowych pacjentów, ok. 37,9 mln zł.

Wydatki inkrementalne w przypadku przejścia 50% chorych dotychczas leczonych w ramach rehabilitacji kardiologicznej dziennej i stacjonarnej oraz rozszerzenia dostępności rehabilitacji kardiologicznej dla 30 000 nowych pacjentów, w pierwszych latach finansowania ocenianego świadczenia wyniosą ok. 20,9 mln zł.

Wydatki inkrementalne w przypadku przejścia 90% chorych dotychczas leczonych w ramach rehabilitacji kardiologicznej dziennej i stacjonarnej (docelowy udział przejścia) oraz rozszerzenia dostępności rehabilitacji kardiologicznej dla 157 000 nowych pacjentów, wyniosą ok. 198,7 mln zł.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianego świadczenia

Nie dotyczy.

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

.....
[Redacted signature area]

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem opracowania Agencji Oceny Technologii Medycznych, nr AOTM-DS-DKTM-430-06-2012, „Hybrydowa rehabilitacja kardiologiczna”, 11 października 2012

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

1. Stanowisko eksperckie przedstawione na posiedzeniu RP w dniu 15.10.2012 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 229/2012 z dnia 15 października 2012
o projekcie programu „Program pomocy i edukacji w zespołach
zaburzeń stresu pourazowego
w ujęciu psychologiczno-psychiatrycznym”
Ministerstwa Obrony Narodowej

Rada Przejrzystości wydaje pozytywną opinię o projekcie „Program pomocy i edukacji w zespołach zaburzeń stresu pourazowego w ujęciu psychologiczno-psychiatrycznym Ministerstwa Obrony Narodowej”

Uzasadnienie

Projekt programu zdrowotnego realizuje cele i zadania narzucone na Ministra Obrony Narodowej przez Narodowy Program Ochrony Zdrowia Psychicznego. Celem programu jest zapobieganie skutkom traumy wojennej poprzez wzmocnienie odporności psychicznej jednostki. W programie został określony budżet na czteroletni okres realizacji (2012 – 2015) w wysokości 2 880 000 zł ze środków Ministra Obrony Narodowej. Szacunkowo określono populację. Przedmiotowy projekt jest zgodny z odnalezionymi wytycznymi klinicznymi – daje żołnierzom możliwość wzmocnienia odporności psychicznej przed narażeniem na zdarzenie traumatyczne, a także pozwala żołnierzom po powrocie z misji zidentyfikować u siebie niepokojące objawy i na wczesnym etapie zwrócić się po specjalistyczną pomoc.

Rada zauważa, że program nie przewiduje monitorowania efektywności programu, które pozwoliłoby ocenić czy zostały osiągnięte zamierzone cele. Rada sugeruje wprowadzenie monitorowania czy główny cel został osiągnięty np. przeprowadzenie oceny po czasie w jakim mogą wystąpić objawy PTSD, a otrzymana liczbę osób z objawami PTSD porównać wynikami sprzed realizacji programu. Można również porównywać liczby osób kierowanych do leczenia lub turnusy leczniczo-profilaktyczne sprzed i po wprowadzeniu programu.

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego Ministerstwa Obrony Narodowej z zakresu terapii zespołu stresu pourazowego. Populację programu stanowią: żołnierze zawodowi, dowódcy pododdziałów (plutonów, kompanii, batalionów), wyjeżdżający do pełnienia służby poza granicami państwa; psychologowie, kapelani wojskowi, psychoprofilaktycy, lekarze jednostek wojskowych wyjeżdżający do pełnienia służby poza granicami państwa lub po powrocie ze służby.

Za główne cele programu przyjęto:



- zapobieganie skutkom traumy wojennej poprzez podjęcie działań prowadzących do wzmocnienia odporności jednostki, utrwalenie prawidłowych wzorców zdrowego stylu życia, a także poprzez optymalne wykorzystanie potencjału ludzkiego i jego zasobów w radzeniu sobie w sytuacjach trudnych;
- przygotowanie uczestnika do samodzielnego, konstruktywnego radzenia sobie z sytuacjami trudnymi, a także przyjmowania, udzielania wsparcia i pomocy psychologicznej.

Jako cele szczegółowe wskazano:

- Przedstawienie możliwości korzystania z pomocy specjalistów oraz sposobów przywrócenia zdrowia w wyniku oddziaływań psychiatryczno- psychologicznych oraz terapeutycznych.
- Przeformułowanie negatywnego sposobu postrzegania zaburzeń adaptacyjnych oraz wzajemna normalizacja pojawiających się niepokojących objawów o charakterze patologicznym.
- Kształtowanie postawy, zachowania i propagowanie stylu życia korzystnego dla zdrowia psychicznego żołnierzy.
- Nauka sposobów konstruktywnego radzenia sobie z odczuwanym napięciem emocjonalnym, w tym efektywnych technik relaksacyjnych.
- Ocena rodzajów doświadczanych trudności oraz rozwijanie umiejętności radzenia sobie w sytuacjach zagrażających zdrowiu psychicznemu.
- Poszerzenie wiedzy o zachowaniu i zagrożeniach wynikających z zaburzeń oraz o prawidłowych reakcjach w celu ochrony najbliższego otoczenia żołnierza.
- Zdobycie umiejętności udzielenia podstawowego wsparcia i pierwszej pomocy psychologicznej osobom poszkodowanym.
- Zdobycie umiejętności udzielania specjalistycznego wsparcia medyczno- psychologicznego.

Program obejmuje zajęcia praktyczne i warsztaty w grupie maksymalnie do 20 osób w formie 2-dniowego bloku zajęciowego. Program zaplanowany został na lata 2012–2015. W całości finansowany ma być ze środków Ministerstwa Obrony Narodowej. Na roczny okres realizacji przeznaczono 720 000 zł, natomiast na okres czterech lat budżet programu wynosi: 2 880 000 zł.

Problem zdrowotny

Problem stresu bojowego, jego bliższe i dalsze konsekwencje, są przedmiotem badań psychicznych i psychiatrycznych, również w Polsce, przez wzgląd na udział polskich żołnierzy (od 1953 roku) w operacjach wojennych. Wpływ stresu wojennego (traumy wojennej) na zachowanie nazwano zespołem stresu pourazowego (Post Traumatic Stress Disorder – PTSD). Z uwagi na coraz liczniejszy udział polskich żołnierzy w misjach poza granicami kraju zachodzi konieczność stworzenia programów profilaktycznych, które stanowiłyby kompleksowe uzupełnienie działań psychologicznych wśród żołnierzy. W latach 2006-2010 w Klinice Psychiatrii i Stresu Bojowego Wojskowego Instytutu Medycznego w Warszawie hospitalizowano łącznie 144 weteranów Polskich Kontyngentów Wojskowych. Spośród nich 35 (24,3%) pełniło służbę w PKW Afganistan. Większość weteranów skierowano do Kliniki z powodu pogorszenia stanu zdrowia w ciągu kilku tygodni lub miesięcy od powrotu do kraju. Tylko ok. 10% było ewakuowanych bezpośrednio z rejonu misji. U 67,7% hospitalizowanych rozpoznano zaburzenia związane ze stresem, w tym u 40,2% PTSD. Stres pourazowy to długotrwałe zmiany psychiczne, rozwijające się od kilku dni do 6 miesięcy (lub nawet później) po traumatycznym zdarzeniu. Jego najbardziej typowe objawy to powracające obrazy, natarczywe myśli, koszmary senne, stały strach, bezsenność i niemożność koncentracji. Objawem szczególnym świadczącym o sile traumy jest zjawisko tzw. dysocjacji, tj. zaburzeń orientacji, poczucia nierealności, ośłupienia, a nawet zaburzeń świadomości. PTSD jest procesem, który ma w swoim przebiegu następując etapy:

- 1) ostrą reakcję pourazową,
- 2) chroniczną reakcję na traumatyczne zdarzenie,
- 3) adaptację organizmu do znoszenia PTSD.

Cechą charakterystyczną PTSD jest fakt długotrwałego występowania reakcji po pewnym okresie inkubacji objawów. Niemniej jednak PTSD rzadko rozwija się jako samodzielny zespół zaburzeń.

Zwykle towarzyszą mu depresje, fobie, narkomania (lekomania), alkoholizm, dysfunkcje seksualne, próby samobójcze oraz „syndrom ocalonego”. Nie pozostaje wątpliwości, iż stres pola walki jest czynnikiem znacznie obniżającym kondycję psychofizyczną żołnierza, a także możliwości bojowe wojsk. O stanach czy zaburzeniach reaktywnych mówi się tradycyjnie w przypadkach objawów wywołanych przez uraz psychiczny (psychotrauma). Obecnie podejście do tych zaburzeń jest szersze i uwzględnia zespoły psychopatologiczne, które trudno byłoby jednoznacznie określić jako psychozy. W klasyfikacji ICD-10 zrezygnowano z podziału na psychozy i nerwice. W polskiej psychiatrii podział ten jednak się utrzymuje. Zaburzenia reaktywne w klasyfikacji ICD-10 znalazły się w rozdziale F43 „Reakcja na ciężki stres i zaburzenia adaptacyjne”. Zaszeregowanie nozologiczne zaburzeń reaktywnych według kryteriów tradycyjnych oznacza, iż należą one do objawów psychopatologicznych egzogennych (w odróżnieniu do endogennych), lecz psychosocjogennych, a nie somatogennych.

Alternatywne świadczenia

Nie dotyczy.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

Wnioski z oceny problemu zdrowotnego

Wszyscy żołnierze zarówno przed wyjazdem, jak i po powrocie z misji poza granicami kraju są poddawani badaniom, których zakres określają załączniki do rozporządzenia ministra obrony narodowej z dnia 16 czerwca 2004 r. w sprawie badań lekarskich żołnierzy zawodowych skierowanych do służby poza granicami państwa oraz powracających do kraju po zakończeniu tej służby (Dz. U. Nr 148, poz. 1557). Zakres badań lekarskich żołnierzy zawodowych skierowanych do służby poza granicami państwa określa załącznik nr 2 do rozporządzenia. W trakcie badań prowadzone jest m. In. badanie psychiatryczne w powiązaniu z opinią psychologiczną. W ramach wywiadu psychologicznego należy wypełnić „Kwestionariusz do wstępnej oceny stanu zdrowia psychicznego żołnierzy zawodowych skierowanych do służby poza granicami państwa”, którego wzór stanowi załącznik nr 7 do rozporządzenia. Natomiast diagnostyczne badanie psychologiczne uwzględnia określenie cech osobowości, ze szczególnym uwzględnieniem funkcjonowania w sytuacjach trudnych, doświadczeń urazowych, a także określenie poziomu dojrzałości społecznej. Ponadto zakres badań psychologicznych może zostać poszerzony, jeżeli psycholog uzna to za niezbędne dla prawidłowej oceny funkcjonowania psychologicznego danej osoby. Po powrocie z misji żołnierz kierowany jest ponownie na badania, w tym na badanie psychiatryczne wraz z oceną psychologiczną. W ramach wywiadu psychologicznego żołnierz wypełnia „Kwestionariusz do wstępnej oceny stanu zdrowia psychicznego żołnierzy zawodowych po zakończeniu służby poza granicami państwa”, którego wzór stanowi załącznik nr 9 do rozporządzenia. Diagnostyczne badania psychologiczne uwzględniają określenie poziomu funkcjonowania w odniesieniu do doświadczeń urazowych w czasie misji, radzenie sobie w sytuacjach trudnych, występowania cech zaburzeń stresowych (ASD, ostre zaburzenie stresowe; PTSD). Ponadto zakres badań psychologicznych może zostać poszerzony, jeżeli psycholog uzna to za niezbędne dla prawidłowej oceny funkcjonowania psychologicznego danej osoby. W przypadku stwierdzenia konieczności jakiegokolwiek leczenia, w tym leczenia psychiatrycznego i opieki psychologicznej, każdemu żołnierzowi zapewnia się stosowną opiekę. Jest ona realizowana na bazie placówek wojskowej służby zdrowia, szpitali i przychodni lekarskich.

Inną formą pomocy żołnierzom wracającym z misji poza granicami państwa, w ramach programu osłony psychologicznej, są 14-dniowe turnusy leczniczo-profilaktyczne organizowane na podstawie art. 67 ustawy z dnia 11 września 2003 r. o służbie wojskowej żołnierzy zawodowych (Dz. U. z 2008 r. Nr 141, poz. 892, ze zm.) oraz § 10 rozporządzenia w sprawie badań lekarskich żołnierzy zawodowych skierowanych do służby poza granicami państwa oraz powracających do kraju po zakończeniu tej służby. Na turnusy kieruje się żołnierzy zawodowych, po ich powrocie do kraju, którzy: są chorzy lub ranni po wyleczeniu; doznali urazu psychicznego; pozostają w stanie psychofizycznym wymagającym tej formy pomocy. Żołnierze korzystają z tej formy pomocy nieodpłatnie. W trakcie turnusów realizowany jest program treningu antystresowego, tj. działania prowadzone przez psychologów

i lekarzy psychiatrów, mające na celu minimalizowanie ryzyka wystąpienia bądź pogłębienia się zaburzeń natury psychicznej. Ramowy program turnusu leczniczo-profilaktycznego został przedstawiony w załączniku nr 14 do rozporządzenia. "Trening antystresowy" składa się z następujących części: sesje relaksacyjne; sesje zajęć grupowych (np. zajęcia psychoedukacyjne, warsztatowe, grupa wsparcia); sesje indywidualne z psychologiem i/lub lekarzem psychiatrą; zabiegi rehabilitacyjne; fakultatywne zajęcia wieczorne.

Ponadto MON realizuje „Program osłony psychologicznej uczestników misji poza granicami państwa i ich rodzin”. Program ma na celu zapewnić wsparcie i monitoring, który pomoże w zapobieganiu powstawaniu urazów psychicznych lub/i zespołów dezadaptacyjnych, a także dostarczy fachowej pomocy w wychodzeniu z kryzysu, jeżeli do takiego dojdzie. Program osłony psychologicznej żołnierzy i pracowników wojska pełniących służbę poza granicami państwa i ich rodzin ujednocza, integruje i intensyfikuje działania pomocowe. W ramach programu prowadzone są działania szkoleniowe, treningowe i pomocowe. W ramach programu zostały wyszczególnione etapy opieki psychologicznej:

- przygotowanie do pełnienia służby poza granicami państwa,
- osłona psychologiczna podczas misji nad żołnierzami i pracownikami oraz ich rodzinami w kraju,
- działania profilaktyczne i kontrolne po zakończeniu misji.

W ramach pierwszego etapu, tj. przygotowania do pełnienia służby poza granicami państwa prowadzone jest wstępna kwalifikacja psychologów i żołnierzy do udziału w misji, prowadzone jest szkolenie przygotowawcze dla psychologów, dowódców, żołnierzy i ich rodzin. Szkolenie psychologiczne żołnierzy zakwalifikowanych do udziału w misji trwa 8 godzin. Szkolenie to stanowi praktyczne uzupełnienie programu szkolenia żołnierzy zawodowych w zakresie kształcenia obywatelskiego oraz profilaktyki i dyscypliny wojskowej. Tematyka szkolenia obejmuje przypomnienie wiadomości na temat czynników wpływających na funkcjonowanie żołnierza podczas misji, procesu adaptacji, stresu psychologicznego, kształtowania kompetencji antystresowych, modelowania zachowań i postaw żołnierza w trakcie incydentów krytycznych (sytuacje zakładnicze), funkcjonowania w zespole, radzenia sobie w sytuacjach kryzysowych oraz radzenia sobie z problemami rozłąki. Trzon szkolenia powinny stanowić zajęcia w formie ćwiczeń i treningów z ww. problematyki, zwłaszcza w zakresie kształtowania kompetencji radzenia sobie ze stresem (szczepienie stresem).

Z odnalezionych dowodów można wyciągnąć następujące zalecenia dla planujących interwencje w kierunku edukacji w zespołach zaburzeń stresu pourazowego:

- W zawodach wysokiego ryzyka, w których prawdopodobieństwo narażenia na zdarzenia traumatyczne jest wysokie lub umiarkowane, powinno się podjąć kroki mające na celu zwiększenie psychicznej odporności pracowników na negatywne skutki ekspozycji na traumę.
- Edukacja powinna dotyczyć zarówno objawów PTSD jak i trening umiejętności radzenia sobie ze stresem.
- Edukacja zarówno przed i po zdarzeniu traumatycznym powinna obejmować pomoc osobom bezobjawowym w zrozumieniu, że ostra reakcja stresowa innych ludzi jest powszechna, prawdopodobnie przejściowa i nie wskazuje na słabość charakteru, niepowodzenie, chorobę psychiczną czy inne problemy zdrowotne.
- Edukacja powinna obejmować wystarczająco dużo informacji dotyczących różnego przebiegu zaburzeń poststresowych. Informacje te powinny obejmować objawy ASD/PTSD, problemy behawioralne z rodziną i przyjaciółmi, problemy zawodowe, potencjalny wpływ na używanie/nadużywanie alkoholu i innych środków.
- Edukacja powinna obejmować informacje na temat pozytywnych skutków zidentyfikowania PTSD i dostarczać metod strategii radzenia sobie z problemami i narzędzi służących powracaniu do zdrowia.
- Powinno się dostarczyć informacji kontaktowych.
- Po narażeniu na zdarzenie traumatycznie jedną z metod zaspokojenia podstawowych potrzeb jednostki jest udzielanie pierwszej pomocy psychologicznej.

- Systematyczny skryning potencjalnie odgrywa istotną rolę w identyfikowaniu ASD lub PTSD. Niemniej jednak powinno się wziąć pod uwagę fakt, iż pojawienie się objawów może być odroczone w czasie, co przemawia za wartością doroczej oceny zdrowia nad i poza początkowym skryningiem.
- Tylko indywidualne podejście zarówno w aspekcie edukacyjnych jak i interwencjach psychologicznych przynieść może korzyści pacjentowi,
- Brak jest dowodów na to, że pojedyncza sesja terapeutyczno-psychologiczna jest przydatna w zapobieganiu PTSD
- Rutynowa interwencja psychologiczna po przeżyciach traumatycznych nie powinna być stosowana u każdego. Należy zwrócić uwagę, że w przypadku niektórych osób wielosejnyne interwencje psychologiczne mogą na nie oddziaływać negatywnie.

Wnioski z oceny programu Ministerstwa Obrony Narodowej

Przedmiotowy projekt programu zdrowotnego, za główny cel przyjmuje zapobieganie skutkom traumy wojennej poprzez wzmocnienie odporności psychicznej jednostki, co realizuje cele i zadania narzucone na Ministra Obrony Narodowej przez Narodowy Program Ochrony Zdrowia Psychicznego. W szczególności realizuje cel główny – promocję zdrowia psychicznego i zapobieganie zaburzeniom psychicznym.

Autorzy opiniowanego projektu, podają, że proponowana przez nich tematyka warsztatów nie ma charakteru obligatoryjnego, a przedstawione zagadnienia mają charakter modelowy i mogą być modyfikowane przez specjalistów danego podmiotu leczniczego w oparciu o doświadczenia własne oraz w zależności od potrzeb uczestników. Z jednej strony postępowanie takie pozwala na podążanie za potrzebami uczestników. Z drugiej strony brak określenia pewnych stałych wymaganych elementów może stać się przyczyną niskiej jakości warsztatów, co może przełożyć się na uzyskiwane efekty.

Monitorowanie przyjęte w projekcie programu zdrowotnego służy jedynie monitorowaniu realizacji oraz w niewielkim stopniu jakości zajęć. Program nie przewiduje monitorowania efektywności programu, które to pozwoliłoby ocenić czy zostały osiągnięte założone cele.

Aby sprawdzić czy główny cel został osiągnięty należałoby przeprowadzić ocenę po czasie w jakim mogą wystąpić objawy PTSD, a otrzymaną liczbę osób z objawami PTSD porównać z wynikami sprzed realizacji programu. Można również porównywać liczby osób kierowanych do leczenia lub turnusy leczniczo-profilaktyczne sprzed i po wprowadzeniu programu.

Przedmiotowy projekt jest zgodny z odnalezionymi wytycznymi klinicznymi – daje żołnierzom możliwość wzmocnienia odporności psychicznej przed narażeniem na zdarzenie traumatyczne, a także pozwala żołnierzom po powrocie z misji zidentyfikować u siebie niepokojące objawy i na wczesnym etapie zwrócić się po specjalistyczną pomoc. Odnalezione wytyczne kliniczne kompleksowo podchodzą do problematyki PTSD, opisując szeroko skryning, diagnostykę czy w końcu leczenie. Przedmiotowy program wpisuje się w profilaktykę I rzędową (edukacja i trening wzmacniający odporność psychiczną).

W jednej z opinii eksperta dołączonych do przedmiotowego programu, pojawia się informacja, że programy tego typu powinny być bardziej kompleksowe i swoim zakresem obejmować także profilaktykę II (skryning objawów PTSD, edukacja dotycząca dodatkowej pomocy i udzielanie informacji kontaktowych) i III rzędu (zapobieganie rozwojowi PTSD), a także dotyczyć tematyki funkcjonowania na misji, akulturacji itp.

Niemniej jednak, należy pamiętać, iż przedmiotowy program jest komplementarny do „Programu osłony psychologicznej uczestników misji poza granicami państwa i ich rodzin”, a także, że żołnierze wracający z misji mają możliwość uczestniczenia w turnusach leczniczo-profilaktycznych – te właśnie działania pozwalają na realizację zadań rekomendowanych w wytycznych, które należą już do profilaktyki wyższego rzędu.

Na czteroletni okres realizacji (2012–2015) przeznaczono 2 880 000 zł ze środków Ministra Obrony Narodowej.

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 pomocy i edukacji w zespołach zaburzeń stresu pourazowego w ujęciu psychologiczno - psychiatrycznym” nr: AOTM-OT-440-5/2012, Warszawa, październik 2012 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 93/2012 z dnia 15 października 2012 r.
w sprawie zasadności finansowania

leku Nplate (romiplostym, EAN: 5909990766994) we wskazaniu:
Leczenie pierwotnej małopłytkowości immunologicznej z
wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji
podskórnej – zmodyfikowany program lekowy (II)

Rada uważa za niezasadne finansowanie leku Nplate (romiplostym, EAN: 5909990766994) we wskazaniu: leczenie pierwotnej małopłytkowości immunologicznej z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej w ramach proponowanego programu lekowego.

Uzasadnienie

Zdaniem Rady kryteria włączenia do proponowanego programu lekowego są zbyt szerokie. W szczególności program dopuszcza stosowanie romiplostymu u chorych, u których wystąpiła niedostateczna odpowiedź na inne sposoby leczenia (np. kortykosteroidy, immunoglobuliny) nie warunkując włączenia do programu wykonaniem splenektomii. Zdaniem ekspertów u większości chorych z małopłytkowością immunologiczną możliwe jest bezpieczne wykonanie splenektomii np. na drodze laparoskopowej. Oszacowania efektywności kosztowej romiplostymu są mało wiarygodne ze względu na założenie wysokich kosztów komparatorów. Dane kliniczne dotyczące skuteczności leczenia romiplostymem oparte są o badanie o bardzo niskiej liczebności i tym samym małej wiarygodności.

Przedmiot wniosku

Przedmiotem wniosku jest finansowanie produktu leczniczego Nplate (romiplostym) w ramach programu lekowego „Leczenie pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (kod ICD-10: D.69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej (grupa farmakoterapeutyczna: leki przeciwkrwotoczne; kod ATC: B02BX04) – zmodyfikowany program lekowy (II)”.

Lek ten był wcześniej przedmiotem oceny AOTM. Rada Konsultacyjna w stanowisku nr 19/06/2010 z dnia 15.03.2010 uznała za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie samoistnej plamicy małopłytkowej przy wykorzystaniu produktu leczniczego romiplostym (Nplate) w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia”, jako świadczenia gwarantowanego, pod warunkiem jego stosowania jedynie u dorosłych pacjentów z przewlekłą samoistną (idiopatyczną) plamicą małopłytkową, u których wykonano zabieg splenektomii i którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia (np. terapia kortykosteroidami, immunoglobulinami).



Rada Przejrzystości dnia 01.10.2012 wydała stanowiska nr 84/2012 oraz 85/2012 w sprawie zasadności finansowania leku Revolade we wskazaniu leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną: „Rada uważa za niezasadne finansowanie produktu leczniczego Revolade (eltrombopag) we wskazaniu: leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną produktem leczniczym Revolade (eltrombopag).”

Wniosek dotyczy objęcia refundacją następujących dawek i opakowań produktu leczniczego:

- Nplate (romiplostym), proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia roztworu do wstrzykiwań, 500 µg, 1 szt., EAN: 5909990767021 oraz
- Nplate (romiplostym), proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia roztworu do wstrzykiwań, 250 µg, 1 szt., EAN: 5909990766994,

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Nplate (romiplostym), proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia roztworu do wstrzykiwań, 250 µg, 1 szt., EAN: 5909990766994.

Problem zdrowotny

Klasyfikacja ICD10 D69.3 – Samoistna/pierwotna plamica małopłytkowa.

Pierwotna małopłytkowość immunologiczna (ITP, *immune thrombocytopenic purpura*) to choroba, w której dochodzi do niewyjaśnionego innymi przyczynami spadku liczby płytek krwi poniżej 100 000/µl. W efekcie zwykle pojawiają się objawy krwotoczne, charakterystyczne dla wszystkich typów małopłytkowości.

Dane dotyczące zachorowalności i częstości występowania samoistnej plamicy małopłytkowej są skąpe i pochodzą głównie z Danii i Anglii. Roczna zachorowalność na ITP w populacji osób dorosłych wynosi około 2/100 000, wzrasta z wiekiem, jest nieznacznie większa u kobiet. Roczna zachorowalność na ITP w Polsce, oszacowana na podstawie badania PLATE, wynosi 3,5/100 000.

Objawy ITP mogą być różne – od łagodnych, niezaburzających codziennego funkcjonowania krwawień do groźnych dla życia krwotoków. Nie zawsze korelują one z liczbą płytek krwi. Część chorych na ITP skarży się na znaczne zmęczenie. Nie wyjaśniono, dlaczego zmniejszenie liczby płytek krwi powoduje zmęczenie. Bywa ono obecne nawet u tych chorych, którzy nie mają objawów krwotocznych.

Główne metody leczenia ITP mają na celu zahamowanie produkcji przeciwciał lub zmniejszenie ich niszczenia w śledzionie. Samoistne remisje – spontaniczna poprawa występuje u mniej niż 5% chorych nieleczonych. Badania wskazują jednak, że choć główną przyczyną powikłań ITP są krwawienia, to śmiertelność z tego powodu nie przekracza 1%, oraz że choroba w większości przypadków nie ma gwałtownego przebiegu i zazwyczaj nie zagraża życiu chorych. U pacjentów dorosłych ITP ma charakter przewlekły, z okresami remisji oraz zaostrzeń. Nasilenie objawów jest zmienne i waha się od łagodnych – przyjmujących postać niewielkich rozmiarów zasinień skórnych i krwawień z dziąseł, do zagrażających życiu krwotoków do centralnego układu nerwowego oraz układu pokarmowego.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Grupa farmakoterapeutyczna: leki przeciwkrwotoczne; kod ATC: B02BX04

Nplate (romiplostym) jest białkiem fuzyjnym (przeciwciałem) złożonym z peptydu przyłączonego do fragmentu Fc, które sygnalizuje i aktywuje za pomocą receptora trombopoetyny wewnątrzkomórkowe szlaki transkrypcji, zwiększając w ten sposób wytwarzanie płytek krwi. Częsteczką przeciwciała składa się z domeny Fc ludzkiej

immunoglobuliny klasy IgG1, której jednołańcuchowe podjednostki przyłączone są za pomocą wiązania kowalencyjnego do końca C łańcucha peptydowego, zawierającego 2 domeny wiążące receptory trombopoetyny.

Zarejestrowanymi wskazaniami są:

- leczenie dorosłych pacjentów z przewlekłą pierwotną małopłytkowością immunologiczną (idiopatyczną), u których wykonano splenektomię i którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia (np. terapia kortykosteroidami, immunoglobulinami).
- Leczenie drugiego rzutu u dorosłych pacjentów, u których nie wykonano splenektomii i u których operacja ta jest przeciwwskazana.

Lek został dopuszczony do obrotu na terenie UE dnia 27 marca 2005.

Alternatywne technologie medyczne

Jako komparatory dla romipolstymu w populacji dorosłych z przewlekłą pierwotną małopłytkowością immunologiczną (po niepowodzeniu wcześniejszej terapii kortykosteroidami lub immunoglobulinami, braku odpowiedzi na splenektomię lub z przeciwwskazaniami do tego zabiegu) w analizie wnioskodawcy wskazano eltrombopag oraz placebo. Według opinii analityków wnioskodawca dokonał poprawnego wyboru komparatorów.

W tym wskazaniu refundowane są również leki zawierające następujące substancje czynne: ciclosporinum, cyclophosphamidum, danazolium, prednisonum, azathioprinum, methylprednisolonum, vincristini sulfas.

Skuteczność kliniczna

Celem analizy była ocena efektywności klinicznej preparatu romiplostym (ROM, Nplate) w porównaniu z eltrombopagiem (ELT) w leczeniu dorosłych pacjentów z przewlekłą pierwotną małopłytkowością immunologiczną (idiopatyczną) (ITP), u których:

- wykonano splenektomię i którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia (np. terapia kortykosteroidami, immunoglobulinami);
- nie wykonano splenektomii, gdyż operacja ta jest u nich przeciwwskazana.

Nie odnaleziono badań umożliwiających bezpośrednie porównanie ROM z ELT. Odnaleziono badania RCT porównujące ROM z placebo (PL) oraz badanie porównujące ELT z PL. Przeprowadzono jakościową i ilościową syntezę wyników, porównujących ROM z PL i ELT z PL oraz pośrednią analizę porównawczą ROM z ELT.

Analiza pośrednia została przeprowadzona w oparciu o badania [REDAKTOWANE]. Przeprowadzono odrębne analizy dla trzech subpopulacji: [REDAKTOWANE]

Analiza została przeprowadzona w oparciu o następujące punkty końcowe: [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] Nie uwzględniono następujących punktów końcowych: [REDAKTOWANE]

Należy również zwrócić uwagę na różnice w charakterystyce pacjentów włączonych do badań [REDAKTOWANE]. Do badania [REDAKTOWANE] włączono znaczną liczbę pacjentów [REDAKTOWANE]. Do [REDAKTOWANE]

badania włączono osoby, u których

Porównywane interwencje różnią się pod względem drogi podania i schematu dawkowania. Romiplostym jest stosowany raz w tygodniu jako wstrzyknięcie podskórne, natomiast eltrombopag w postaci tabletek doustnych, raz na dobę.

W porównaniu bezpośrednim romiplostymu z placebo (ROM vs PL) otrzymano następujące wyniki dla populacji łącznej. Dla punktu końcowego

Dla pozostałych ocenianych punktów końcowych nie otrzymano wyników istotnych statystycznie.

Skuteczność praktyczna

Nie oceniano skuteczności praktycznej.

Bezpieczeństwo stosowania

Na podstawie retrospektywnego badania obserwacyjnego najczęściej obserwowanymi działaniami niepożądanymi były:

Według ChPL bardzo często występującymi działaniami niepożądanymi ($\geq 1/10$) był ból głowy. Często ($\geq 1/100$ do $< 1/10$) mogą wystąpić również takie działania niepożądane jak: zaburzenia dotyczące szpiku kostnego, małopłytkowość po odstawieniu leczenia, nudności, biegunka, ból brzucha, zaparcia, niestrawność.

Pośrednie porównanie przeprowadzone w analizie wnioskodawcy wykazało istotną statystycznie różnicę na korzyść eltrombopagu dla wystąpienia bólów głowy i bezsenności, natomiast przeprowadzona analiza statyczna dla częstości rezygnacji pacjentów z badania ogółem wskazała na istotną różnicę pomiędzy ocenianymi lekami na korzyść romiplostymu.

Wyniki pośredniej analizy porównawczej w przypadku pozostałych działań niepożądanych nie wykazały istotności statystycznej.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Podczas oceny analizy ekonomicznej w AOTM podjęto wątpliwości dotyczące potencjalnych błędów w modelu wnioskodawcy, w związku z czym stwierdzono brak podstaw do wykonania samodzielnych obliczeń z wykorzystaniem kalkulatora wnioskodawcy; ponadto dane dotyczące kosztów poszczególnych leków uwzględnionych w ramach „postępowania standardowego” (komparator w analizie) są aktualne na dzień składania wniosku, natomiast nie na moment jego oceny.

Celem analizy ekonomicznej była ocena opłacalności leczenia przewlekłej pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ITP, ang. Idiopathic Thrombocytopenic Purpura) z zastosowaniem romiplostymu w ramach programu lekowego u pacjentów, u których wykonano splenektomię, którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia (np. terapia kortykosteroidami, immunoglobulinami), oraz pacjentów, u których z powodu przeciwwskazań nie wykonano splenektomii. Porównywano romiplostym z terapią standardową opisaną przez eksperta klinicznego.

W analizie koszty-użyteczność wnioskodawca wykazał, iż terapia romiplostymem jest terapią [REDAKTOWANE] zarówno w porównaniu do leczenia standardowego, jak i w porównaniu z eltrombopagiem. W przypadku porównania z leczeniem standardowym koszt inkrementalny wynosi odpowiednio w przyp. pacjentów bez splenektomii oraz po splenektomii: [REDAKTOWANE] PLN oraz [REDAKTOWANE]. PLN przy inkrementalnym efekcie QALY odpowiednio 1,19 oraz 0,86. W przypadku porównania z leczeniem eltrombopagiem koszt inkrementalny wynosi odpowiednio [REDAKTOWANE] PLN oraz [REDAKTOWANE] PLN przy inkrementalnym efekcie QALY odpowiednio [REDAKTOWANE] oraz [REDAKTOWANE].

Największy udział w całkowitych wydatkach związanych z zastosowaniem romiplostymu poprzedzającego standardową ścieżkę terapeutyczną w przypadku porównania romiplostymu do standardowej ścieżki leczenia mają koszty [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] W przypadku leczenia standardowego największy udział w leczeniu mają koszty związane z leczeniem [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] W przypadku porównania kosztów związanych z zastosowaniem romiplostymu vs eltrombopagu koszty romiplostymu stanowią odpowiednio [REDAKTOWANE] w przypadku leczenia pacjentów bez splenektomii i [REDAKTOWANE] w przypadku leczenia pacjentów po splenektomii. Koszty związane z postępowaniem

[REDAKTOWANE]

Odnaleziono 8 opublikowanych analiz farmakoekonomicznych oraz przegląd NICE 2011, oceniające kosztową efektywność stosowania romiplostymu w leczeniu ITP.

Wpływ na budżet płatnika

Należy mieć na uwadze fakt, iż oszacowania wpływu na budżet NFZ przedstawione w analizie BIA wnioskodawcy, oparte są na nieaktualnych obecnie danych dotyczących kosztów poszczególnych leków (z uwagi na zmianę zarządzenia Prezesa NFZ nr 41/2012/DGL z 10 lipca 2012 roku) oraz błędnych wyliczeniach dotyczących dawkowania leków.

Celem analizy wpływu na budżet było oszacowanie konsekwencji finansowych dla systemu ochrony zdrowia w Polsce wprowadzenia refundacji romiplostymu w ramach przedmiotowego programu lekowego. Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) dla dwuletniego horyzontu czasowego.

W analizie wnioskodawcy oszacowano (na podstawie projektu badawczego [redacted]), iż docelowa populacja pacjentów, u których może być stosowany Nplate, to [redacted]

[redacted] W pierwszym roku do terapii przystąpi wg analiz 157 [redacted] W drugim roku funkcjonowania programu leczeniem z zastosowaniem produktu Nplate objętych będzie [redacted]

W przypadku objęcia refundacją romiplostymu w programie lekowym leczenia pacjentów z przewlekłą pierwotną małopłytkowością immunologiczną, u których nie wykonano zabiegu splenektomii, wydatki NFZ związane z realizacją programu wnioskodawca szacuje w sposób następujący:

- w pierwszym roku realizacji programu: [redacted]
- w drugim roku realizacji: [redacted]

W przypadku pacjentów, u których wykonano zabieg splenektomii, wnioskodawca szacuje wydatki następująco:

- w pierwszym roku realizacji programu: [redacted]
- w drugim roku realizacji: [redacted]

Wydatki inkrementalne w związku z realizacją programu obejmującego zarówno pacjentów bez splenektomii, jak i tych, u których zabieg wykonano, wnioskodawca szacuje następująco:

- w pierwszym roku [redacted]
- w drugim roku [redacted]

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

W analizie racjonalizacyjnej przedstawiono oszczędności wynikające ze zmiany struktury sprzedaży w grupie limitowej [redacted] (wskazanie niezwiązane z wnioskowanym). Wygenerowanie oszczędności powinno nastąpić dzięki częstszemu korzystaniu przez pacjentów w obrębie danej grupy limitowej z leków o cenie detalicznej niższej od limitu.

Zaproponowane działania zmierzające do upowszechnienia informacji o istnieniu tańszych od limitu odpowiedników to:

[redacted]

[redacted]

[redacted]

Wygenerowane oszczędności w wysokości [REDAKTOWANE] znacząco przewyższającą szacowane maksymalne roczne koszty refundacji produktu leczniczego Nplate wykazane w przedłożonej analizie wpływu na budżet płatnika [REDAKTOWANE]

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Odnaleziono 2 pozytywne rekomendacje kliniczne dotyczące romiplostymu wydane przez NICE oraz SMC.

W przypadku rekomendacji refundacyjnych PBAC wydał rekomendację pozytywną, natomiast CEDAC nie rekomendował finansowania romiplostymu z uwagi na brak kosztowej efektywności w porównaniu z terapią standardową.

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

[REDAKTOWANE]

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-DS-4351-2 /2012, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Nplate (romiplostym) we wskazaniu: Leczenie pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (kod ICD-10: D.69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej (grupa farmakoterapeutyczna: leki przeciwkrwotoczne; kod ATC: B02BX04) – zmodyfikowany program lekowy (II)”, Warszawa, dnia 05.10.2012 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 94/2012 z dnia 15 października 2012 r.
w sprawie zasadności finansowania

leku Nplate (romiplostym, EAN: 5909990767021) we wskazaniu:
Leczenie pierwotnej małopłytkowości immunologicznej z
wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji
podskórnej – zmodyfikowany program lekowy (II)

Rada uważa za niezasadne finansowanie leku Nplate (romiplostym, EAN: 5909990767021) we wskazaniu: leczenie pierwotnej małopłytkowości immunologicznej z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej w ramach proponowanego programu lekowego.

Uzasadnienie

Zdaniem Rady kryteria włączenia do proponowanego programu lekowego są zbyt szerokie. W szczególności program dopuszcza stosowanie romiplostymu u chorych, u których wystąpiła niedostateczna odpowiedź na inne sposoby leczenia (np. kortykosteroidy, immunoglobuliny) nie warunkując włączenia do programu wykonaniem splenektomii. Zdaniem ekspertów u większości chorych z małopłytkowością immunologiczną możliwe jest bezpieczne wykonanie splenektomii np. na drodze laparoskopowej. Oszacowania efektywności kosztowej romiplostymu są mało wiarygodne ze względu na założenie wysokich kosztów komparatorów. Dane kliniczne dotyczące skuteczności leczenia romiplostymem oparte są o badanie o bardzo niskiej liczebności i tym samym małej wiarygodności.

Przedmiot wniosku

Przedmiotem wniosku jest finansowanie produktu leczniczego Nplate (romiplostym) w ramach programu lekowego „Leczenie pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (kod ICD-10: D.69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej (grupa farmakoterapeutyczna: leki przeciwkrwotoczne; kod ATC: B02BX04) – zmodyfikowany program lekowy (II)”.

Lek ten był wcześniej przedmiotem oceny AOTM. Rada Konsultacyjna w stanowisku nr 19/06/2010 z dnia 15.03.2010 uznała za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie samoistnej plamicy małopłytkowej przy wykorzystaniu produktu leczniczego romiplostym (Nplate) w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego Narodowego Funduszu Zdrowia”, jako świadczenia gwarantowanego, pod warunkiem jego stosowania jedynie u dorosłych pacjentów z przewlekłą samoistną (idiopatyczną) plamicą małopłytkową, u których wykonano zabieg splenektomii i którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia (np. terapia kortykosteroidami, immunoglobulinami).



Rada Przejrzystości dnia 01.10.2012 wydała stanowiska nr 84/2012 oraz 85/2012 w sprawie zasadności finansowania leku Revolade we wskazaniu leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną: „Rada uważa za niezasadne finansowanie produktu leczniczego Revolade (eltrombopag) we wskazaniu: leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną produktem leczniczym Revolade (eltrombopag).”

Wniosek dotyczy objęcia refundacją następujących dawek i opakowań produktu leczniczego:

- Nplate (romiplostym), proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia roztworu do wstrzykiwań, 500 µg, 1 szt., EAN: 5909990767021 oraz
- Nplate (romiplostym), proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia roztworu do wstrzykiwań, 250 µg, 1 szt., EAN: 5909990766994,

Niniejsze stanowisko dotyczy produktu Nplate (romiplostym), proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia roztworu do wstrzykiwań, 500 µg, 1 szt., EAN: 5909990767021.

Problem zdrowotny

Klasyfikacja ICD10 D69.3 – Samoistna/pierwotna plamica małopłytkowa.

Pierwotna małopłytkowość immunologiczna (ITP, *immune thrombocytopenic purpura*) to choroba, w której dochodzi do niewyjaśnionego innymi przyczynami spadku liczby płytek krwi poniżej 100 000/µl. W efekcie zwykle pojawiają się objawy krwotoczne, charakterystyczne dla wszystkich typów małopłytkowości.

Dane dotyczące zachorowalności i częstości występowania samoistnej plamicy małopłytkowej są skąpe i pochodzą głównie z Danii i Anglii. Roczna zachorowalność na ITP w populacji osób dorosłych wynosi około 2/100 000, wzrasta z wiekiem, jest nieznacznie większa u kobiet. Roczna zachorowalność na ITP w Polsce, oszacowana na podstawie badania PLATE, wynosi 3,5/100 000.

Objawy ITP mogą być różne – od łagodnych, niezaburzających codziennego funkcjonowania krwawień do groźnych dla życia krwotoków. Nie zawsze korelują one z liczbą płytek krwi. Część chorych na ITP skarży się na znaczne zmęczenie. Nie wyjaśniono, dlaczego zmniejszenie liczby płytek krwi powoduje zmęczenie. Bywa ono obecne nawet u tych chorych, którzy nie mają objawów krwotocznych.

Główne metody leczenia ITP mają na celu zahamowanie produkcji przeciwciał lub zmniejszenie ich niszczenia w śledzionie. Samoistne remisje – spontaniczna poprawa występuje u mniej niż 5% chorych nieleczonych. Badania wskazują jednak, że choć główną przyczyną powikłań ITP są krwawienia, to śmiertelność z tego powodu nie przekracza 1%, oraz że choroba w większości przypadków nie ma gwałtownego przebiegu i zazwyczaj nie zagraża życiu chorych. U pacjentów dorosłych ITP ma charakter przewlekły, z okresami remisji oraz zaostrzeń. Nasilenie objawów jest zmienne i waha się od łagodnych – przyjmujących postać niewielkich rozmiarów zasinień skórnych i krwawień z dziąseł, do zagrażających życiu krwotoków do centralnego układu nerwowego oraz układu pokarmowego.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Grupa farmakoterapeutyczna: leki przeciwkrwotoczne; kod ATC: B02BX04

Nplate (romiplostym) jest białkiem fuzyjnym (przeciwciałem) złożonym z peptydu przyłączonego do fragmentu Fc, które sygnalizuje i aktywuje za pomocą receptora trombopoetyny wewnątrzkomórkowe szlaki transkrypcji, zwiększając w ten sposób wytwarzanie płytek krwi. Częsteczką przeciwciała składa się z domeny Fc ludzkiej

immunoglobuliny klasy IgG1, której jednołańcuchowe podjednostki przyłączone są za pomocą wiązania kowalencyjnego do końca C łańcucha peptydowego, zawierającego 2 domeny wiążące receptory trombopoetyny.

Zarejestrowanymi wskazaniami są:

- leczenie dorosłych pacjentów z przewlekłą pierwotną małopłytkowością immunologiczną (idiopatyczną), u których wykonano splenektomię i którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia (np. terapia kortykosteroidami, immunoglobulinami).
- Leczenie drugiego rzutu u dorosłych pacjentów, u których nie wykonano splenektomii i u których operacja ta jest przeciwwskazana.

Lek został dopuszczony do obrotu na terenie UE dnia 27 marca 2005.

Alternatywne technologie medyczne

Jako komparatory dla romipolstymu w populacji dorosłych z przewlekłą pierwotną małopłytkowością immunologiczną (po niepowodzeniu wcześniejszej terapii kortykosteroidami lub immunoglobulinami, braku odpowiedzi na splenektomię lub z przeciwwskazaniami do tego zabiegu) w analizie wnioskodawcy wskazano eltrombopag oraz placebo. Według opinii analityków wnioskodawca dokonał poprawnego wyboru komparatorów.

W tym wskazaniu refundowane są również leki zawierające następujące substancje czynne: ciclosporinum, cyclophosphamidum, danazolium, prednisonum, azathioprinum, methylprednisolonum, vincristini sulfas.

Skuteczność kliniczna

Celem analizy była ocena efektywności klinicznej preparatu romiplostym (ROM, Nplate) w porównaniu z eltrombopagiem (ELT) w leczeniu dorosłych pacjentów z przewlekłą pierwotną małopłytkowością immunologiczną (idiopatyczną) (ITP), u których:

- wykonano splenektomię i którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia (np. terapia kortykosteroidami, immunoglobulinami);
- nie wykonano splenektomii, gdyż operacja ta jest u nich przeciwwskazana.

Nie odnaleziono badań umożliwiających bezpośrednie porównanie ROM z ELT. Odnaleziono badania RCT porównujące ROM z placebo (PL) oraz badanie porównujące ELT z PL. Przeprowadzono jakościową i ilościową syntezę wyników, porównujących ROM z PL i ELT z PL oraz pośrednią analizę porównawczą ROM z ELT.

Analiza pośrednia została przeprowadzona w oparciu o badania [REDAKTOWANE]. Przeprowadzono odrębne analizy dla trzech subpopulacji: [REDAKTOWANE]

Analiza została przeprowadzona w oparciu o następujące punkty końcowe: [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] Nie uwzględniono następujących punktów końcowych: [REDAKTOWANE]

Należy również zwrócić uwagę na różnice w charakterystyce pacjentów włączonych do badań [REDAKTOWANE]. Do badania [REDAKTOWANE] włączono znaczną liczbę pacjentów [REDAKTOWANE]. Do [REDAKTOWANE]

badania włączono osoby, u których

Porównywane interwencje różnią się pod względem drogi podania i schematu dawkowania. Romiplostym jest stosowany raz w tygodniu jako wstrzyknięcie podskórne, natomiast eltrombopag w postaci tabletek doustnych, raz na dobę.

W porównaniu bezpośrednim romiplostymu z placebo (ROM vs PL) otrzymano następujące wyniki dla populacji łącznej. Dla punktu końcowego

Dla pozostałych ocenianych punktów końcowych nie otrzymano wyników istotnych statystycznie.

Skuteczność praktyczna

Nie oceniano skuteczności praktycznej.

Bezpieczeństwo stosowania

Na podstawie retrospektywnego badania obserwacyjnego najczęściej obserwowanymi działaniami niepożądanymi były:

Według ChPL bardzo często występującymi działaniami niepożądanymi ($\geq 1/10$) był ból głowy. Często ($\geq 1/100$ do $< 1/10$) mogą wystąpić również takie działania niepożądane jak: zaburzenia dotyczące szpiku kostnego, małopłytkowość po odstawieniu leczenia, nudności, biegunka, ból brzucha, zaparcia, niestrawność.

Pośrednie porównanie przeprowadzone w analizie wnioskodawcy wykazało istotną statystycznie różnicę na korzyść eltrombopagu dla wystąpienia bólów głowy i bezsenności, natomiast przeprowadzona analiza statyczna dla częstości rezygnacji pacjentów z badania ogółem wskazała na istotną różnicę pomiędzy ocenianymi lekami na korzyść romiplostymu.

Wyniki pośredniej analizy porównawczej w przypadku pozostałych działań niepożądanych nie wykazały istotności statystycznej.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Podczas oceny analizy ekonomicznej w AOTM podjęto wątpliwości dotyczące potencjalnych błędów w modelu wnioskodawcy, w związku z czym stwierdzono brak podstaw do wykonania samodzielnych obliczeń z wykorzystaniem kalkulatora wnioskodawcy; ponadto dane dotyczące kosztów poszczególnych leków uwzględnionych w ramach „postępowania standardowego” (komparator w analizie) są aktualne na dzień składania wniosku, natomiast nie na moment jego oceny.

Celem analizy ekonomicznej była ocena opłacalności leczenia przewlekłej pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ITP, ang. Idiopathic Thrombocytopenic Purpura) z zastosowaniem romiplostymu w ramach programu lekowego u pacjentów, u których wykonano splenektomię, którzy wykazują niedostateczną odpowiedź na inne sposoby leczenia (np. terapia kortykosteroidami, immunoglobulinami), oraz pacjentów, u których z powodu przeciwwskazań nie wykonano splenektomii. Porównywano romiplostym z terapią standardową opisaną przez eksperta klinicznego.

W analizie koszty-użyteczność wnioskodawca wykazał, iż terapia romiplostymem jest terapią [REDAKTOWANE] zarówno w porównaniu do leczenia standardowego, jak i w porównaniu z eltrombopagiem. W przypadku porównania z leczeniem standardowym koszt inkrementalny wynosi odpowiednio w przyp. pacjentów bez splenektomii oraz po splenektomii: [REDAKTOWANE] PLN oraz [REDAKTOWANE] PLN przy inkrementalnym efekcie QALY odpowiednio 1,19 oraz 0,86. W przypadku porównania z leczeniem eltrombopagiem koszt inkrementalny wynosi odpowiednio [REDAKTOWANE] PLN oraz [REDAKTOWANE] PLN przy inkrementalnym efekcie QALY odpowiednio [REDAKTOWANE] oraz [REDAKTOWANE].

Największy udział w całkowitych wydatkach związanych z zastosowaniem romiplostymu poprzedzającego standardową ścieżkę terapeutyczną w przypadku porównania romiplostymu do standardowej ścieżki leczenia mają koszty [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] W przypadku leczenia standardowego największy udział w leczeniu mają koszty związane z leczeniem [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] W przypadku porównania kosztów związanych z zastosowaniem romiplostymu vs eltrombopagu koszty romiplostymu stanowią odpowiednio [REDAKTOWANE] w przypadku leczenia pacjentów bez splenektomii i [REDAKTOWANE] w przypadku leczenia pacjentów po splenektomii. Koszty związane z postępowaniem [REDAKTOWANE]

Odnaleziono 8 opublikowanych analiz farmakoekonomicznych oraz przegląd NICE 2011, oceniające kosztową efektywność stosowania romiplostymu w leczeniu ITP.

Wpływ na budżet płatnika

Należy mieć na uwadze fakt, iż oszacowania wpływu na budżet NFZ przedstawione w analizie BIA wnioskodawcy, oparte są na nieaktualnych obecnie danych dotyczących kosztów poszczególnych leków (z uwagi na zmianę zarządzenia Prezesa NFZ nr 41/2012/DGL z 10 lipca 2012 roku) oraz błędnych wyliczeniach dotyczących dawkowania leków.

Celem analizy wpływu na budżet było oszacowanie konsekwencji finansowych dla systemu ochrony zdrowia w Polsce wprowadzenia refundacji romiplostymu w ramach przedmiotowego programu lekowego. Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) dla dwuletniego horyzontu czasowego.

W analizie wnioskodawcy oszacowano (na podstawie projektu badawczego [redacted]), iż docelowa populacja pacjentów, u których może być stosowany Nplate, to [redacted]

[redacted] W pierwszym roku do terapii przystąpi wg analiz 157 [redacted] W drugim roku funkcjonowania programu leczeniem z zastosowaniem produktu Nplate objętych będzie [redacted]

W przypadku objęcia refundacją romiplostymu w programie lekowym leczenia pacjentów z przewlekłą pierwotną małopłytkowością immunologiczną, u których nie wykonano zabiegu splenektomii, wydatki NFZ związane z realizacją programu wnioskodawca szacuje w sposób następujący:

- w pierwszym roku realizacji programu: [redacted]
- w drugim roku realizacji: [redacted]

W przypadku pacjentów, u których wykonano zabieg splenektomii, wnioskodawca szacuje wydatki następująco:

- w pierwszym roku realizacji programu: [redacted]
- w drugim roku realizacji: [redacted]

Wydatki inkrementalne w związku z realizacją programu obejmującego zarówno pacjentów bez splenektomii, jak i tych, u których zabieg wykonano, wnioskodawca szacuje następująco:

- w pierwszym roku [redacted]
- w drugim roku [redacted]

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

W analizie racjonalizacyjnej przedstawiono oszczędności wynikające ze zmiany struktury sprzedaży w grupie limitowej [redacted] (wskazanie niezwiązane z wnioskowanym). Wygenerowanie oszczędności powinno nastąpić dzięki częstszemu korzystaniu przez pacjentów w obrębie danej grupy limitowej z leków o cenie detalicznej niższej od limitu.

Zaproponowane działania zmierzające do upowszechnienia informacji o istnieniu tańszych od limitu odpowiedników to:

[redacted]

[redacted]

[redacted]

Wygenerowane oszczędności w wysokości [REDAKTOWANE] znacząco przewyższającą szacowane maksymalne roczne koszty refundacji produktu leczniczego Nplate wykazane w przedłożonej analizie wpływu na budżet płatnika [REDAKTOWANE]

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Odnaleziono 2 pozytywne rekomendacje kliniczne dotyczące romiplostymu wydane przez NICE oraz SMC.

W przypadku rekomendacji refundacyjnych PBAC wydał rekomendację pozytywną, natomiast CEDAC nie rekomendował finansowania romiplostymu z uwagi na brak kosztowej efektywności w porównaniu z terapią standardową.

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

[REDAKTOWANE]

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-DS-4351-2 /2012, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Nplate (romiplostym) we wskazaniu: Leczenie pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (kod ICD-10: D.69.3) z wykorzystaniem substancji czynnej romiplostym podawanej w iniekcji podskórnej (grupa farmakoterapeutyczna: leki przeciwkrwotoczne; kod ATC: B02BX04) – zmodyfikowany program lekowy (II)”, Warszawa, dnia 05.10.2012 r.