



Protokół nr 8/2012
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 27 marca 2012 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

- | | | | |
|----|------------|----|------------|
| 1. | [REDACTED] | 6. | [REDACTED] |
| 2. | [REDACTED] | 7. | [REDACTED] |
| 3. | [REDACTED] | 8. | [REDACTED] |
| 4. | [REDACTED] | 9. | [REDACTED] |
| 5. | [REDACTED] | | |

Nieobecni na posiedzeniu członkowie Rady:

1. [REDACTED]

Pracownicy Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM):

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

[REDACTED] (Dział Programów Zdrowotnych OT)

[REDACTED] (Dział Raportów i Oceny Raportów OT)

[REDACTED]

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

[REDACTED] (Dział Raportów i Oceny Raportów OT)

[REDACTED] (Dział Raportów i Oceny Raportów OT)

[REDACTED] (Dział Raportów i Oceny Raportów OT)

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

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED] (Dział Raportów i Oceny Raportów OT)

[REDACTED] (Dział Klasyfikacji Technologii Medycznych)

[REDACTED] (Dział Raportów i Oceny Raportów OT)

[REDACTED] (Dział Raportów i Oceny Raportów OT)

[REDACTED]



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

[REDAKTURA]
[REDAKTURA]
[REDAKTURA] (Dział Raportów i Oceny Raportów OT)

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

[REDAKTURA] (Dział Raportów i Oceny Raportów OT)
[REDAKTURA]

Lista obecności stanowi załącznik nr 1 do niniejszego protokołu.

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Ustalenie terminów posiedzeń Rady w kwietniu 2012 r. oraz losowanie składu Zespołów.
4. Omówienie konfliktów interesów członków Rady i głosowanie nad ich wyłączeniem z głosowania albo z udziału w zakresie omawianego wniosku.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu zdrowotnego „Przesiewowy program wykrywania wad serca w okresie prenatalnym” w ramach programu „FLC - Profilaktyka w ciąży” (województwo dolnośląskie).
6. Przygotowanie opinii w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego w zakresie leków stosowanych w pediatrii oraz schorzeniach reumatologicznych.
7. Przygotowanie opinii o projektach programów zdrowotnych:
 - 1) „Wpływ związków ołowiu na rozwój psychomotoryczny uczniów klas od I do III szkół podstawowych w dzielnicach Piekary Śląskich: Brzozowice-kamień, Brzeziny Śląskie, Dąbrówka Wielka” (miasto Piekary Śląskie),
 - 2) „Monitorowanie zdrowia w ochronie ekologicznej dziecka w środowisku domowym, szkolnym oraz w trakcie pobytu uczniów klas III szkół podstawowych z gminy Polkowice na zielonych szkołach” (gmina Polkowice).
8. Przygotowanie opinii o projekcie programu zdrowotnego „Program zdrowotny w zakresie prewencji i wykrywania chorób układu krążenia w populacji mieszkańców województwa małopolskiego” (województwo małopolskie).
9. Przygotowanie opinii w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków Bonefos oraz Sindronat (Dinatrii clodronas) przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania „Hiperkalcemia w chorobach nowotworowych” w zakresie leków z grupy kłodronianów stosowanych w onkologii.
10. Przygotowanie opinii w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków zawierających substancję czynną mycophanolani mofetili przy danych klinicznych, w zakresie

wskazań do stosowania „steroidozależny i cyklosporynozależny zespół nerczycowy, nefropatia toczniowa, zapalenie naczyń u dorosłych”.

11. Zamknięcie posiedzenia.

Ad.1. Posiedzenie o godzinie 10:35 otworzył [REDAKTOWANE]

prowadzący posiedzenie.

Prowadzący stwierdził, że na sali jest obecnych 8 członków Rady.

Ad.2.

[REDAKTOWANE] poinformowała zebranych, że Ministerstwo Zdrowia w odpowiedzi na wczorajsze pismo, wystosowane przez Radę, wycofało swoje zlecenie w sprawie tematu objętego pkt. 9 porządku obrad tj. przygotowania opinii w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków Bonefos oraz Sindronat (Dinatrii clodronas) przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania „Hiperkalcemia w chorobach nowotworowych” w zakresie leków z grupy klodronianów stosowanych w onkologii, w związku z czym proponuje usunąć ten punkt z porządku obrad.

Rada w drodze głosowania przyjęła jednogłośnie propozycję porządku obrad przedstawioną przez prowadzącego posiedzenie [REDAKTOWANE].

Ad.3.

[REDAKTOWANE] poinformowała Radę o terminach posiedzeń w kwietniu, które zaplanowano na 16 i 23. Dodatkowo w dniu 2 kwietnia odbędzie się organizacyjne posiedzenie Rady, podczas którego zostanie przeprowadzone m.in. szkolenie dla członków Rady. Agencja zapewni uczestnikom posiedzenia zwrot kosztów podróży i lunch.

Losowanie Zespołów na kwiecień postanowiono przeprowadzić później.

Ad.4. Konflikty interesów zgłosili:

- 1) [REDAKTOWANE], konflikt dotyczący firmy Sanofi Aventis, który w wyniku głosowania: 0 głosów za wyłączeniem z prac i głosowania, 7 głosów przeciwnych wyłączeniu - nie został wyłączony z prac i głosowania nad tematem objętym punktem 6 porządku obrad,
- 2) [REDAKTOWANE], konflikt dotyczący firmy Krka, który w wyniku głosowania: 0 głosów za wyłączeniem z prac i głosowania, 7 głosów przeciwnych wyłączeniu - nie został wyłączony z prac i głosowania nad tematem objętym punktem 6 porządku obrad.

Ad.5.

[REDAKTOWANE] na podstawie prezentacji przedstawiła najistotniejsze informacje z Raportu Nr: AOTM-OT-441-117/2011 „Przesiewowy program wykrywania wad serca w okresie prenatalnym” w ramach programu „FLC - Profilaktyka w ciąży” realizowany przez województwo dolnośląskie.

W trakcie prezentacji, na posiedzenie przybył 9 członek Rady p. [REDAKTOWANE].

Następnie swoje stanowisko przedstawił [REDAKTOWANE], członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do prowadzenia tematu.

W dalszej kolejności ekspert, [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE], przedstawił swoje stanowisko i odpowiadał na pytania członków Rady.

Po krótkiej dyskusji, Rada 9 głosami za, przyjęła uchwałę o następującej treści:

- Rada Przejrzystości rekomenduje „Przesiewowy program wykrywania wad serca w okresie prenatalnym” w ramach programu „FLC – Profilaktyka w ciąży” (województwo dolnośląskie) pod warunkiem, że realizatorzy wykażą, iż program ten rzeczywiście da się zrealizować przy

wykorzystaniu tych zasobów kadrowych, infrastrukturalnych i ekonomicznych, jakimi dysponuje obecnie województwo dolnośląskie.

Pełny tekst opinii stanowi załącznik nr 2 do protokołu.

Ad.6.1. [REDAKTOWANE] na podstawie prezentacji „Budesonidum i fluticasonum - stosowanie leków w pediatrii w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego.” przedstawiła najistotniejsze informacje dotyczące tych leków stosowanych w populacji pediatrycznej.

W tym miejscu posiedzenia, głos zabrał obecny na sali [REDAKTOWANE], poproszony wcześniej o wyjaśnienie, w jaki sposób Rada powinna się wypowiedzieć w odpowiedzi na wspólne zlecenie Ministra Zdrowia dla różnych grup leków. Wyjaśnił on, że Rada może wydać jedną decyzję lub kilka, osobno dla różnych grup leków.

Po krótkiej dyskusji, członkowie postanowili wydać osobne opinie dla różnych grup leków wymienionych w zleceniu Ministra.

Następnie przeprowadzono telekonferencję z [REDAKTOWANE]. Ekspert przedstawił swoje stanowisko i odpowiadał na pytania członków Rady. Dodatkowo na pytanie Prezesa ekspert stwierdził, że na listach przekazanych do MZ, które stanowiły podstawę zlecenia omawianego przez Radę na posiedzeniu w dniu 15.02.2012 (pkt. 5 porządku obrad: „Przygotowanie opinii w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leku przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w charakterystyce Produktu Leczniczego w zakresie leków onkologicznych i pediatrycznych” – dopisek BORK), umieścić zarówno leki stosowane poza wskazaniami ujętymi w ChPL, jak i nier refundowane leki stosowane zgodnie z ChPL. Ekspert przygotowuje obecnie kolejną listę leków, które powinny być w praktyce pediatrycznej stosowane we wskazaniach niewystępujących w ChPL.

W dalszej kolejności swoje stanowisko przedstawił prowadzący temat członek Rady [REDAKTOWANE].

W trakcie dyskusji członkowie Rady poruszyli ogólne problemy użycia leków off-label, przytoczony został artykuł z Rynku Zdrowia o wątpliwościach prawnych pt. „Poza wskazaniami, ale nie poza prawem”, mówiono o potrzebie regulacji prawnych dotyczących eksperymentów medycznych i stosowania leków off-label.

[REDAKTOWANE] wyjaśnił, że stosowanie leków „off-label” obejmuje zarówno wskazanie, dawkowanie, jak i sposób podania leku.

[REDAKTOWANE] przypomniał, że postępowanie w ramach „eksperymentu medycznego” jest uregulowane w ustawie o zawodzie lekarza, która wskazuje, że lekarze mogą stosować leki we wskazaniach nie objętych charakterystyką produktu leczniczego zgodnie ze swoją praktyką po uzyskaniu zgody komisji bioetycznej.

Następnie przystąpiono do sformułowania ostatecznej treści opinii Rady.

Rada 8 głosami za, przy 1 głosie przeciw przyjęła uchwałę o następującej treści:

- Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją, przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, produktów leczniczych:
 - zawierających budesonid, podawanych drogą wziewną we wskazaniu zapalenie wirusowe krtani u dzieci,

- zawierających flutikazon, podawanych donosowo w nieżytach infekcyjnych i alergicznych nosa oraz nieżytach trąbki słuchowej powikłanych wysiękowym zapaleniem ucha.

Pełny tekst opinii stanowi załącznik nr 3 do protokołu.

6.2. [REDAKCYJNA] na podstawie prezentacji przedstawiła najistotniejsze informacje z opracowania Nr: AOTM-OT-434-5/2012 „Leki stosowane w schorzeniach reumatologicznych poza wskazaniami objętymi Charakterystyką Produktu Leczniczego: kwas foliowy, cyklosporyna, mykofenolan mofetilu”. Analityk poinformował, że pismem z dnia 22.03.2012 r. Minister Zdrowia wycofał spod oceny Agencji cyklosporynę.

Następnie swoje stanowisko przedstawiła [REDAKCYJNA], członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do prowadzenia tematu.

Po krótkiej i rzeczowej dyskusji, Rada 8 głosami za przy 1 głosie przeciw, przyjęła następującą uchwałę:

- Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, preparatów zawierających mykofenolan mofetilu w następujących wskazaniach: leczenie toczenia rumieniowatego układowego oraz twardziny układowej. Rada uważa jednocześnie za zasadne finansowanie kwasu foliowego u chorych przyjmujących metotreksat w schorzeniach reumatologicznych.

Pełny tekst opinii stanowi załącznik nr 4 do protokołu.

6.3. [REDAKCYJNA] na podstawie prezentacji przedstawiła najistotniejsze informacje z opracowania Nr: AOTM-OT-434-6/2012 „Leki stosowane w schorzeniach reumatologicznych poza wskazaniami objętymi Charakterystyką Produktu Leczniczego: azatiopryna, metotreksat, chlorochina, sulfasalazyna, cyklofosfamid”. Analityk poinformował, że pismem z dnia 22.03.2012 r. Minister Zdrowia wycofał spod oceny Agencji metotreksat, chlorochinę i sulfalazynę.

Z kolei swoje stanowisko przedstawiła [REDAKCYJNA], członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do prowadzenia tematu.

Następnie odbyła się dyskusja.

W tym miejscu prowadzący posiedzenie odczytał pisemne opinie przysłane wcześniej do Agencji przez eksperta, [REDAKCYJNA], Konsultanta Krajowego w dziedzinie reumatologii.

Członkowie Rady postanowili mimo to przeprowadzić telekonferencję z ekspertem, ponieważ mieli dodatkowe pytania.

Korzystając z możliwości rozmowy z ekspertem w dziedzinie reumatologii, Rada poprosiła go o wyrażenie stanowiska na temat objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną mycophanolani mofetili przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania „steroidozależny i cyklosporynozależny zespół nerczycowy, nefropatia toczniowa, zapalenie naczyń u dorosłych, tj. tematu objętego pkt. 10 porządku obrad.

Po wysłuchaniu eksperta kontynuowano dyskusję.

Decyzją prowadzącego posiedzenie postanowiono wysłuchać prezentacji kolejnego analityka, w tym czasie sformułować ostateczny kształt uchwały, a tym samym głosowanie odłożyć na później.

6.4. [REDAKTOR] na podstawie prezentacji przedstawiła najistotniejsze informacje z Opracowania Nr: AOTM-OT-434-7/2012 „Produkty lecznicze zawierające amlodypinę, diltiazem, enalapril, cilazapril, lisinopril, perindopril, quinapril, ramipril, valsartan, nitrendypinę i verapamil w leczeniu objawu Raynauda – stosowanie poza wskazaniami objętymi refundacją zgodną z Charakterystyką Produktu Leczniczego.”

Następnie swoje stanowisko przedstawiła [REDAKTOR], członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do prowadzenia tematu.

W wyniku pozyskanych informacji oraz dyskusji, Rada 7 głosami za przy 2 głosach przeciw przyjęła następującą uchwałę:

- Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, antagonistów wapnia (amlodypina, diltiazem, nitrendypina, verapamil) w leczeniu pierwszoliniowym objawu Raynauda związanego z twardziną układową (SSc-RP – ang. Systemic Sclerosis-related Raynaud’s Phenomenon). Jednocześnie Rada uważa za niezasadne objęcie refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, inhibitorów konwertazy angiotensyny (cilazapril, enalapril, lisinopril, perindopril, quinapril, ramipril) oraz antagonistów receptora angiotensyny II (valsartan) w objawie Raynaud.

Pełny tekst opinii stanowi załącznik nr 5 do protokołu.

W tym miejscu posiedzenia Rada postanowiła przegłosować uchwałę w zakresie zlecenia omówionego w pkt. 6.3 powyżej tj. leków stosowanych w schorzeniach reumatologicznych poza wskazaniami objętymi Charakterystyką Produktu Leczniczego takich jak: azatiopryna, cyklofosfamid.

Rada 8 za głosami przy 1 głosie przeciw, przyjęła następującą uchwałę:

- Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego cyklofosfamidu w leczeniu chorób autoimmunizacyjnych i amyloidozы oraz azatiopryny w leczeniu chorób autoimmunizacyjnych.

Pełny tekst opinii stanowi załącznik nr 6 do protokołu.

6.5. [REDAKTOR] na podstawie prezentacji przedstawił najistotniejsze informacje z opracowania Nr: AOTM-OT-434-8/2012 „Kwas alendronowy, cholekalcyferol i ryzedronian sodu we wskazaniach odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego.”

Następnie swoje stanowisko przedstawiła [REDAKTOR], członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do prowadzenia tematu.

Z kolei analitycy AOTM udzielili członkom Rady dodatkowych wyjaśnień i odpowiedzi na skierowane do nich pytania.

W trakcie dyskusji zgłoszono m.in. wątpliwości, czy należy refundować leki, których koszt dla pojedynczego pacjenta jest niewielki.

Decyzją prowadzącego posiedzenie głosowanie w tej sprawie przełożono na później.

6.6. [REDAKTOR] na podstawie prezentacji przedstawiła najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-DS-434-3 „Clexane objęcie refundacją we wskazaniach odmiennych niż w CHPL.”

Rada stwierdziła, że przedstawiona technologia była już w lutym br. przedmiotem posiedzenia Rady i uzyskała jej pozytywną opinię, wobec czego nie ma potrzeby przeprowadzania na ten temat dyskusji.

W wyniku pozyskanych informacji oraz dyskusji Rada 8 głosami za przy 1 głosie przeciw przyjęła uchwałę o następującej treści:

- Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, enoxaparinum natricum w zespole antyfosfolipidowym w ciąży.

Pełny tekst opinii stanowi załącznik nr 7 do protokołu.

Decyzją prowadzącego w tym miejscu posiedzenia przeprowadzono losowanie Zespołów na 16 i 23 kwietnia br.

W tym miejscu posiedzenia, członek Rady [REDAKTOWANO] złożył wniosek formalny, o podjęcie uchwały w sprawie wydania opinii o refundacji leków "Mykofenolan mofetilu w zakresie wskazań steroidozależny i cyklosporynozależny zespół nerczycowy, nefropatia toczniowa, zapalenie naczyń u dorosłych lub dawkowania, lub sposobu podania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego", tj. w sprawie tematu objętego 10 pkt. porządku obrad, przez pełny skład Rady w najbliższy poniedziałek 2 kwietnia br. W jego ocenie Zespół dowiedział się o zleceniu zbyt późno, aby mógł się rzetelnie przygotować do wydania opinii, żaden z członków Rady nie opracował szczegółowo tego tematu, a czasu do końca posiedzenia pozostało niewiele.

Prowadzący poddał pod głosowanie wniosek, który jednogłośnie, 9 głosami za, został przyjęty przez Radę.

Ad.7. [REDAKTOWANO] na podstawie prezentacji przedstawiła najistotniejsze informacje z Raportu Nr: AOTM-OT-441-159/2011 „Monitorowanie zdrowia w ochronie ekologicznej dziecka w środowisku domowym, szkolnym oraz w trakcie pobytu uczniów klas III szkół podstawowych z gminy Polkowice na zielonych szkołach” .

Z kolei swoje stanowisko przedstawił [REDAKTOWANO], członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do prowadzenia tematu.

Po krótkiej dyskusji, Rada 9 głosami za przyjęła następującą uchwałę:

- Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Monitorowanie zdrowia w ochronie ekologicznej dziecka w środowisku domowym, szkolnym oraz w trakcie pobytu uczniów klas III szkół podstawowych z gminy Polkowice na zielonych szkołach”.

Pełny tekst opinii stanowi załącznik nr 8 do protokołu.

W tym miejscu, o głos ponownie poprosił członek Rady [REDAKTOWANO], który złożył kolejny wniosek formalny. Wnioskował, o podjęcie uchwał dotyczących wydania opinii o dwóch projektach programów zdrowotnych objętych dzisiejszym porządkiem obrad (pkt. 7 i 8), przez Radę w pełnym składzie w dniu 2 kwietnia br. Wnioskował też, aby teraz, przy poparciu Prezesa AOTM, Zespół podjął uchwałę w sprawie objętej 10 punktem porządku obrad, tj. sprawie, która w wyniku wcześniejszego głosowania została skierowana do oceny przez pełny skład Rady.

Prowadzący posiedzenie [REDAKTOWANO] oznajmił, że Zespół zdąży ocenić projekt programu zdrowotnego „Wpływ związków ołowiu na rozwój psychomotoryczny uczniów klas od I do III szkół podstawowych w dzielnicach Piekar Śląskich: Brzozowice-kamień, Brzeziny Śląskie, Dąbrówka Wielka”.

Rada 8 głosami za przy 1 głosie przeciw, przyjęła uchwałę o konieczności podjęcia przez Radę w pełnym składzie, w dniu 2 kwietnia br., uchwały dotyczącej wydania opinii o projekcie programu zdrowotnego „Program zdrowotny w zakresie prewencji i wykrywania chorób układu krążenia w populacji mieszkańców województwa małopolskiego” objętego 8 pkt. porządku obrad.

W dalszej kolejności Rada postanowiła przegłosować uchwałę w zakresie zlecenia objętego pkt. 6.5 porządku obrad, tj. „Kwas alendronowy, cholekalcyferol i ryzedronian sodu we wskazaniach odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego.”

Rada 7 głosami za przy 2 głosach przeciw, przyjęła następującą uchwałę:

- Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, preparatów kwasu alendronowego we wskazaniu: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL (zgodnie z zaleceniami ACR i polskimi) oraz ryzedronianu sodu we wskazaniu: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL (zgodnie z zaleceniami EULAR i polskimi), profilaktyka osteoporozy posterydowej oraz preparatów kolekcalcyferolu we wskazaniu: osteoporoza, profilaktyka osteoporozy posterydowej (zgodnie z zaleceniami EULAR i polskimi).

Pełny tekst opinii stanowi załącznik nr 9 do protokołu.

Kontynuując Ad.7. - ██████████ na podstawie prezentacji przedstawiła najistotniejsze informacje z Raportu Nr: AOTM-OT-441-127/2011 „Wpływ związków ołowiu na rozwój psychomotoryczny uczniów klas od I do III szkół podstawowych w dzielnicach Piekar Śląskich: Brzozowice – Kamień, Brzeziny Śl., Dąbrówka Wielka”.

Następnie swoje stanowisko przedstawił ██████████, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do prowadzenia tematu.

Po krótkiej dyskusji, Rada 8 głosami za przy 1 głosie przeciw przyjęła następująca uchwałę:

- Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Wpływ związków ołowiu na rozwój psychomotoryczny uczniów klas od I do III szkół podstawowych w dzielnicach Piekar Śląskich: Brzozowice – Kamień, Brzeziny Śl., Dąbrówka Wielka” pod warunkiem uwzględnienia na etapie realizacyjnym uwag Ekspertów oraz Agencji Oceny Technologii Medycznych.

Pełny tekst opinii stanowi załącznik nr 10 do protokołu.

Ad.8. Na podstawie uchwały Zespołu, zawartej w pkt. Ad.7, uchwała w sprawie wydania opinii o projekcie programu zdrowotnego „Program zdrowotny w zakresie prewencji i wykrywania chorób układu krążenia w populacji mieszkańców województwa małopolskiego” zostanie podjęta przez Radę w pełnym składzie na posiedzeniu w dniu 2 kwietnia br.

Ad.9. Zlecenie zostało wycofane przez Ministra Zdrowia, jak przedstawiono to w Ad. 2.

Ad.10. ██████████ na podstawie prezentacji przedstawiła najistotniejsze informacje z Raportu Nr: AOTM-OT-434-9/2012 „Mykofenolan mofetilu w zakresie wskazań steroidozależny i cyklosporynozależny zespół nerczycowy, nefropatia toczniowa, zapalenie naczyń u dorosłych lub dawkowania, lub sposobu podania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego”.

Następnie, analitycy AOTM udzielali członkom Rady dodatkowych wyjaśnień i odpowiedzi na skierowane do nich pytania.

Ponieważ w składzie Zespołu nie było specjalisty z omawianego tematu, w toku dyskusji okazała się niezbędna pomoc eksperta. Prowadzący polecił ponownie zatelefonować w celu przeprowadzenia telekonferencji do [REDACTED]. Próba uzyskania połączenia telefonicznego nie powiodła się.

[REDACTED] zdecydował o przeprowadzeniu telekonferencji z [REDACTED], który udzielił zebranych obszernych informacji.

Po długiej dyskusji Rada 8 głosami za przy 1 głosie przeciw przyjęła uchwałę o następującej treści:

- Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, leków zawierających substancję czynną mykofenolan mofetilu w wskazaniu: steroidozależny i cyklosporynozależny zespół nerczycowy, nefropatia toczniowa, zapalenie naczyń u dorosłych. Rada uważa, że równie istotnym wskazaniem jest zastosowanie mykofenolanu mofetilu w przypadku steroidoopornego i cyklosporynoopornego zespołu nerczycowego, nefropatii toczniowej, zapalenia naczyń.

Pełny tekst opinii stanowi załącznik nr 11 do protokołu.

Ad.11. Prowadzący posiedzenie [REDACTED] zakończył posiedzenie Rady o godzinie 16:30.

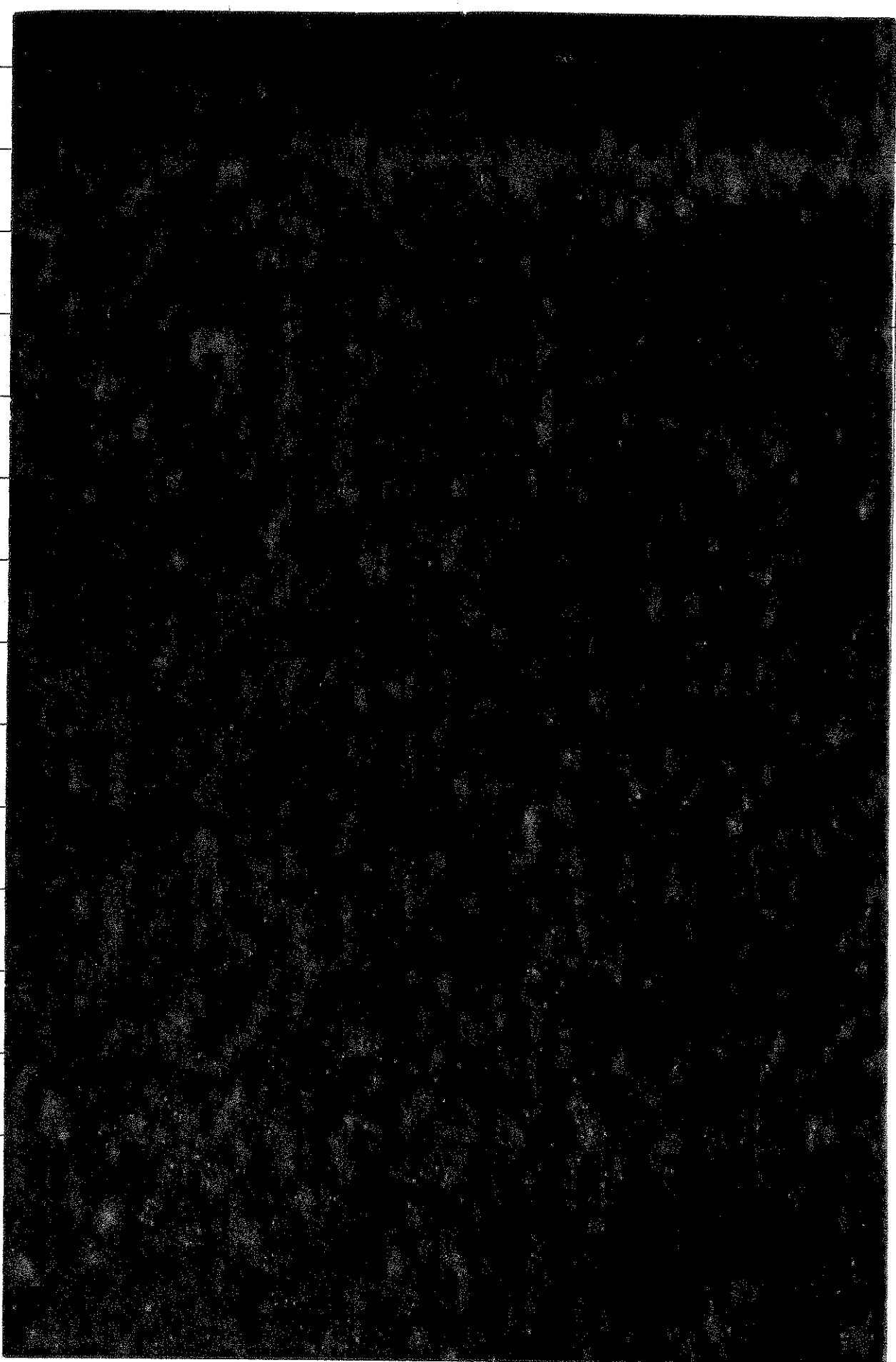
Protokół zatwierdził prowadzący posiedzenie:

.....
[REDACTED]
[REDACTED]

LISTA OBECNOŚCI
Posiedzenie Rady Przejrzystości nr 8/2012
dnia 27 marca 2012 r.

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

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

05	
06	
07	
08	



Opinia Rady Przejrzystości
nr 37/2012 z dnia 27 marca 2012
o programie zdrowotnym

„Przesiewowy program wykrywania wad serca w okresie prenatalnym” w ramach programu „FLC - Profilaktyka w ciąży” realizowanym przez województwo dolnośląskie

Rada Przejrzystości rekomenduje „Przesiewowy program wykrywania wad serca w okresie prenatalnym” w ramach programu „FLC – Profilaktyka w ciąży” (województwo dolnośląskie) pod warunkiem, że realizatorzy wykażą, iż program ten rzeczywiście da się zrealizować przy wykorzystaniu tych zasobów kadrowych, infrastrukturalnych i ekonomicznych, jakimi dysponuje obecnie województwo dolnośląskie.

Uzasadnienie

Jest to poprawnie przygotowany program o dużych walorach klinicznych, społecznych i etycznych, którego sukces zależy jednak od zagwarantowania skutecznych środków jego realizacji. Realizatorzy programu muszą mieć pewność, że:

- 1) badania prenatalne kobiet ciężarnych będą wykonywane przez odpowiednio wyszkolonych lekarzy, najlepiej posiadających Certyfikat Sekcji Echokardiografii i Kardiologii Pediatricznej Polskiego Towarzystwa Ultrasonograficznego i przy użyciu nowoczesnej aparatury.*
- 2) W przypadku stwierdzenia istotnych i kwalifikujących się do leczenia wad układu krążenia płodu, zostanie podjęte leczenie pre- lub postnatalne w odpowiednim ośrodku leczniczym w województwie dolnośląskim lub poza terenem tego województwa.*
- 3) W przypadku stwierdzenia głębokich i niekwalifikujących się do leczenia wad układu krążenia płodu rodzice dziecka zostaną uczciwie poinformowani o prognozie i będą mieli prawo do podjęcia decyzji o kontynuowaniu lub przerwaniu ciąży, a decyzja rodziców będzie respektowana przez lekarzy, co znaczy, że w przypadku podjęcia przez rodziców decyzji o przerwaniu ciąży, rzeczywiście zapewni się pacjentce możliwość dokonania tego zabiegu.*
- 4) Zostanie szczegółowo określony system dystrybucji finansów przeznaczonych na realizację programu, tak aby nie dochodziło do*



podwójnego finansowania tych samych usług medycznych – finansowanych po raz pierwszy z tytułu obowiązującej ustawy i po raz drugi w ramach realizowanego programu.

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego województwa dolnośląskiego w zakresie wczesnego wykrywania wad serca w okresie prenatalnym, zakładający przeprowadzenie badania EKG kobiet w 20 tygodniu ciąży jako element złożonego programu opracowanego przez Fundację Lumina Cordis (FLC) „FLC – Profilaktyka w ciąży”. Cel ten miałby zostać osiągnięty poprzez działania ukierunkowane na profilaktykę chorób płodu przez wczesne wykrycie chorób serca płodu, chorób matki, jak i działania mające na celu ochronę płodu przed uszkodzeniem przez czynniki szkodliwe. Planowana jest ponadto edukacja, mająca zaznajomić pacjentki z przysługującymi im prawami, szczególnie do korzystania z podstawowej opieki zdrowotnej, finansowanej ze środków publicznych.

Problem zdrowotny

Projekt programu zakłada szereg działań mających na celu zmniejszenie umieralności noworodków oraz poprawę jakości opieki nad kobietą ciężarną. Przesiewowy program badań EKG płodu skupia się na wczesnym wykrywaniu wrodzonych wad serca płodu.

Wady serca są główną przyczyną śmiertelności i umieralności noworodków oraz dzieci cierpiących na choroby układu krążenia. Etiologia wad wrodzonych serca w większości przypadków jest nieznana. Anomalie chromosomalne i pojedynczego genu mogą mieć związek etiologiczny w 8% przypadków. Wśród schorzeń kardiologicznych u płodów oprócz wad serca należy także wymienić: istotne zaburzenia rytmu (częstoskurcz, migotania przedsionków, blok przewodnictwa przedsionkowo-komorowego II lub III stopnia), niewydolność krążenia, ektopia serca, specyficzne problemy kardiologiczne dla życia prenatalnego w ciąży pojedynczej lub mnogiej, skurcze dodatkowe bez niewydolności krążenia, blok przedsionkowo-komorowy I stopnia, czynnościowa niedomykalność zastawki trójdzielnej, wysięk w osierdziu, ognisko hiperechogeniczne, wodobrzusze, izolowana obecność płynu w jamie opłucnowej bez cech niewydolności krążenia płodu.

Zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu chorób naczyniowo-sercowych oraz poprawa jakości i skuteczności opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3, należą do priorytetów zdrowotnych, określonych rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 21 sierpnia 2009 r. w sprawie priorytetów zdrowotnych. Dodatkowo kierunek działań programu jest spójny z założeniami Narodowego Programu Zdrowia na lata 2007-2015 (Cel operacyjny 7).

Alternatywne świadczenia

Zgodnie z art. 27 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych badanie USG z oceną czynności serca płodu stanowi świadczenie gwarantowane jako standardowe postępowanie dla kobiet w ciąży. Ponadto w ramach programu zdrowotnego oraz w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej świadczeniem gwarantowanym jest badanie EKG płodu przewidziane dla kobiet z grup ryzyka.

Standardy postępowania oraz procedury medyczne przy udzielaniu świadczeń gwarantowanych z zakresu opieki okołoporodowej sprawowanej nad kobietą w okresie fizjologicznej ciąży, fizjologicznego porodu, położu oraz opieki nad noworodkiem określa Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 23 września 2010 r. Zalecany zakres świadczeń profilaktycznych i działań w zakresie promocji zdrowia oraz badań diagnostycznych i konsultacji medycznych, wykonywanych u kobiet w okresie ciąży obejmuje m.in. badanie USG wraz z oceną czynności serca płodu.

Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2009 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu programów zdrowotnych określa zasady realizacji programów badań prenatalnych. Wśród zalecanych procedur znajduje się poradnictwo i USG płodu w kierunku diagnostyki wad wrodzonych.

W wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 29 sierpnia 2009 roku) znajdują się: badanie USG płodu; EKG płodu – ocena prawidłowości rozwoju serca płodu.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

W ramach oceny opiniowanego programu Agencja przeprowadziła analizę danych epidemiologicznych oraz przegląd wytycznych praktyki klinicznej dotyczących wczesnego wykrywania wad wrodzonych serca w okresie prenatalnym; wystąpiono również o opinię do ekspertów klinicznych. Wyniki przeprowadzonej oceny Agencja podsumowuje następująco:

- Wady wrodzone (w tym wady serca) stanowią poważny problem we współczesnej pediatrii i perinatologii – na świecie rocznie rodzi się około 7,9 milionów dzieci z wadami wrodzonymi, z czego prawie połowa umiera przed ukończeniem 5 roku życia. W Polsce w latach 2005-2006 wrodzone wady serca występowały z częstością 70,9/10 tys. ur.ż., przy średniej częstości w krajach Unii Europejskiej wynoszącej 71,1/10 tys. ur.ż.
- Podstawowym badaniem obrazowym w ginekologii i położnictwie jest obecnie badanie USG, zarówno przez powłoki brzucha, jak i przy pomocy głowicy dopochwowej.
- Diagnostyka obrazowa w położnictwie powinna być ograniczona do metod najmniej szkodliwych dla matki i płodu. W 20 +/- 2 tyg. ciąży wykonuje się badanie USG m.in. w celu zbadania struktur anatomicznych płodu: głowy, klatki piersiowej z uwzględnieniem serca. Ocena serca płodu jest ważna, ponieważ wady serca płodu należą do najczęstszych u człowieka. Większość wad stanowiących zagrożenie życia noworodka można wykryć u płodu w przesiewowym badaniu USG.
- W badaniu prenatalnym serca płodu wyróżnia się dwa rodzaje badań: rutynowe badanie przesiewowe, którego celem jest wykrycie lub wykluczenie możliwości wystąpienia zaburzeń serca oraz badanie z użyciem techniki USG 2D lub USG Doppler w celu zdiagnozowania anatomicznego lub fizjologicznego zaburzenia kardiologicznego płodu – w Polsce badania są wykonywane przez specjalistyczne ośrodki referencyjne.
- Prenatalna echokardiografia z obrazowaniem 4 jam serca oraz naczyń wypływu jest zalecana jako część rutynowego badania USG w kierunku wykrycia nieprawidłowości.
- Wykonując badanie ultrasonograficzne należy kierować się zasadą minimalnej ekspozycji i czasu badania pozwalającego na kompletne wykonanie procedury.
- Badanie echokardiograficzne płodu powinno być wykonane pomiędzy 18 a 22 tyg. ciąży.
- W specjalistycznym badaniu EKG należy ustalić rodzaj nieprawidłowości, stopień zaburzenia funkcji serca, sformułować diagnozę, zaplanować dalsze postępowanie oraz przeprowadzić konsultację z informacją o rokowaniu. Zasadniczym wskazaniem do badania EKG płodu wykonywanego w ośrodkach referencyjnych jest anomalia stwierdzona w przesiewowym badaniu serca płodu, które ma na celu odróżnienie normy od patologii.
- Wskazaniami do badania EKG ze strony matki są: wrodzona wada serca, choroby metaboliczne (cukrzyca, fenylketonuria); narażenie na czynniki teratogenne (m.in. leki przeciwdrgawkowe, kwas retinoidowy, związki litu, infekcje wirusowe); przeciwciała autoimmunologiczne (anty-RO (SSA)/ anty-La (SSB); leczenie lekami z grupy NLPZ pomiędzy 25-30 tyg. ciąży.
- Wskazaniami do badania EKG ze strony płodu są: podejrzenie zaburzenia budowy lub funkcjonowania serca podczas badania przesiewowego płodu; zaburzenia chromosomalne; obrzęk płodu; wysięk w opłucnej; nadmiar wód płodowych; zaburzenia związane z przemieszczeniem serca; poszerzenie szerokości przezierności karkowej; arytmie; ciąża bliźniacza jednokosmówkowa; inne czynniki ryzyka wystąpienia zaburzeń kardiologicznych płodu (mocno-unaczyniony guz, przetoka tętnicza, bliźniak pozbawiony serca, anemia).

- Podczas badania serca płodu początkowo stosuje się dwuwymiarowe EKG w czasie rzeczywistym a następnie inne techniki: dopplera kolorowego i spektralnego, Power Doppler, prezentację M-mode z funkcją kolorowego dopplera, prezentację Tissue Doppler, Power Angio.
- Wyróżnia się 5 etapów badania serca: ocena położenia żołądka i aorty brzusznej; ocena czterech jam serca; ocena drogi wypływu z lewej komory (LVOT); ocena drogi wypływu z prawej komory (RVOT); ocena śródpiersia górnego.

W opinii Agencji oceniany program odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego – wad serca w okresie prenatalnym, który występuje na terenie województwa dolnośląskiego. Przeprowadzenie EKG płodu oraz zaplanowane działania edukacyjne są zgodne z odnalezionymi wytycznymi klinicznymi. W projekcie opisano cele i oczekiwane efekty oraz dane dotyczące: terminu realizacji programu, planowanych działań, populacji docelowej, sposobu naboru uczestników, oceny realizacji programu oraz kosztów. Agencja informuje, że obecnie w Polsce funkcjonuje system wykrywania wad serca w okresie płodowym. Procedura badania EKG u płodu znajduje się zarówno w katalogu świadczeń położniczych, jak i świadczeń ambulatoryjnych kosztochłonnych (dotyczy to badania specjalistycznego wykonywanego przez lekarzy z certyfikowanymi kwalifikacjami). Wprowadzenie wnioskowanego programu może spowodować podwójne finansowanie tych samych usług medycznych.

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

.....
[Redacted signature area]

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Przesiewowy program wykrywania wad serca w okresie prenatalnym” w ramach programu „FLC - Profilaktyka w ciąży” realizowany przez województwo dolnośląskie, nr: AOTM-OT-441-117/2011, Warszawa, marzec 2012 i aneksu „Wykrywanie wad serca w okresie prenatalnym – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportu nr: AOTM-OT-441-117/2011, Warszawa, marzec 2012.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie: opinia eksperta przedstawiona na posiedzeniu Rady Przejrzystości w dniu 27.03.2012 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 38/2012 z dnia 27 marca 2012 r.
w sprawie objęcia refundacją
budesonidu w produktach leczniczych
podawanych w leczeniu wziewnym
oraz flutikazonu w produktach leczniczych
stosowanych donosowo zakresie wskazań
odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją, przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, produktów leczniczych:

- 1. zawierających budesonid, podawanych drogą wziewną we wskazaniu zapalenie wirusowe krtani u dzieci*
- 2. zawierających flutikazon, podawanych donosowo w nieżytach infekcyjnych i alergicznych nosa oraz nieżytach trąbki słuchowej powikłanych wysiękowym zapaleniem ucha.*

Uzasadnienie

Biorąc pod uwagę kryteria stosowania leków poza zarejestrowanymi wskazaniami należy podkreślić że:

- zapalenie wirusowe krtani u dzieci może stanowić zagrożenie życia (duszność wydechowa, obrzęk krtani, tchawicy, oskrzeli, upośledzenie drożności dróg oddechowych)*
- nieżyt infekcyjny i alergiczny nosa, a zwłaszcza nieżyt trąbki słuchowej powikłany wysiękowym zapaleniem ucha mogą prowadzić do upośledzenia słuchu i innych powikłań – wymagają więc skutecznego leczenia, a dostępne leczenie w oparciu o zaaprobowane wskazania może nie dawać zadowalającego wyniku*
- stosowanie glikokortykoidów pozwala na skrócenie czasu leczenia i zmniejszenia kosztów leczenia w sytuacji nadkażenia bakteryjnego.*



Dodatkowe uwagi Rady

Zdaniem wielu ekspertów polskie prawo rozróżnia tylko dwie drogi ordynowania leków: zgodnie ze wskazaniami zawartymi w ChPL i poza wskazaniami, w ramach eksperymentu medycznego, co obarczone jest koniecznością spełnienia szeregu wymogów, w tym m.in. przejścia całej procedury uzyskania zgody komisji bioetycznej. Rozróżnienie na stosowanie produktów poza wskazaniami na soft- i off-label nie jest pojęciem prawnym [2]. Zdaniem Rady niezbędne jest uporządkowanie regulacji prawnych dotyczących eksperymentów medycznych i stosowania leków off-label w Polsce.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy wydania opinii w sprawie objęcia refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, leków stosowanych w pediatrii, zawierających substancje czynne:

- *Budesonidum* we wskazaniu: zapalenie wirusowe krtani u dzieci,
- *Fluticasonum* we wskazaniach: nieżyty infekcyjne i alergiczne nosa, nieżyt trąbki słuchowej powikłany wysiękowym zapaleniem ucha

oraz schorzeniach reumatologicznych, zawierających substancje czynne:

- *Acidum alendronicum* we wskazaniach: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Acidum folicum* we wskazaniu: u chorych przyjmujących metotreksat;
- *Amlodipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Azathioprinum* we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne;
- *Cilazaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Colecalciferolum (vit. D3)* we wskazaniach: osteoporoza, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Diltiazemum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Enalaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Enoxaparinum natrium* we wskazaniu: zespół antyfosfolipidowy w ciąży;
- *Lisinoprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Lisinoprilum + Amlodipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Lisinoprilum +Hydrochlorothiazidium* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Nitrendipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Perindoprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Quinaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Ramiprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Risedronatum natrium* we wskazaniach: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Valsartanum* we wskazaniu: objaw Raynauda;

- *Valsartanum + Hydrochlorothiazidium* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Verapamilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Cyclophosphamidum* we wskazaniach: choroby autoimmunizacyjne, amyloidozą;
- *Mycophenolas mofetil* we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne;

dla których wydano decyzje o objęciu refundacją, o której mowa w ustawie z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.

Problem zdrowotny

Wirusowe zapalenie krtani – rozpoznanie opiera się na objawach klinicznych i wynikach badania laryngoskopowego. Wyróżnia się 5 postaci choroby. Leczenie jest objawowe. W przebiegu choroby może dojść do obrzęku krtani, które jest stanem zagrożenia życia.

Z danych dotyczących częstości hospitalizacji z powodu zapalenia krtani wynika, że około 10% dzieci w wieku przedszkolnym wymaga nebulizacji z powodu wirusowych zapaleń krtani.

Niealergiczny nieżyt nosa, (zapalenie błony śluzowej jamy nosa i zatok przynosowych - *rhinosinusitis*) – ostre zapalenie zatok przynosowych występuje nawet do 8 razy w roku u dzieci. Stosuje się donosowe glikokortykosteroidy. Leczenie zachowawcze przewlekłego zapalenia zatok przynosowych opiera się na stosowaniu donosowo i doustnie glikokortykosteroidów.

Alergiczny nieżyt nosa – dotyczy ok. 15-20% światowej populacji. Sprzyja rozwojowi astmy, alergicznego zapalenia spojówek czy atopowego zapalenia skóry. Leczenie obejmuje stosowanie glikokortykosteroidów. Glikokortykosteroidy stosowane miejscowo (donosowo) stanowią podstawowe leczenie.

Na alergiczny nieżyt nosa cierpi prawie co piąte dziecko w Polsce, a na astmę co dziesiąty nastolatek w wieku 13-14 lat.

Nieżyt trąbki słuchowej powikłany wysiękowym zapaleniem ucha

Nagromadzona w wyniku choroby wydzielina może doprowadzić do pęknięcia błony bębenkowej. U dzieci trąbka słuchowa jest krótsza i ustawiono w sposób ułatwiający przenoszenie infekcji z jamy nosogardłowej. Zakażenie z jamy bębenkowej może przenosić się do sąsiadujących struktur czaszki, pociągając za sobą niebezpieczne powikłania. Wysiękowe zapalenie ucha występuje częściej u dzieci w wieku przedszkolnym i wczesnoszkolnym.

Szacuje się, że 84-93% dzieci przebyło chociaż jeden epizod ostrego zapalenia ucha środkowego, 50-74% chorowało trzykrotnie lub częściej, a 25 % dzieci 6 krotnie lub częściej.

Na przewlekłe wysiękowe zapalenie ucha środkowego cierpi kilkanaście procent dzieci do 10 roku życia. Największą liczbę zachorowań obserwuje się w pierwszym roku życia.

Między narodowa Klasyfikacja Choro ICD nie identyfikuje jednostki chorobowej o nazwie nieżyt trąbki słuchowej powikłany wysiękowym zapaleniem ucha.

Opis rozpatrywanej technologii medycznej

Wziewne kortykosteroidy zawierające substancję czynną *budesonidum*.

Budesonid – lek o silnym działaniu przeciwzapalnym, pozbawiony jest działań ogólnoustrojowych, w tym hamujących czynność kory nadnerczy

Kortykosteroidy do stosowania do nosa zawierające substancję czynną *fluticasonum*.

Flutikazon – lek silnym działaniu przeciwzapalnym, podawany donosowo nie działa lub w minimalnym stopniu działa ogólnie.

Alternatywne technologie medyczne

Wirusowe zapalenie krtani – leczenie objawowe, unikanie mówienia i kontaktu z czynnikami drażniącymi.

Niealergiczny nieżyt nosa – leczenie objawowe - leki przeciwgorączkowe, przeciwbólowe, alfa - sympatykomimetyki, w późniejszej fazie leki mukolityczne. Przy nadkażeniu bakteryjnym

antybiotykoterapia. Stosuje się także antybiotyki, leki mukolityczne, leki z grupy antagonistów receptora leukotrienowego.

Alergiczny nieżyt nosa – leczenie obejmuje stosowanie leków przeciwhistaminowych i glikokortykosteroidów, leków obkurczających błonę śluzową, kromonów, leki cholinolityczne i grupy antagonistów receptora leukotrienowego. Glikokortykosteroidy stosowane miejscowo (donosową) stanowią podstawowe leczenie.

Nieżyt trąbki słuchowej powikłany wysiękowym zapaleniem ucha – leczenie polega na stosowaniu leków przeciwzapalnych, przeciwbólowych i przeciwgorączkowych, antybiotykoterapii.

Dowody naukowe

Publikacje naukowe:

- na temat budesonidu stosowanego w zapaleniu krtani u dzieci – 32 pozycje, potwierdzające skuteczność stosowania, w tym szybkie łagodzenie objawów i skrócenie czasu hospitalizacji w przypadku zapalenia krtani;
- na temat flutikazonu stosowanego w nieżytach nosa u dzieci – 27 publikacji. Większość prac dotyczyła leczenia alergicznego nieżytu;
- na temat flutikazonu stosowanego w zapaleniu ucha środkowego u dzieci – 117 publikacji, w tym 5 dotyczących stosowania różnych glikokortykoidów. Wyniki prac nie są jednoznaczne.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Wytyczne EPO z 2007 r.

W ostrym zapaleniu zatok przynosowych, w pierwszych dniach leczenia stosuje się leki przeciwbólowe, przeciwzapalne i działające obkurczająco na błonę śluzową nosa i zatok przynosowych. Podkreśla się rolę glikokortykosteroidów donorowych (zwłaszcza donosowych produktów firmy GSK). Jeżeli objawy nie ustępują lub nasilają się po 5 dniach wskazane jest podanie antybiotyku i kontynuowanie lub leczenie donorowymi kortykosteroidami. Jeżeli konieczny jest zabieg operacyjny, to po nim też należy stosować donosowe glikokortykosteroidy – hamowanie rozwoju procesu chorobowego, zmniejszenie ryzyka ponownego zabiegu operacyjnego.

Wytyczne ARIA z 2010 r.

- sugeruje się leczenie alergicznego nieżytu nosa u dzieci donosowych preparatów GSK (zalecenie 18)
- sugeruje się stosowanie preparatów donorowych GSK, zamiast doustnych leków przeciwhistaminowych w leczeniu sezonowego alergicznego nieżytu nosa u dzieci (zalecenie 19)
- zaleca się stosowanie u chorych z alergicznym nieżytem nosa - donosowych preparatów GSK zamiast donosowych preparatów z lekiem przeciwhistaminowych (zalecenie 20)
- zaleca się stosowanie u chorych z alergicznym nieżytem nosa donosowych preparatów GSK, zamiast doustnych leków z grupy antagonistów receptora leukotrienowego (dane dotyczą montelukastu) (zalecenie 21)

Brytyjska agencja MHRA zarejestrowała Flixonase nasal spray 50 mcg do leczenia sezonowego i całorocznego alergicznego nieżytu nosa u dzieci od 4 roku życia.

Opinie konsultantów krajowych

██ – opowiada się za objęciem refundacją preparatów budesonidu i flutikazonu

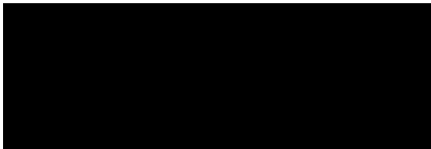
██ także stoi na stanowisku potrzeby stosowania terapii steroidowej w infekcjach wirusowych u dzieci

Podkreślono, że:

- leczenie steroidami (w formie nebulizacji) zapaleń krtani u dzieci jest podstawową formą terapii. Zapobiega konieczności wykonywania tracheotomii lub intubacji
- forma donosowa steroidu jest bezpieczna i skuteczna, zapobiega powikłaniom w postaci zapalenia zatok i zapalenia ucha

- terapia steroidowa w infekcjach wirusowych pozwala na skrócenie czasu leczenia oraz zmniejszenia kosztów w sytuacji nadważenia bakteryjnego.

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



 Rady Przejrzystości



Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem opracowania Agencji Oceny Technologii Medycznych „Budesonidum i fluticasonum - stosowanie leków w pediatrii przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w CHPL”, Sprawa nr: AOTM-BP-0602-17/JTM/2012. Warszawa, marzec 2012 r.

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

1. Opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady Przejrzystości w dniu 27.03.2012 r.
2. Jakubiak L. *Poza wskazaniami, ale nie poza prawem*. Rynek zdrowia, 10.03.2010 r. [dostęp 27.03.2012: www.rynekzdrowia.pl/Farmacja/Leki-stosowane-pozawskazaniami-ale-nie-pozaprawem,15920,6,drukuj.html]



Opinia Rady Przejrzystości
nr 39/2012 z dnia 27 marca 2012
w sprawie objęcia refundacją leków stosowanych w
schorzeniach reumatologicznych,
w zakresie wskazań do stosowania/dawkowania/sposobu podawania
odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, preparatów zawierających mykofenolan mofetilu w następujących wskazaniach: leczenie toczenia rumieniowatego układowego oraz twardziny układowej. Rada uważa jednocześnie za zasadne finansowanie kwasu foliowego u chorych przyjmujących metotreksat w schorzeniach reumatologicznych.

Uzasadnienie

Zgodnie z rekomendacjami EULAR stosowanie mykofenolanu mofetilu rekomendowane jest jedynie w leczeniu toczenia rumieniowatego układowego oraz twardziny układowej.

Zgodnie z rekomendacjami EULAR suplementacja kwasem foliowym przy leczeniu metotreksatem jest skuteczna w zapobieganiu działaniom niepożądanym ze strony układu pokarmowego i błon śluzowych. Znaczna część polskich wytycznych i prac przeglądowych zawiera informacje dotyczące suplementacji kwasem foliowym u pacjentów leczonych metotreksatem.

Dodatkowe uwagi Rady

Zdaniem wielu ekspertów polskie prawo rozróżnia tylko dwie drogi ordynowania leków: zgodnie ze wskazaniami zawartymi w ChPL i poza wskazaniami, w ramach eksperymentu medycznego, co obarczone jest koniecznością spełnienia szeregu wymogów, w tym m.in. przejścia całej procedury uzyskania zgody komisji bioetycznej. Rozróżnienie na stosowanie produktów poza wskazaniami na soft- i off-label nie jest pojęciem prawnym [2]. Zdaniem Rady niezbędne jest uporządkowanie regulacji prawnych dotyczących eksperymentów medycznych i stosowania leków off-label w Polsce.



Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy wydania opinii w sprawie objęcia refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, leków stosowanych w pediatrii, zawierających substancje czynne:

- *Budesonidum* we wskazaniu: zapalenie wirusowe krtani u dzieci,
- *Fluticasonum* we wskazaniach: nieżyty infekcyjne i alergiczne nosa, nieżyt trąbki słuchowej powikłany wysiękowym zapaleniem ucha

oraz schorzeniach reumatologicznych, zawierających substancje czynne:

- *Acidum alendronicum* we wskazaniach: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Acidum folicum* we wskazaniu: u chorych przyjmujących metotreksat;
- *Amlodipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Azathioprinum* we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne;
- *Cilazaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Colecalciferolum (vit. D3)* we wskazaniach: osteoporoza, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Diltiazemum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Enalaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Enoxaparinum natriicum* we wskazaniu: zespół antyfosfolipidowy w ciąży;
- *Lisinoprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Lisinoprilum + Amlodipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Lisinoprilum + Hydrochlorothiazidium* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Nitrendipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Perindoprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Quinaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Ramiprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Risedronatum natriicum* we wskazaniach: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Valsartanum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Valsartanum + Hydrochlorothiazidium* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Verapamilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Cyclophosphamidum* we wskazaniach: choroby autoimmunizacyjne, amyloidoza;
- *Mycophenolas mofetil* we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne;

dla których wydano decyzje o objęciu refundacją, o której mowa w ustawie z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.



 Rady Przejrzystości



Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ust. 1 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem opracowań Agencji Oceny Technologii Medycznych: „Leki stosowane w schorzeniach reumatologicznych poza wskazaniami objętymi Charakterystyką Produktu Leczniczego: kwas foliowy, cyklosporyna, mykofenolan mofetilu”, AOTM-OT-434-5/2012, Warszawa, marzec 2012 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 40/2012 z dnia 27 marca 2012
w sprawie objęcia refundacją leków stosowanych w
schorzeniach reumatologicznych,
w zakresie wskazań do stosowania/dawkowania/sposobu podawania
odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, antagonistów wapnia (amlodypina, diltiazem, nitrendypina, verapamil) w leczeniu pierwszoliniowym objawu Raynauda związanego z twardziną układową (SSc-RP – ang. Systemic Sclerosis-related Raynaud's Phenomenon). Jednocześnie Rada uważa za niezasadne objęcie refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, inhibitorów konwertazy angiotensyny (cilazapril, enalapril, lisinopril, perindopril, quinapril, ramipril) oraz antagonistów receptora angiotensyny II (valsartan) w objawie Raynaud.

Uzasadnienie

W toku przeszukiwania nie odnaleziono polskich rekomendacji klinicznych w odniesieniu do rozpatrywanego zagadnienia. Zgodnie z brytyjskimi zaleceniami The NHS Clinical Knowledge Summaries – Clinical Knowledge Summaries – NHS Evidence: Raynaud's Phenomenon, leczenie objawu Raynaud blokerami kanałów wapniowych jest zalecane.

Natomiast w badaniu Kahan, 1985 wykazano, że diltiazem w sposób istotny statystycznie obniża częstotliwość oraz nasilenie ataków objawu Raynauda w porównaniu z placebo. Efekt pozytywny był szczególnie widoczny w podgrupie pacjentów z pierwotnym objawem Raynauda. Korzyści okazały się możliwe do osiągnięcia bez istotnych skutków ubocznych.

Nie odnaleziono przekonujących dowodów na zasadność stosowania inhibitorów konwertazy angiotensyny oraz antagonistów receptora angiotensyny II w objawie Raynaud.

Dodatkowe uwagi Rady

Zdaniem wielu ekspertów polskie prawo rozróżnia tylko dwie drogi ordynowania leków: zgodnie ze wskazaniami zawartymi w ChPL i poza



wskazaniami, w ramach eksperymentu medycznego, co obarczone jest koniecznością spełnienia szeregu wymogów, w tym m.in. przejścia całej procedury uzyskania zgody komisji bioetycznej. Rozróżnienie na stosowanie produktów poza wskazaniami na soft- i off-label nie jest pojęciem prawnym [2]. Zdaniem Rady niezbędne jest uporządkowanie regulacji prawnych dotyczących eksperymentów medycznych i stosowania leków off-label w Polsce.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy wydania opinii w sprawie objęcia refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, leków stosowanych w pediatrii, zawierających substancje czynne:

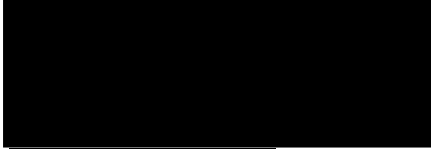
- *Budesonidum* we wskazaniu: zapalenie wirusowe krtani u dzieci,
- *Fluticasonum* we wskazaniach: nieżyty infekcyjne i alergiczne nosa, nieżyt trąbki słuchowej powikłany wysiękowym zapaleniem ucha

oraz schorzeniach reumatologicznych, zawierających substancje czynne:

- *Acidum alendronicum* we wskazaniach: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Acidum folicum* we wskazaniu: u chorych przyjmujących metotreksat;
- *Amlodipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Azathioprinum* we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne;
- *Cilazaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Colecalciferolum (vit. D3)* we wskazaniach: osteoporoza, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Diltiazemum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Enalaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Enoxaparinum natriicum* we wskazaniu: zespół antyfosfolipidowy w ciąży;
- *Lisinoprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Lisinoprilum + Amlodipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Lisinoprilum + Hydrochlorothiazidium* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Nitrendipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Perindoprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Quinaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Ramiprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Risedronatum natriicum* we wskazaniach: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Valsartanum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Valsartanum + Hydrochlorothiazidium* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Verapamilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Cyclophosphamidum* we wskazaniach: choroby autoimmunizacyjne, amyloidoza;

- *Mycophenolas mofetil* we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne;

dla których wydano decyzje o objęciu refundacją, o której mowa w ustawie z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.



Rady Przejrzystości



Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ust. 1 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem opracowań Agencji Oceny Technologii Medycznych: „Produkty lecznicze zawierające amlodypinę, diltiazem, enalapril, cilazapril, lisinopril, perindopril, quinapril, ramipril, valsartan, nitrendypinę i verapamil w leczeniu objawu Raynauda – stosowanie poza wskazaniami objętymi refundacją zgodną z Charakterystyką Produktu Leczniczego”, Warszawa, marzec 2012 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 41/2012 z dnia 27 marca 2012
w sprawie objęcia refundacją leków stosowanych w
schorzeniach reumatologicznych,
w zakresie wskazań do stosowania/dawkowania/sposobu podawania
odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego cyklofosfamidu w leczeniu chorób autoimmunizacyjnych i amyloidozy oraz azatiopryny w leczeniu chorób autoimmunizacyjnych.

Uzasadnienie

Stosowanie azatiopryny w leczeniu chorób autoimmunizacyjnych jest standardowym postępowaniem zgodnym z ChPL, ale niektóre jednostki chorobowe nie są w ChPL jednoznacznie zapisane, co może powodować problemy interpretacyjne w zakresie wskazań.

Cyklofosfamid jest zalecany wyjątkowo w przewlekłych zapaleniach stawów, zwłaszcza powikłanych amyloidozą, oraz w układowych chorobach tkanki łącznej.

Dodatkowe uwagi Rady

Zdaniem wielu ekspertów polskie prawo rozróżnia tylko dwie drogi ordynowania leków: zgodnie ze wskazaniami zawartymi w ChPL i poza wskazaniami, w ramach eksperymentu medycznego, co obarczone jest koniecznością spełnienia szeregu wymogów, w tym m.in. przejścia całej procedury uzyskania zgody komisji bioetycznej. Rozróżnienie na stosowanie produktów poza wskazaniami na soft- i off-label nie jest pojęciem prawnym [2]. Zdaniem Rady niezbędne jest uporządkowanie regulacji prawnych dotyczących eksperymentów medycznych i stosowania leków off-label w Polsce.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy wydania opinii w sprawie objęcia refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, leków stosowanych w pediatrii, zawierających substancje czynne:

- *Budesonidum* we wskazaniu: zapalenie wirusowe krtani u dzieci,



- *Fluticasonum* we wskazaniach: nieżyty infekcyjne i alergiczne nosa, nieżyt trąbki słuchowej powikłany wysiękowym zapaleniem ucha

oraz schorzeniach reumatologicznych, zawierających substancje czynne:

- *Acidum alendronicum* we wskazaniach: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Acidum folicum* we wskazaniu: u chorych przyjmujących metotreksat;
- *Amlodipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Azathioprinum* we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne;
- *Cilazaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Colecalciferolum (vit. D3)* we wskazaniach: osteoporoza, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Diltiazemum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Enalaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Enoxaparinum natriicum* we wskazaniu: zespół antyfosfolipidowy w ciąży;
- *Lisinoprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Lisinoprilum + Amlodipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Lisinoprilum + Hydrochlorothiazidium* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Nitrendipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Perindoprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Quinaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Ramiprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Risedronatum natriicum* we wskazaniach: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Valsartanum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Valsartanum + Hydrochlorothiazidium* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Verapamilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Cyclophosphamidum* we wskazaniach: choroby autoimmunizacyjne, amyloidoza;
- *Mycophenolas mofetil* we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne;

dla których wydano decyzje o objęciu refundacją, o której mowa w ustawie z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.



Redacted area Rady Przejrzystości



Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ust. 1 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem opracowań Agencji Oceny Technologii Medycznych: „Leki stosowane w schorzeniach reumatologicznych poza wskazaniami objętymi Charakterystyką Produktu Leczniczego: azatiopryna, metotreksat, chlorochina, sulfasalazyna, cyklofosfamid”, AOTM-OT-434-6/2012. Warszawa, marzec 2012 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 42/2012 z dnia 27 marca 2012
w sprawie objęcia refundacją leków stosowanych w
schorzeniach reumatologicznych,
w zakresie wskazań do stosowania/dawkowania/sposobu podawania
odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, enoxaparinum natricum w zespole antyfosfolipidowym w ciąży.

Uzasadnienie

Omawiana technologia we wskazaniu zespół antyfosfolipidowy w ciąży była przedmiotem posiedzenia Rady Przejrzystości w dniu 15 lutego 2012 r. (Opinia nr 5/2012).

Rada Przejrzystości uznała za zasadne objęcie refundacją w zakresie wskazań do stosowania odmiennych niż określone w CHPL heparyn drobnocząsteczkowych, we wskazaniu „zespół antyfosfolipidowy w ciąży”, w tym enoxaparynę – jedną z heparyn drobnocząsteczkowych.

Dodatkowe uwagi Rady

Zdaniem wielu ekspertów polskie prawo rozróżnia tylko dwie drogi ordynowania leków: zgodnie ze wskazaniami zawartymi w ChPL i poza wskazaniami, w ramach eksperymentu medycznego, co obarczone jest koniecznością spełnienia szeregu wymogów, w tym m.in. przejścia całej procedury uzyskania zgody komisji bioetycznej. Rozróżnienie na stosowanie produktów poza wskazaniami na soft- i off-label nie jest pojęciem prawnym [2]. Zdaniem Rady niezbędne jest uporządkowanie regulacji prawnych dotyczących eksperymentów medycznych i stosowania leków off-label w Polsce.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy wydania opinii w sprawie objęcia refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, leków stosowanych w pediatrii, zawierających substancje czynne:

- *Budesonidum* we wskazaniu: zapalenie wirusowe krtani u dzieci,



- *Fluticasonum* we wskazaniach: nieżyty infekcyjne i alergiczne nosa, nieżyt trąbki słuchowej powikłany wysiękowym zapaleniem ucha

oraz schorzeniach reumatologicznych, zawierających substancje czynne:

- *Acidum alendronicum* we wskazaniach: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Acidum folicum* we wskazaniu: u chorych przyjmujących metotreksat;
- *Amlodipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Azathioprinum* we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne;
- *Cilazaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Colecalciferolum (vit. D3)* we wskazaniach: osteoporoza, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Diltiazemum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Enalaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Enoxaparinum natriicum* we wskazaniu: zespół antyfosfolipidowy w ciąży;
- *Lisinoprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Lisinoprilum + Amlodipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Lisinoprilum +Hydrochlorothiazidium* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Nitrendipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Perindoprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Quinaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Ramiprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Risedronatum natriicum* we wskazaniach: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Valsartanum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Valsartanum + Hydrochlorothiazidium* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Verapamilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Cyclophosphamidum* we wskazaniach: choroby autoimmunizacyjne, amyloidoza;
- *Mycophenolas mofetil* we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne;

dla których wydano decyzje o objęciu refundacją, o której mowa w ustawie z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.



██████████ Rady Przejrzystości



Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ust. 1 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem opracowań Agencji Oceny Technologii Medycznych: „Clexane objęcie refundacją we wskazaniach odmiennych niż w ChPL”, AOTM-DS-434-3. Warszawa, marzec 2012 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 43 z dnia 27 marca 2012 r.

o programie zdrowotnym „*Monitorowanie zdrowia w ochronie ekologicznej dziecka w środowisku domowym, szkolnym oraz w trakcie pobytu uczniów klas III szkół podstawowych z gminy Polkowice na zielonych szkołach*”

Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Monitorowanie zdrowia w ochronie ekologicznej dziecka w środowisku domowym, szkolnym oraz w trakcie pobytu uczniów klas III szkół podstawowych z gminy Polkowice na zielonych szkołach”.

Uzasadnienie

Projekt dotyczy istotnego problemu zdrowotnego w skali regionu. Program zdrowotny uwzględnia charakterystykę i potrzeby grupy docelowej. Dzieci są populacją krytyczną dla narażenia na ołów, a skutki zdrowotne wynikające z takiej ekspozycji są poważniejsze niż w przypadku osób dorosłych. Zaproponowane przez autorów interwencje są rekomendowane w światowych wytycznych, również w opinii Ekspertów są to działania o udowodnionej skuteczności w określonej w programie populacji. Autorzy projektu przedstawili wskaźniki efektywności, monitorowania i ewaluacji co umożliwi jego ocenę po zakończeniu realizacji.

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego gminy Polkowice ukierunkowany na ograniczanie skutków zdrowotnych związanych z narażeniem na szkodliwe czynniki środowiska, w tym przede wszystkim ołów, u dzieci powyżej 3 roku życia, ze szczególnym uwzględnieniem dzieci 9-letnich i 10-letnich. W ramach programu zakłada się przeprowadzenie następujących interwencji: działania edukacyjne dla dzieci i rodziców, przeprowadzenie ankiety środowiskowej, badanie laboratoryjne na obecność ołowiu w surowicy krwi, w razie konieczności dodatkowe badania uzupełniające po ustaleniu diagnozy, wyjazd na „Zieloną szkołę”, badania kontrolne po powrocie. Przewidywana liczba miejsc w programie to 600, program będzie finansowany z budżetu gminy Polkowice, a koszt jego realizacji wyniesie 125 000 zł.

Problem zdrowotny

Dzieci stanowią subpopulację krytyczną dla przewlekłego narażenia na ołów. W wyniku ekspozycji na ten czynnik może dojść do uszkodzeń w obrębie ośrodkowego układu nerwowego, co w konsekwencji prowadzi do subtelnych i nieswoistych zmian behawioralnych, upośledzenia sprawności ruchowej oraz opóźnienia rozwoju intelektualnego, ocenianego za pomocą ilorazu inteligencji (IQ). Przewlekłe zatrucie ołowiem dzieci powoduje opóźnienie umysłowe, trudności szkolne, zachowania agresywne i



zahamowanie ich rozwoju. Ponadto ołów powoduje uszkodzenia słuchu, podwyższenie ciśnienia skurczowego krwi, nefropatię i zaburzenia czynności nerek.

Alternatywne świadczenia

Programy zdrowotne z zakresu przeciwdziałania negatywnym skutkom oddziaływania ołowiu na organizm dzieci wpisują się w 6. cel operacyjny Narodowego Programu Zdrowia na lata 2007-2015 dotyczący czynników ryzyka i działań w zakresie promocji zdrowia – Zmniejszenie narażenia na czynniki szkodliwe w środowisku życia i pracy oraz ich skutków zdrowotnych i poprawa stanu sanitarnego kraju. Programy zdrowotne związane z przeciwdziałaniem ekspozycji na ołów w ramach świadczeń gwarantowanych, nie są jednak finansowane.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

- W przesłanych na prośbę Agencji opiniach ekspertów: prowadzenie programów zdrowotnych dotyczących badań przesiewowych, profilaktyki, edukacji i ograniczenia skutków zdrowotnych związanych z ekspozycją na ołów uważane jest za zasadne w rejonach o szczególnym narażeniu na szkodliwe wpływy środowiskowe;
- dzieci są właściwą populacją do realizowania tego typu programów zdrowotnych z uwagi na największe znaczenie profilaktyki oraz poważne skutki związane z przewlekłą ekspozycją na ołów, takie jak: opóźnienie psychiczne i fizyczne, rozwój niedokrwiistości, encefalopatia oraz uszkodzenia neurologiczne i nefrologiczne;
- badaniem umożliwiającym określenie narażenia środowiskowego na ołów jest określenie stężenia ołowiu we krwi, natomiast badanie psychologiczne umożliwia ocenę rozwoju umysłowego;
- wśród czynników monitorowania tego typu programów powinny znaleźć się: dokładna statystyka przypadków neurologicznych, hematologicznych, pediatrycznych i nefrologicznych przed i po realizacji programu, ankieta oceniająca zmiany w zachowaniu rodzin objętych programem.

Odnaleziono zagraniczne rekomendacje kliniczne: U.S. Preventive Service Task Force (USPSTF), Centers for Disease Control and Prevention Advisory Committee (CDC), American College of Preventive Medicine (ACPM), American Academy of Pediatrics (AAP), Canadian Task Force (CTF), odnoszące się do wykrywania związków ołowiu u dzieci. Poniżej przedstawiono podsumowanie tych wytycznych:

- wykonywanie badań przesiewowych u dzieci z grupy przeciętnego ryzyka, u których nie wystąpiły objawy choroby, nie jest rekomendowane;
- stanowisko dotyczące przeprowadzania badań przesiewowych z wykorzystaniem pomiaru stężenia ołowiu we krwi wśród dzieci z grupy ryzyka jest podzielone:
 - a) USPSTF zwraca uwagę na brak wystarczających dowodów na skuteczność tego typu działań (rekomendacja opracowywana dla dzieci w wieku 1 do 5 lat);
 - b) CDC i AAP rekomendują przeprowadzanie przesiewu wśród dzieci z grupy ryzyka w 12. i 24. miesiącu życia oraz pomiędzy 36. a 72. miesiącem życia, jeżeli badanie nie było wykonywane wcześniej;
 - c) ACPM rekomenduje przeprowadzanie przesiewu u 1-letnich dzieci tylko w przypadku zwiększonego ryzyka występowania podwyższonego poziomu ołowiu we krwi;
 - d) CTF rekomenduje prowadzenie badań przesiewowych u dzieci z grupy ryzyka oraz stwierdza brak wystarczających dowodów do rekomendowania przesiewu u dzieci w populacji ogólnej;

- CDC i AAP rekomendują profilaktyczną opiekę dla każdego dziecka polegającą na pozyskiwaniu informacji dotyczących środowiska życia oraz identyfikowaniu narażenia zawodowego u wszystkich członków gospodarstwa domowego;
- zdaniem CDC wartość progowa poziomu ołowiu we krwi, przy której powinny być podejmowane działania związane z promocją zdrowia, to 10 µl/dl;
- zalecenia CDC dla lekarzy:
 - a) względem rodziców: zapewnianie materiałów edukacyjnych, pomoc w identyfikowaniu źródeł zagrożenia, pozyskiwanie informacji dotyczących środowiska pracy, udzielanie informacji o skutkach zdrowotnych związanych z narażeniem na ołów;
 - b) względem dzieci: ocena stopnia rozwoju, w przypadkach gdy to będzie konieczne – zapewnianie dalszej diagnostyki i terapii, badanie poziomu ołowiu we krwi u wszystkich dzieci, u których podejrzewa się ekspozycję na ołów;
- zalecenia CDC dla agencji rządowych: kontrola zanieczyszczenia ołowiem m.in. powietrza, produktów żywnościowych, poprzez odpowiednie regulacje prawne skłanianie płatników do przeprowadzania badań określających poziom ołowiu we krwi, identyfikowanie grup społecznych, w których występuje zwiększona ekspozycja na ołów, opracowywanie materiałów edukacyjnych;

Program zdrowotny gminy Polkowice ma przebiegać w pięciu etapach. Etap pierwszy to działania edukacyjne dla dzieci i rodziców oraz przeprowadzenie ankiety środowiskowej. Etap drugi ma polegać na przeprowadzeniu badania laboratoryjnego krwi na obecność ołowiu, następnie w etapie trzecim zostanie postawiona diagnoza na podstawie wypełnionych ankiet oraz uzyskanych wyników badania krwi. W razie potrzeby zostaną przeprowadzone badania uzupełniające (morfologia, poziom żelaza, inne metale ciężkie) we współpracy z pediatrami i psychologami oraz konsultacje specjalistyczne (z neurologiem, psychologiem). Czwarty etap to wyjazd na tzw. „Zielone Szkoły” w trakcie wyjazdu prowadzona będzie apiterapia, po powrocie z turnusu zostaną przeprowadzone badania kontrolne (etap piąty).

Ewentualne uzupełnienie treści programu mogłoby dotyczyć: tematu pogadank z rodzicami, metodyki oznaczania ołowiu, określenia, w jakim przypadku wykonywane będą dodatkowe badania (powinno być to uzależnione od uzyskanego stężenia ołowiu we krwi).

W przedstawionym kosztorysie oprócz informacji dotyczącej całkowitej sumy realizacji zawarto również informacje dotyczące kosztu jednostkowego oraz wymieniono elementy składowe kosztów, przy czym nie zaznaczono, jaki będzie koszt każdej z przeprowadzonych interwencji.

Autorzy zwracają uwagę na to, że program był już realizowany przez Polkowice w latach 1993-2008 i z analiz Fundacji na Rzecz Dzieci Zagłębia Miedziowego w Legnicy wynika, że działania lecznicze, edukacyjne i zdrowotne prowadzone w ramach programu były skuteczne.

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

[REDAKTOWANE]
Rady Przejrzystości
[REDAKTOWANE]

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Monitorowanie zdrowia w ochronie ekologicznej dziecka w środowisku domowym, szkolnym oraz w trakcie pobytu uczniów klas III szkół podstawowych z gminy Polkowice na zielonych szkołach” realizowanym przez gminę Polkowice, nr: AOTM-OT-441-159/2011, Warszawa, marzec 2012 i aneksu „Monitorowanie zdrowia dzieci w wieku szkolnym z terenów narażenia środowiskowego na ołów – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów nr: AOTM-OT-441-127/2011, AOTM-OT-441-159/2011, Warszawa, marzec 2012.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 44/2012 z dnia 27 marca 2012
w sprawie objęcia refundacją leków stosowanych w
schorzeniach reumatologicznych,
w zakresie wskazań do stosowania/dawkowania/sposobu podawania
odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, preparatów kwasu alendronowego we wskazaniu: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL (zgodnie z zaleceniami ACR i polskimi) oraz ryzedronianu sodu we wskazaniu: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL (zgodnie z zaleceniami EULAR i polskimi), profilaktyka osteoporozy posterydowej oraz preparatów kolekalcyferolu we wskazaniu: osteoporoza, profilaktyka osteoporozy posterydowej (zgodnie z zaleceniami EULAR i polskimi).

Uzasadnienie

Stosowanie alendronianu i ryzedronianu zmniejsza częstość złamań kręgow u kobiet i mężczyzn leczonych glikokortykosteroidami (GKS). Według polskich zaleceń postępowania diagnostycznego i leczniczego w osteoporozie z 2011 r., alendronian zmniejsza ryzyko złamań osteoporotycznych u mężczyzn z osteoporozą niezależnie od ich stanu hormonalnego. Ryzedronian zwiększa wskaźnik Bone Mass Density u mężczyzn z osteoporozą, ale wpływ takiego postępowania na ryzyko złamań pozostaje nieznany. Australijski Pharmaceutical Benefits Advisory Committee zarekomendował rozszerzenie listy wskazań refundowanych dla alendronianu i jego skojarzenia z wapniem lub kolekalcyferolem (2010 r.) oraz dla ryzedronianu sodu i ryzedronianu sodu z wapniem (2008 r.) o leczenie osteoporozy wywołanej glikokortykosteroidami u pacjentów poddanych długoterminowej terapii (min. 3 miesiące). Również Haute Autorite de Sante we Francji w 2007 r. wydał pozytywną rekomendację odnośnie finansowania ryzedronianu sodu we wskazaniu leczenie osteoporozy u mężczyzn z wysokim ryzykiem złamań.

Polskie zalecenia postępowania diagnostycznego i leczniczego w osteoporozie z 2011 r. proponują suplementację wapnia i witaminy D u wszystkich osób, u których planuje się lub kontynuuje leczenie GKS. Polskie zalecenia postępowania diagnostycznego i leczniczego w osteoporozie z 2011 r. wskazują, iż preparaty



wapnia i witaminy D są podstawą profilaktyki i niezbędnym składnikiem leczenia farmakologicznego osteoporozy. Identyfikacja i uzupełnienie niedoboru witaminy D stanowi warunek niezbędny farmakoterapii osteoporozy. Na podstawie opinii ekspertów Rada uważa, że stosowanie kolekalcylferolu we wskazaniu: osteoporoza, profilaktyka osteoporozy posterydowej jest postępowaniem standardowym w tej chorobie, natomiast charakterystyki produktu nie uwzględniają tego jednoznacznie, bądź ograniczają się jedynie do krzywicy i osteomalacji.

Dodatkowe uwagi Rady

Zdaniem wielu ekspertów polskie prawo rozróżnia tylko dwie drogi ordynowania leków: zgodnie ze wskazaniami zawartymi w ChPL i poza wskazaniami, w ramach eksperymentu medycznego, co obarczone jest koniecznością spełnienia szeregu wymogów, w tym m.in. przejścia całej procedury uzyskania zgody komisji bioetycznej. Rozróżnienie na stosowanie produktów poza wskazaniami na soft- i off-label nie jest pojęciem prawnym [2]. Zdaniem Rady niezbędne jest uporządkowanie regulacji prawnych dotyczących eksperymentów medycznych i stosowania leków off-label w Polsce.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy wydania opinii w sprawie objęcia refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, leków stosowanych w pediatrii, zawierających substancje czynne:

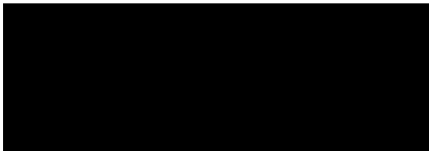
- *Budesonidum* we wskazaniu: zapalenie wirusowe krtani u dzieci,
- *Fluticasonum* we wskazaniach: nieżyty infekcyjne i alergiczne nosa, nieżyt trąbki słuchowej powikłany wysiękowym zapaleniem ucha

oraz schorzeniach reumatologicznych, zawierających substancje czynne:

- *Acidum alendronicum* we wskazaniach: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Acidum folicum* we wskazaniu: u chorych przyjmujących metotreksat;
- *Amlodipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Azathioprinum* we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne;
- *Cilazaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Colecalciferolum (vit. D3)* we wskazaniach: osteoporoza, profilaktyka osteoporozy posterydowej;
- *Diltiazemum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Enalaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Enoxaparinum natrium* we wskazaniu: zespół antyfosfolipidowy w ciąży;
- *Lisinoprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Lisinoprilum + Amlodipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Lisinoprilum +Hydrochlorothiazidium* we wskazaniu: objaw Raynauda;

- *Nitrendipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Perindoprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Quinaprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Ramiprilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Risedronatum natricum* we wskazaniach: inne osteoporozy niż wymienione w ChPL, profilaktyka osteoporozy posteroïdowej;
- *Valsartanum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Valsartanum + Hydrochlorothiazidium* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Verapamilum* we wskazaniu: objaw Raynauda;
- *Cyclophosphamidum* we wskazaniach: choroby autoimmunizacyjne, amyloidoza;
- *Mycophenolas mofetil* we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne;

dla których wydano decyzje o objęciu refundacją, o której mowa w ustawie z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.



██████████ Rady Przejrzystości



Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ust. 1 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem opracowań Agencji Oceny Technologii Medycznych: „Kwas alendronowy, cholekalcyferol i ryzedronian sodu we wskazaniach odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego”, AOTM-OT-434-8/2012, Warszawa, marzec 2012 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. opracowaniu: opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady Przejrzystości w dniu 27.03.2012 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 45 z dnia 27 marca 2012 r.

o programie zdrowotnym „Wpływ związków ołowiu na rozwój psychomotoryczny uczniów klas od I do III szkół podstawowych w dzielnicach Piekary Śląskich: Brzozowice – Kamień, Brzeziny Śl., Dąbrówka Wielka”

Rada wydaje pozytywną opinię o projekcie programu zdrowotnego „Wpływ związków ołowiu na rozwój psychomotoryczny uczniów klas od I do III szkół podstawowych w dzielnicach Piekary Śląskich: Brzozowice – Kamień, Brzeziny Śl., Dąbrówka Wielka” pod warunkiem uwzględnienia na etapie realizacyjnym uwag Ekspertów oraz Agencji Oceny Technologii Medycznych.

Uzasadnienie

Projekt dotyczy istotnego problemu zdrowotnego w skali regionu. Program zdrowotny uwzględnia charakterystykę i potrzeby grupy docelowej. Dzieci są populacją krytyczną dla narażenia na ołów, a skutki zdrowotne wynikające z takiej ekspozycji są poważniejsze niż w przypadku osób dorosłych. Interwencje zaproponowane w programie są rekomendowane w światowych wytycznych, również w opinii Ekspertów są to działania o udowodnionej skuteczności w określonej w programie populacji. Poniższe krytyczne uwagi ekspertów oraz Agencji Oceny Technologii Medycznych powinny zostać uwzględnione na etapie realizacyjnym:

- Brak konkretnych informacji na temat metodyki badania krwi i przeprowadzanego testu psychologicznego.
- Postępowanie z beneficjentami powinno być uzależnione od wysokości stężeń ołowiu we krwi badanych. Badanie psychologiczne i badanie słuchu wydają się zasadne nie u wszystkich dzieci, a tylko u tych z podwyższonym poziomem ołowiu.
- Brak kwestionariusza/ankiety dotyczącej źródeł narażenia na ołów dzieci biorących udział w programie - uzyskane informacje umożliwiłyby wdrożenie postępowania profilaktycznego.
- Brak charakterystyki i wymagań względem realizatorów programu, nie wyznaczono koordynatora programu.
- Sugerowane wskaźniki monitorowania: liczba dzieci objętych badaniami w stosunku do zaplanowanych (%), liczba wyników nieprawidłowych każdego z zaplanowanych badań (%), liczba i rodzaj podjętych działań medycznych.

Przedmiot opinii

Przedmiotem opinii jest projekt programu zdrowotnego miasta Piekary Śląskie, ukierunkowany na ograniczanie skutków zdrowotnych związanych z narażeniem na szkodliwe czynniki środowiska, w tym przede wszystkim ołów, u dzieci klas od I do III szkół podstawowych. W ramach programu zakłada się przeprowadzenie następujących



interwencji: oznaczania stężenia ołowiu we krwi, pogadanki z rodzicami, wykonanie testów psychomotorycznych i psychologicznych, przeprowadzenie badania słuchu, przeprowadzenie badania dziecka przez lekarza medycyny pracy, wydawanie skierowań do pogłębionej diagnostyki (np. morfologia krwi), konsultacje w poradni Instytut Medycyny Pracy w Sosnowcu. Program ma być realizowany w latach 2012-2015. Przewidziana liczba miejsc w programie to 450, program będzie w całości finansowany w budżetu jst, a całkowity koszt realizacji oszacowano na 250 tys. zł.

Problem zdrowotny

Dzieci stanowią subpopulację krytyczną dla przewlekłego narażenia na ołów. W wyniku ekspozycji na ten czynnik może dojść do uszkodzeń w obrębie ośrodkowego układu nerwowego, co w konsekwencji prowadzi do subtelnych i nieswoistych zmian behawioralnych, upośledzenia sprawności ruchowej oraz opóźnienia rozwoju intelektualnego, ocenianego za pomocą ilorazu inteligencji (IQ). Przewlekłe zatrucie ołowiem dzieci powoduje opóźnienie umysłowe, trudności szkolne, zachowania agresywne i zahamowanie ich rozwoju. Ponadto ołów powoduje uszkodzenia słuchu, podwyższenie ciśnienia skurczowego krwi, nefropatię i zaburzenia czynności nerek.

Alternatywne świadczenia

Programy zdrowotne z zakresu przeciwdziałania negatywnym skutkom oddziaływania ołowiu na organizm dzieci wpisują się w 6. cel operacyjny Narodowego Programu Zdrowia na lata 2007-2015 dotyczący czynników ryzyka i działań w zakresie promocji zdrowia – Zmniejszenie narażenia na czynniki szkodliwe w środowisku życia i pracy oraz ich skutków zdrowotnych i poprawa stanu sanitarnego kraju. Programy zdrowotne związane z przeciwdziałaniem ekspozycji na ołów w ramach świadczeń gwarantowanych nie są jednak finansowane.

Wnioski z oceny przeprowadzonej przez Agencję

W przesłanych na prośbę Agencji opiniach ekspertów :

- prowadzenie programów zdrowotnych dotyczących badań przesiewowych, profilaktyki, edukacji i ograniczenia skutków zdrowotnych związanych z ekspozycją na ołów uważane jest za zasadne w rejonach o szczególnym narażeniu na szkodliwe wpływy środowiskowe;
- dzieci są właściwą populacją do realizowania tego typu programów zdrowotnych z uwagi na największe znaczenie profilaktyki oraz poważne skutki związane z przewlekłą ekspozycją na ołów, takie jak: opóźnienie psychiczne i fizyczne, rozwój niedokrwistości, encefalopatia oraz uszkodzenia neurologiczne i nefrologiczne;
- badaniem umożliwiającym określenie narażenia środowiskowego na ołów jest określenie stężenia ołowiu we krwi, natomiast badanie psychologiczne umożliwia ocenę rozwoju umysłowego;
- wśród czynników monitorowania tego typu programów powinny znaleźć się: dokładna statystyka przypadków neurologicznych, hematologicznych, pediatrycznych i nefrologicznych przed i po realizacji programu, ankieta oceniająca zmiany w zachowaniu rodzin objętych programem.

Odnaleziono zagraniczne rekomendacje kliniczne: U.S. Preventive Service Task Force (USPSTF), Centers for Disease Control and Prevention Advisory Committee (CDC), American College of Preventive Medicine (ACPM), American Academy of Pediatrics (AAP), Canadian Task Force (CTF), odnoszące się do wykrywania związków ołowiu u dzieci. Poniżej przedstawiono podsumowanie tych wytycznych:

- wykonywanie badań przesiewowych u dzieci z grupy przeciętnego ryzyka, u których nie wystąpiły objawy choroby, nie jest rekomendowane;

- stanowisko dotyczące przeprowadzania badań przesiewowych z wykorzystaniem pomiaru stężenia ołowiu we krwi wśród dzieci z grupy ryzyka jest podzielone:
 - a) USPSTF zwraca uwagę na brak wystarczających dowód na skuteczność tego typu działań (rekomendacja opracowywana dla dzieci w wieku 1 do 5 lat);
 - b) CDC i AAP rekomendują przeprowadzanie przesiewu wśród dzieci z grupy ryzyka w 12. i 24. miesiącu życia oraz pomiędzy 36. a 72. miesiącem życia, jeżeli badanie nie było wykonywane wcześniej;
 - c) ACPM rekomenduje przeprowadzanie przesiewu u 1-roczych dzieci tylko w przypadku zwiększonego ryzyka występowania podwyższonego poziomu ołowiu we krwi;
 - d) CTF rekomenduje prowadzenie badań przesiewowych u dzieci z grupy ryzyka oraz stwierdza brak wystarczających dowodów do rekomendowania przesiewu u dzieci w populacji ogólnej;
- CDC i AAP rekomendują profilaktyczną opiekę dla każdego dziecka polegającą na pozyskiwaniu informacji dotyczących środowiska życia oraz identyfikowaniu narażenia zawodowego u wszystkich członków gospodarstwa domowego;
- zdaniem CDC wartość progowa poziomu ołowiu we krwi, przy której powinny być podejmowane działania związane z promocją zdrowia, to 10 µl/dl;
- zalecenia CDC dla lekarzy:
 - a) względem rodziców: zapewnianie materiałów edukacyjnych, pomoc w identyfikowaniu źródeł zagrożenia, pozyskiwanie informacji dotyczących środowiska pracy, udzielanie informacji o skutkach zdrowotnych związanych z narażeniem na ołów;
 - b) względem dzieci: ocena stopnia rozwoju, w przypadkach gdy to będzie konieczne – zapewnianie dalszej diagnostyki i terapii, badanie poziomu ołowiu we krwi u wszystkich dzieci, u których podejrzewa się ekspozycję na ołów;
- zalecenia CDC dla agencji rządowych: kontrola zanieczyszczenia ołowiem m.in. powietrza, produktów żywnościowych, poprzez odpowiednie regulacje prawne skłanianie płatników do przeprowadzania badań określających poziom ołowiu we krwi, identyfikowanie grup społecznych, w których występuje zwiększona ekspozycja na ołów, opracowywanie materiałów edukacyjnych;

Głównym zarzutem ekspertów wobec projektu programu miasta Piekary Śląskie jest niedokładność w opisie poszczególnych interwencji. Postępowanie z uczestnikami programu powinno być opisane szczegółowo, ponieważ słuszność przeprowadzenia niektórych interwencji będzie zależała np. od wyniku stężenia ołowiu we krwi. Ponadto projekt powinien zostać uzupełniony o następujące informacje: metodyka badania ołowiu – jaka ilość krwi będzie pobierana (jest to istotne ponieważ beneficjentami są dzieci) oraz jaka metoda oznaczenia zostanie zastosowana, miejsce przeprowadzania badań – istotne z uwagi na zależność wyników od jakości przeprowadzonego oznaczenia, tematyka pogadanek z rodzicami, kompetencje osób realizujących program, rodzaj testu psychologicznego, który zostanie wykorzystany w programie.

Zdaniem Ekspertów populacja beneficjentów została określona prawidłowo. Przewidywana liczba miejsc w programie wyniesie 450 osób. Zdaniem jednego z Ekspertów należy doprecyzować, dlaczego interwencje będą realizowane dwukrotnie, i czy liczba 450 odnosi się do każdego roku oddzielnie, czy też jest to łącznie.

Koszt realizacji programu oszacowano na 250 000 zł i w całości ma być finansowany z budżetu miasta. Suma kosztów jednostkowych pomnożona przez liczbę uczestników, a następnie pomnożona przez 2 z uwagi na ponowne przeprowadzanie badań po 3 latach

daje sumę 171 000 zł. Po doliczeniu kosztów związanych m.in. z kolportażem ulotek, podsumowaniem itd. suma ta wyniesie 177 000 zł. Pozostałe 73 000 zostaną przeznaczone na konsultacje (150 zł/2h, przy czym nie określono, o jakie konkretnie konsultacje chodzi).

Eksperti zwracają uwagę na konieczność opracowania ankiety zawierającej pytania dotyczące źródeł narażenia badanych dzieci, uzyskane informacje umożliwiłyby wdrożenie postępowania profilaktycznego. W ten sposób znaczenie prozdrowotne nie ograniczałoby się jedynie do badanej populacji dzieci. Zebranie informacji na temat czynników mających wpływ na rozwój dziecka pomogłoby określić związek przyczynowo-skutkowy pomiędzy stwierdzonym stężeniem ołowiu we krwi a rozwojem psychicznym dziecka.

Wśród wskaźników monitorowania powinny znaleźć się dodatkowo: liczba dzieci objętych badaniami w stosunku do zaplanowanej liczby (%), liczba wyników nieprawidłowych z zaplanowanych badań (%), liczba i rodzaj podjętych działań medycznych.

Dodatkowe uwagi Rady

W celu optymalnej realizacji założeń programu należy uwzględnić na etapie realizacyjnym uwagi ekspertów oraz Agencji Oceny Technologii Medycznych.

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


Rady Przejrzystości

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48 ust. 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu „Wpływ związków ołowiu na rozwój psychomotoryczny uczniów klas od I do III szkół podstawowych w dzielnicach Piekary Śląskich: Brzozowice – Kamień, Brzeziny Śl., Dąbrówka Wielka” realizowanym przez miasto Piekary Śląskie, nr: AOTM-OT-441-127/2011, Warszawa, marzec 2012 i aneksu „Monitorowanie zdrowia dzieci w wieku szkolnym z terenów narażenia środowiskowego na ołów – wspólne podstawy oceny”, Aneks do raportów nr: AOTM-OT-441-127/2011, AOTM-OT-441-159/2011, Warszawa, marzec 2012.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 46 z dnia 27 marca 2012
w sprawie objęcia refundacją Mykofenolan mofetilu
w zakresie wskazań:
steroidozależny i cyklosporynozależny zespół
nerczycowy, nefropatia toczniowa, zapalenie naczyń
u dorosłych lub dawkowania, lub sposobu podania
odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, leków zawierających substancję czynną mykofenolan mofetilu we wskazaniu: steroidozależny i cyklosporynozależny zespół nerczycowy, nefropatia toczniowa, zapalenie naczyń u dorosłych. Rada uważa, że równie istotnym wskazaniem jest zastosowanie mykofenolanu mofetilu w przypadku steroidoopornego i cyklosporynooopornego zespołu nerczycowego, nefropatii toczniowej, zapalenia naczyń.

Uzasadnienie

Opinie ekspertów są zgodne co do tego, że uzasadnione jest stosowanie mykofenolanu mofetilu w wyżej wymienionych wskazaniach.

Dodatkowe uwagi Rady

Zdaniem wielu ekspertów polskie prawo rozróżnia tylko dwie drogi ordynowania leków: zgodnie ze wskazaniami zawartymi w ChPL i poza wskazaniami, w ramach eksperymentu medycznego, co obarczone jest koniecznością spełnienia szeregu wymogów, w tym m.in. przejścia całej procedury uzyskania zgody komisji bioetycznej. Rozróżnienie na stosowanie produktów poza wskazaniami na soft- i off-label nie jest pojęciem prawnym [2]. Zdaniem Rady niezbędne jest uporządkowanie regulacji prawnych dotyczących eksperymentów medycznych i stosowania leków off-label w Polsce.

Przedmiot zlecenia

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia było przygotowanie opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją „mycophenolan mofetil w zakresie wskazań do stosowania steroidozależny i cyklosporynozależny zespół nerczycowy, nefropatia toczniowa, zapalenie naczyń u dorosłych lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, dla których wydano decyzję o objęciu refundacją, o której



mowa w ustawie z dnia 12.05.2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych”.



 Rady Przejrzystości


Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem opracowania Agencji Oceny Technologii Medycznych nr AOTM-OT-434-9/2012 „Mykofenolan mofetilu w zakresie wskazań steroidozależny i cyklosporynozależny zespół nerczycowy, nefropatia toczniowa, zapalenie naczyń u dorosłych lub dawkowania, lub sposobu podania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego”, marzec 2012.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. opracowaniu: Opinia ekspertów przedstawione na posiedzeniu Rady w dniu 27 marca 2012 r.