



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Protokół nr 22/2016
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 4 lipca 2016 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMIT)**

Członkowie Rady Przejrzystości, wylosowanego Zespołu (Rada), obecni na posiedzeniu:

1. Anna Cieślik
2. Lucjusz Jakubowski
3. Marlena Jankowiak
4. Andrzej Kokoszka
5. Aleksandra Michowicz
6. Tomasz Pasierski – prowadził posiedzenie
7. Rafał Suwiński
8. Andrzej Wysocki

Członkowie Rady Przejrzystości, wylosowanego Zespołu (Rada), nieobecni na posiedzeniu:

1. Marek Keller
2. Jakub Pawlikowski

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku AVASTIN (bewacyzumab) we wskazaniu: w ramach programu lekowego „Leczenie zaawansowanego raka szyjki macicy (ICD-10 C53)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku ICLUSIG (ponatynib) w ramach programu lekowego „ramach programu lekowego: „Leczenie ponatynibem ostrej białaczki limfoblastycznej z chromosomem Filadelfia (Ph+) (ICD-10 C91.0)”.
6. Przygotowanie opinii na temat projektu programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego: „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie profilaktyki chorób układu oddechowego dla pracowników zawodowo narażonych na działanie pyłu zwióknającego na lata 2017-2020” (woj. świętokrzyskie) (program współfinansowany ze środków UE w ramach EFS).
7. Przygotowanie opinii na temat projektu programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego:
 - 1) Wieloletni program polityki zdrowotnej w zakresie szczepienia dzieci przeciwko ospie wietrznej (gm. Mielno),



- 2) Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych wśród dzieci w wieku 3 lat z obszaru Gminy Świerklaniec.
8. Losowanie składów Zespołów na kolejne posiedzenia Rady.
9. Zamknięcie posiedzenia.

Ad 1. Posiedzenie o godzinie 11:00 otworzył Przewodniczący Rady Tomasz Pasierski.

Ad 2. Rada przyjęła jednogłośnie propozycję porządku obrad przedstawioną przez Tomasza Pasierskiego.

W tym punkcie porządku obrad, Wiceprzewodniczący Rady, Rafał Suwiński, złożył wniosek o zwołanie posiedzenia Rady w pełnym składzie, w związku ze zleceniem odnośnie efektywności oraz danych do rankingu wskazanych leków z uwzględnieniem: znaczenia jednostki chorobowej w ramach potrzeb zdrowotnych pacjentów z populacji powyżej 75 r.ż. na podstawie podręczników medycznych, danych o chorobie, obciążeniu pacjenta chorobą, tj. wpływem choroby podstawowej na stan pacjenta – w skali od 0 do 1; skuteczności i bezpieczeństwa oraz siły zaleceń dotyczących stosowania leku na podstawie najnowszych rekomendacji klinicznych w skali od 0 do 1; aktualnej dostępności dla świadczeniobiorców do wskazanych terapii w oparciu o wielkość dopłat do wymienionych leków - w skali od 0 do 1.

Powyższe zlecenie zostało przewidziane na posiedzenie w dniu 11 lipca, które prowadzi Rafał Suwiński. W jego opinii, z uwagi na dużą ilość tematów mających być przedmiotem obrad na tym posiedzeniu oraz na specyfikę zlecenia, temat ten powinien być przedmiotem dyskusji całej Rady.

Przewodniczący Rady, Tomasz Pasierski, zgodził się z propozycją Wiceprzewodniczącego i poparł jego wniosek.

Prezes AOTMiT Wojciech Matuszewicz zaproponował termin posiedzenia Rady w pełnym składzie, w dniu 14 lipca br.

Dyrektor Wydziału Oceny Technologii Medycznych AOTMiT Wojciech Wysoczański, zapewnił, iż członkowie Rady otrzymają materiały do powyższego tematu do czwartku 7 lipca br.

W wyniku głosowania, Rada jednogłośnie przyjęła uchwałę o konieczności podjęcia uchwały w przedmiocie ww. zlecenia przez Radę Przejrzystości w pełnym składzie, w dniu 14 lipca br.

Ad 3. Żaden z członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Ad 4. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.4351.17.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Avastin (bewacyzumab) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych na zaawansowanego raka szyjki macicy (ICD-10 C 53)””.

W tym miejscu Przewodniczący Rady przypomniał jeszcze zebrany, a w szczególności osobom wyznaczonym do prac nad zleceniem dot. leków w populacji powyżej 75 r.ż., aby zgłosili konflikty interesów.

Dyrektor Wydziału Oceny Technologii Medycznych AOTMiT Wojciech Wysoczański zwrócił uwagę, że zlecenie ws. leków w populacji powyżej 75 r.ż. dotyczy oceny substancji czynnych, a nie leków. Z uwagi na dużą liczbę producentów, których może to dotyczyć trudno będzie zidentyfikować podmioty odpowiedzialne.

Przewodniczący poprosił, aby postarano się zidentyfikować jak najwięcej podmiotów odpowiedzialnych, w celu umożliwienia członkom Rady wskazania potencjalnych konfliktów interesów.

Następnie Rada powróciła do omawiania tematu będącego przedmiotem punktu 4 porządku obrad. Swoją propozycję stanowiska ws. oceny leku Avastin (bewacyzumab) przedstawił Lucjusz Jakubowski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska.

Zaproponował pozytywne stanowisko oraz zwrócił uwagę Rady, iż wnioskowana technologia dotyczy grupy pacjentek o najmniej korzystnym rokowaniu klinicznym, dla których nie ma alternatywnej metody leczenia. Zaznaczył, że ryzyko zgonu w grupie bewacyzumabu jest znamienne statystycznie mniejsze niż w grupie nie otrzymującej ocenianej technologii. Zastosowanie terapii skojarzonej z bewacyzumabem, zarówno w części dostępnych rekomendacji, jak i w opiniach ekspertów, wiązało się z istotną statystycznie poprawą przeżycia wolnego od progresji. Opisane wyniki, szczególnie w zakresie czasu przeżycia całkowitego, uznaje się za istotne klinicznie.

Podkreślił, że zasadniczą podstawą opinii Rady jest badanie RCT GOG 240 z danymi poszerzonymi w stosunku do danych zamrożonych w grudniu 2012, choć nie spełniającymi, w okresie po roku 2012, pełnych kryteriów wiarygodności z punktu widzenia sposobu ich udostępnienia. Wyniki tego badania, dotyczącego szerszej populacji niż we wnioskowanym programie lekowym, w grupie pacjentek węższej, spełniającej kryteria włączenia do tego programu, wskazują na statystycznie znamienne różnicę schematu terapeutycznego w skojarzeniu z bewacyzumabem (BEV) w porównaniu z komparatorami, w zakresie pierwszorzędnego punktu końcowego, jakim jest czas przeżycia całkowitego (OS). Mediana czasu OS w ramieniu pacjentek leczonych terapią skojarzoną z BEV jest o 3,5 mies. większa w porównaniu z ramieniem chorych otrzymujących komparator (16,8 mies. vs 13,3 mies.). Ryzyko zgonu w grupie BEV jest znamienne statystycznie mniejsze niż w grupie nie otrzymującej ocenianej technologii. Krzywe BEV i komparatora nie zbiegają się, wskazując na przewagę ocenianej technologii także w dłuższym okresie obserwacji badania, przekraczającym 36 miesięcy.

Wyraził jednak swoje wątpliwości co do zapisów programu lekowego. W jego opinii jest on napisany niestarannie oraz warto w nim przeanalizować kryteria włączenia pacjentek do programu, w szczególności kryteria włączania do samego badania GOG 240. Stwierdził, że nie ma pewności, czy zapisy programu lekowego wszystkie te kryteria uwzględniają.

Mimo wielu wątpliwości, Lucjusz Jakubowski zaproponował Radzie stanowisko pozytywne oraz dodał, że z punktu widzenia efektywności kosztowej na podstawie przeprowadzonych analiz można stwierdzić, że o ile terapia w skojarzeniu z BEV bez instrumentu podziału ryzyka byłaby nieefektywna kosztowo, to zaproponowany przez wnioskodawcę RSS sprawia, że terapia skojarzona z BEV w ramach proponowanego programu leczenia staje się kosztowo efektywna zarówno z perspektywy płatnika, jak i perspektywy wspólnej – płatnika i pacjentek.

Tomasz Pasierski dodał, że w Nowej Zelandii jako argument do pozytywnej rekomendacji ocenianej technologii uznano dużą zachorowalność kobiet na raka szyjki macicy, a w Polsce również występuje bardzo duża zachorowalność na ten rodzaj raka.

Rafał Suwiński zwrócił uwagę na konieczność wprowadzenia zmian do programu lekowego. Jego zdaniem powinien znaleźć się w nim zapis, że chorzy mają mieć stosowany schemat oparty o cisplatinę, a do schematu leczenia topotecan + paklitaksel powinni być kwalifikowani pacjenci tylko w przypadku przeciwwskazań do stosowania cisplatiny. W jego opinii w programie powinien także znaleźć się zapis o ograniczeniu populacji pacjentów do chorych z pośrednim i wysokim ryzykiem według kryteriów Moore'a, gdyż są to grupy chorych, w przypadku których dostępne dowody naukowe wykazują największy efekt stosowania ocenianej technologii.

Lucjusz Jakubowski zgodził się Rafałem Suwińskim i poparł jego propozycję.

Prezes AOTMiT Wojciech Matuszewicz zwrócił uwagę Rady, iż w rekomendacji Nowej Zelandii podkreślono zagrożenie występowania objawów niepożądanych, a Avastin jest pierwszym lekiem, który powoduje tak ostre powikłania zatorowo-zakrzepowe.

Tomasz Pasierski zgodził się z Prezesem AOTMiT, jednak dodał, że dzisiaj wszystkie powikłania zakrzepowo-zatorowe są wyleczalne.

Rafał Suwiński dodał, że w przypadku innych rodzajów nowotworów, jak np. raka jelita grubego, nie ma wątpliwości, że Avastin wydłuża czas przeżycia pacjenta, pomimo występowania objawów niepożądanych.

Andrzej Kokoszka zaproponował zmianę instrumentu dzielenie ryzyka, ze względu na występowanie działań niepożądanych oraz stosunkowo niedługiego wzrostu okresu przeżycia (3 miesiące), aby podmiot odpowiedzialny płacił za leczenia pacjentów, u których terapia odniosła pozytywny efekt.

Prezes AOTMiT Wojciech Matuszewicz dodał, że w jego ocenie zmiana RSS jest konieczna.

Tomasz Pasierski i Prezes AOTMiT wspólnie zaproponowali włączenie do stanowiska zdania, że Rada proponuje korzystniejszy instrument dzielenia ryzyka, polegający na finansowaniu leczenia przez podmiot odpowiedzialny przez pierwszych 6 miesięcy.

Andrzej Kokoszka dodał, że Rada w swoim stanowisku powinna zaznaczyć także, że wnioski o skuteczności są zbyt wczesne i niepewne oraz występuje duże ryzyko działań niepożądanych.

Rafał Suwiński odniósł się do wyników badania, z którego wynika, że mediana czasu przeżycia całkowitego w ramieniu pacjentek leczonych terapią skojarzoną z BEV jest o 3,5 mies. większa w porównaniu z ramieniem chorych otrzymujących komparator oraz stwierdzenia Andrzeja Kokoszki, że zysk ten jest niewielki i niezbyt istotny klinicznie. Wskazał, że coraz częściej pojawiają się schematy leczenia paliatywnego w różnych wskazaniach onkologicznych, stosowane sekwencyjnie, które wydłużają przeżycie o 2-3 miesiące. W przypadku 4-5 linii leczenia, uniemożliwienie korzystania z np. 2 z nich może spowodować statystycznie skrócenie czasu przeżycia o pół roku. W jego ocenie, w omawianym przypadku, 3 miesiące to spory okres czasu, a przy umiejętnym wyłonieniu podgrup pacjentek, które rzeczywiście z tego leczenia odnoszą zysk, jest on niebagatelny.

Prezes AOTMiT Wojciech Matuszewicz zgodził się z Rafałem Suwińskim, że w leczeniu paliatywnym 3 miesiące przeżycia mają znaczenie, jednak pod warunkiem, że jakość życia się nie pogarsza. W przypadku ocenianej technologii natomiast ryzyko pogorszenia jakości życia jest kolosalne.

Dyrektor Wydziału Oceny Technologii Medycznych Wojciech Wysoczański dodał, że w przypadku pacjentów, którzy są w pierwszym stopniu zaawansowania choroby, a ich stan kliniczny jest dobry, chemioterapia zawsze powoduje obniżenie jakości życia.

Tomasz Pasierski odpowiedział, że są to tylko przypuszczenia. W omawianym przypadku jednym z działań niepożądanych jest zakrzepica żylna, która nie obniża w sposób znaczny jakości życia.

W wyniku zarządzonego przez prowadzącego posiedzenie głosowania, Rada przyjęła uchwały będące jej stanowiskami, które stanowią załączniki do protokołu:

- 1) Avastin (bevacizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 100 mg/4 ml, 1 fiol. po 4 ml, kod EAN: 5909990010486 – w wyniku głosowania, 7 głosów za projektem stanowiska Rady, 1 głos przeciw projektowi Rady,
- 2) Avastin (bevacizumabum), koncentrat do sporządzenia roztworu do infuzji, 400 mg/16 ml, 1 fiol. po 16 ml, kod EAN: 5909990010493 - w wyniku głosowania, 7 głosów za projektem stanowiska Rady, 1 głos przeciw projektowi Rady.

Ad 5. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.4351.14.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku ICLUSIG

(ponatynib) w ramach programu lekowego: „Leczenie ponatynibem ostrej białaczki limfoblastycznej z chromosomem Filadelfia (Ph+) (ICD-10 C91.0)””.

Następnie swoją propozycję stanowiska przedstawił Rafał Suwiński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska. Ze względu na wiele wątpliwości przygotował propozycje pozytywnego oraz negatywnego stanowiska. Zwrócił uwagę, iż oceniany lek jest nową alternatywą leczenia i stanowi potencjalną technologię pomostową do przeszczepu szpiku. Podkreślił jednak, że przeprowadzone badania były niskiej jakości, jednoramienne oraz na dosyć małych grupach chorych. Największym zaś mankamentem tych badań jest to, że nie odnoszą się do tego, u ilu chorych, u których zastosowano ponatynib, udało się zrobić przeszczep, a u ilu nie, w związku z czym wnioskowanie co do czasów przeżycia jest obarczone niezwykle dużym błędem. Jedyne co jego zdaniem można stwierdzić, to że lek działa, na podstawie osiągniętych dosyć wysokich odsetków remisji. Skuteczność kliniczna, której miarą jest odsetek odpowiedzi może być głównym argumentem za finansowaniem ocenianego leku. Zaznaczył, jednak że przedmiotowy lek, jako inhibitor wielokinazowy, wykazuje ogromną toksyczność, u kilkunastu procent chorych dochodzi do ciężkich powikłań, głównie naczyniowych. Ponadto przedstawiona przez wnioskodawcę analiza farmakoekonomiczna obarczona jest dużym błędem, wynikającym z braku badań porównujących ocenianą technologię z aktualnie stosowanymi schematami leczenia. W analizie założono, że lek będzie stosowany przez 3 miesiące, natomiast w praktyce tak nie będzie. U części chorych lek będzie stosowany krócej, a u części dłużej, chociażby dlatego, że nie w przypadku każdego pacjenta udaje się znaleźć dawkę w ciągu trzech miesięcy. Dlatego w jego ocenie, jeśli Rada skłoni się ku pozytywnej opinii, należy zaproponować wprowadzenie dodatkowego instrumentu dzielenia ryzyka, polegającego na zwrocie przez wnioskodawcę kosztów leczenia ponatynibem trwającego powyżej 3 miesięcy.

Ponadto, Rafał Suwiński zgłosił uwagi do programu lekowego. W kryteriach włączenia do programu lekowego nie uwzględniono oceny stanu ogólnego w skali ECOG, dopuszczalnej oczekiwanej długości życia chorych, progowych parametrów laboratoryjnych oraz wykluczenia możliwości ciąży u kobiet. Kryteria te powinny zostać uzupełnione w oparciu o protokół badania PACE oraz że w kryteriach wykluczenia z udziału w programie nie uwzględniono kryteriów wykluczenia z badania PACE, ze szczególnym uwzględnieniem schorzeń sercowo-naczyniowych.

Prezes AOTMiT Wojciech Matuszewicz dodał, że jest to lek dedykowany do medycyny personalizowanej, zwłaszcza dla chorych z chromosomem Filadelfia oraz z mutacją genu TP 31, chociaż rzeczywistość kardiotoxyczność leku opisywana jest bardzo szeroko.

Rafał Suwiński dodał, że ze względu na to, że populacja jest niewielka i dobrze zdefiniowana, w przypadku refundacji obciążenie budżetu będzie niewielkie. Ponadto lek jest zarejestrowany jako lek sierocy.

Marlena Jankowiak poinformowała, że jest przeciwna refundacji ocenianej technologii ze względu na duże obciążenie budżetu płatnika publicznego oraz graniczną efektywność kosztową, szczególnie przy założeniach związanych z czasem trwania terapii.

W wyniku zarządzanego przez prowadzącego posiedzenie głosowania, Rada przyjęła uchwały będące jej stanowiskami, które stanowią załączniki do protokołu:

- 1) Iclusig (ponatynib), tabl. powł., 5 mg, 60 tabl., kod EAN 7640159433613– w wyniku głosowania, 7 głosów za projektem stanowiska rady, 1 głos przeciw projektowi Rady,
- 2) Iclusig (ponatynib), tabl. powł., 45 mg, 30 tabl., kod EAN 7640159433637- w wyniku głosowania, 7 głosów za projektem stanowiska Rady, 1 głos przeciw projektowi Rady.

Ad 6. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.103.2016 „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie profilaktyki chorób układu oddechowego dla pracowników zawodowo narażonych na działanie pyłu zwłókniającego na lata 2017 - 2020”.

Następnie swoją propozycję opinii przedstawił Andrzej Wysocki, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Przedstawił propozycję negatywnej opinii wskazując, że koszty jednostkowe badań RTG i HRCT są przeszacowane, jak również wycena konsultacji lekarskich.

Dodał, że w niektórych krajach (Brazylia, Chile, Chiny, Indie, Peru, Kraje Południowej Afryki, Wietnam i Turcja) prowadzone są narodowe programy zapobiegania i wczesnego rozpoznawania pylicy płuc, jednak są to kraje, gdzie warunki pracy rażąco odbiegają od warunków pracy w Polsce. Problem pylicy płuc w województwie świętokrzyskim został w programie zdefiniowany zbyt ogólnie i niedokładnie odzwierciedla wielkość problemu, zważywszy na to, że rocznie występuje tam ok. 30 zachorowań.

Głównym argumentem, przemawiającym za opinią negatywną, jest w ocenie Andrzeja Wysockiego to, że programy regionalne mogą dotyczyć określonych obszarów, jednym z nich jest eliminowanie zdrowotnych czynników ryzyka w miejscu pracy. W opiniowanym programie niefinansowane ze środków publicznych działania edukacyjne, mające na celu ograniczenie zagrożenia pylicą stanowią 1/3 przewidywanych kosztów. Są one uzupełnieniem świadczeń niemających charakteru profilaktyki, lecz diagostycznymi – leczniczymi, już finansowanymi ze środków publicznych.

Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za projektem opinii, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 7.1) Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.102.2016 „Wieloletni program polityki zdrowotnej w zakresie szczepienia dzieci przeciwko ospie wietrznej”.

Następnie swoją propozycję opinii przedstawiła Anna Cieślik, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Przedstawiła propozycję pozytywnej opinii, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady, wymienionych w przedstawionym projekcie opinii.

Prowadzący zarządził głosowanie, Rada 8 głosami za projektem opinii, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad.7.2) Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.104.2016 „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych wśród dzieci w wieku trzech lat z obszaru gminy Świerklaniec”.

Następnie swoją propozycję opinii przedstawiła Anna Cieślik, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Przedstawiła propozycję pozytywnej opinii, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady, wymienionych w przedstawionym projekcie opinii. Zaznaczyła jednak, że wnioskodawca nie przytoczył szacunkowych kosztów całkowitych oraz nie przedstawiono kosztów jednostkowych związanych z organizacją programu takich jak: koszt konsultacji lekarskiej, koszt podania szczepionki, koszt działań informacyjnych o programie. Podkreśliła jednak, że w programie jest napisano, że będzie on realizowany do momentu wejścia w życie bezpłatnych szczepień.

Tomasz Pasierski zwrócił uwagę, że Rada musi w swoich opiniach być konsekwentna i jeśli w programie nie uwzględniono budżetu, Rada powinna wydać opinię negatywną.


Rafał Suwiński zgodził się z Przewodniczącym. Rada przyjęła zasadę, że opiniuje negatywnie programy, które nie zawierają budżetu, dlatego w tym przypadku także powinna wydać taką opinię.

Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami za projektem opinii, przy 1 głosie przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 8. Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 01.08.2016 r.

Ad 9. Prowadzący posiedzenie Tomasz Pasiński zakończył posiedzenie Rady o godzinie 13.50

Protokół sporządził Tomasz Pasiński
Przewodniczący Rady Przejrzystości


..... 1-8-16
(data i podpis)



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 54/2016 z dnia 4 lipca 2016 roku

w sprawie oceny leku Avastin (bevacizumabum) kod EAN:
5909990010486, w ramach programu lekowego: Leczenie chorych
na zaawansowanego raka szyjki macicy (ICD-10 C 53)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Avastin (bevacizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 100 mg/4 ml, 1 fiol. po 4 ml, kod EAN: 5909990010486, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na zaawansowanego raka szyjki macicy (ICD-10 C 53)”, w ramach istniejącej grupy limitowej, jako leku dostępnego bezpłatnie. Rada Przejrzystości uważa, że korzystniejszym instrumentem dzielenia ryzyka byłby instrument polegający na finansowaniu przez podmiot odpowiedzialny leczenia przez pierwsze 6 miesięcy.

Rada zwraca uwagę na konieczność korekty programu lekowego, zgodnie przede wszystkim z opiniami ekspertów. Zdaniem Rady zasadne jest ponadto ograniczenie populacji chorych kwalifikowanych do programu do podgrupy z pośrednim i wysokim ryzykiem wg. kryteriów Moore’a. Schemat dawkowania w ramach wnioskowanego programu lekowego powinien ograniczać stosowanie schematu paklitaxel + topotekan do pacjentów z przeciwwskazaniami do podania cisplatyny, co ma silne uzasadnienie na podstawie wyników badania GOG-240 i Charakterystyki Produktu Leczniczego.

Uzasadnienie

Wnioskowana technologia, zgodnie z zapisami uzgodnionego programu lekowego dotyczyć ma wąskiej grupy pacjentek z przetrwałym, nawrotowym lub pierwotnie przerzutowym rakiem szyjki macicy (w stadium IVB wg klasyfikacji zmian nowotworowych wg FIGO z roku 2009), u pacjentek nie kwalifikujących się do wytrzewienia lub radioterapii. Jest to zatem grupa o najmniej korzystnym rokowaniu klinicznym. Z tego punktu widzenia należy oceniać efekty schematów terapeutycznych stosowanych w tej populacji.

Zasadniczą podstawą opinii Rady jest badanie RCT GOG 240 z danymi poszerzonymi w stosunku do danych zamrożonych w grudniu 2012, choć nie spełniającymi w okresie po roku 2012 pełnych kryteriów wiarygodności z punktu



widzenia sposobu ich udostępnienia. Wyniki tego badania dotyczącego szerszej populacji niż we wnioskowanym programie lekowym, w grupie pacjentek węższej, spełniającej kryteria włączenia do tego programu, wskazują na statystycznie znamiennej różnicę schematu terapeutycznego w skojarzeniu z bewacyzumabem (BEV) w porównaniu z komparatorami, w zakresie pierwszorzędowego punktu końcowego, jakim jest czas przeżycia całkowitego (OS). Mediana czasu OS w ramieniu pacjentek leczonych terapią skojarzoną z BEV jest o 3,5 mies. większa w porównaniu z ramieniem chorych otrzymujących komparator (16,8 mies. vs 13,3 mies.). Ryzyko zgonu w grupie BEV jest statystycznie mniejsze niż w grupie nie otrzymującej ocenianej technologii. Krzywe BEV i komparatora nie zbiegają się wskazując na przewagę ocenianej technologii także w dłuższym okresie obserwacji badania, przekraczającym 36 miesięcy. Zastosowanie terapii skojarzonej z BEV wiązało się również z istotną statystycznie poprawą przeżycia wolnego od progresji (PFS). Opisane wyniki, szczególnie w zakresie OS, zarówno w części dostępnych rekomendacji, jak i w opiniach ekspertów, uznaje się za istotne klinicznie.

W części dostępnych rekomendacji włączenie BEV do schematu chemioterapii traktowane jest jako rekomendacja 1 kategorii lub przynajmniej wskazuje się, że wnioskowana technologia może mieć zastosowanie w odniesieniu do populacji spełniającej kryteria włączenia do badania GOG 240.

Wyniki badania GOG-240 nie wykazały natomiast istotnych statystycznie różnic w jakości życia między ramieniem CT + BEV a ramieniem CT. Jakość życia pacjentek w cytowanym badaniu oceniano za pomocą kwestionariusza FACT-Cx-TOI. Warto jednak podkreślić, że zgodnie z wynikami analizowanego badania GOG-240 odsetek pacjentek z objawami neurotoksycznymi wg skali FACT/GOG-Ntx w ramieniu CT + BEV był istotnie statystycznie mniejszy niż w ramieniu CT.

Z punktu widzenia efektywności kosztowej na podstawie przeprowadzonych analiz można stwierdzić, że o ile terapia w skojarzeniu z BEV bez instrumentu podziału ryzyka byłaby nieefektywna kosztowo, to zaproponowany przez wnioskodawcę RSS sprawia, że terapia skojarzona z BEV w ramach proponowanego programu leczenia staje się kosztowo efektywna zarówno z perspektywy płatnika, jak i perspektywy wspólnej – płatnika i pacjentek.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasiński

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2015 r., poz. 345 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

nr OT.4351.17.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Avastin (bewacyzumab) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych na zaawansowanego raka szyjki macicy (ICD-10 C 53)”. Data ukończenia: 24 czerwiec 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 55/2016 z dnia 4 lipca 2016 roku

w sprawie oceny leku Avastin (bevacizumabum) kod EAN:
5909990010493, w ramach programu lekowego: Leczenie chorych
na zaawansowanego raka szyjki macicy (ICD-10 C 53)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Avastin (bevacizumabum), koncentrat do sporządzenia roztworu do infuzji, 400 mg/16 ml, 1 fiol. po 16 ml, kod EAN: 5909990010493, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na zaawansowanego raka szyjki macicy (ICD-10 C 53)”, w ramach istniejącej grupy limitowej, jako leku dostępnego bezpłatnie. Rada Przejrzystości uważa, że korzystniejszym instrumentem dzielenia ryzyka byłby instrument polegający na finansowaniu przez podmiot odpowiedzialny leczenia przez pierwsze 6 miesięcy.

Rada zwraca uwagę na konieczność korekty programu lekowego, zgodnie przede wszystkim z opiniami ekspertów. Zdaniem Rady zasadne jest ponadto ograniczenie populacji chorych kwalifikowanych do programu do podgrupy z pośrednim i wysokim ryzykiem wg. kryteriów Moore’a. Schemat dawkowania w ramach wnioskowanego programu lekowego powinien ograniczać stosowanie schematu paklitaxel + topotekan do pacjentów z przeciwwskazaniami do podania cisplatyny, co ma silne uzasadnienie na podstawie wyników badania GOG-240 i Charakterystyki Produktu Leczniczego.

Uzasadnienie

Wnioskowana technologia, zgodnie z zapisami uzgodnionego programu lekowego dotyczyć ma wąskiej grupy pacjentek z przetrwałym, nawrotowym lub pierwotnie przerzutowym rakiem szyjki macicy (w stadium IVB wg klasyfikacji zmian nowotworowych wg FIGO z roku 2009), u pacjentek nie kwalifikujących się do wytrzewienia lub radioterapii. Jest to zatem grupa o najmniej korzystnym rokowaniu klinicznym. Z tego punktu widzenia należy oceniać efekty schematów terapeutycznych stosowanych w tej populacji.

Zasadniczą podstawą opinii Rady jest badanie RCT GOG 240 z danymi poszerzonymi w stosunku do danych zamrożonych w grudniu 2012, choć nie spełniającymi w okresie po roku 2012 pełnych kryteriów wiarygodności z punktu



widzenia sposobu ich udostępnienia. Wyniki tego badania dotyczącego szerszej populacji niż we wnioskowanym programie lekowym, w grupie pacjentek węższej, spełniającej kryteria włączenia do tego programu, wskazują na statystycznie znamiennej różnicę schematu terapeutycznego w skojarzeniu z bewacyzumabem (BEV) w porównaniu z komparatorami, w zakresie pierwszorzędowego punktu końcowego, jakim jest czas przeżycia całkowitego (OS). Mediana czasu OS w ramieniu pacjentek leczonych terapią skojarzoną z BEV jest o 3,5 mies. większa w porównaniu z ramieniem chorych otrzymujących komparator (16,8 mies. vs 13,3 mies.). Ryzyko zgonu w grupie BEV jest statystycznie mniejsze niż w grupie nie otrzymującej ocenianej technologii. Krzywe BEV i komparatora nie zbiegają się wskazując na przewagę ocenianej technologii także w dłuższym okresie obserwacji badania, przekraczającym 36 miesięcy. Zastosowanie terapii skojarzonej z BEV wiązało się również z istotną statystycznie poprawą przeżycia wolnego od progresji (PFS). Opisane wyniki, szczególnie w zakresie OS, zarówno w części dostępnych rekomendacji, jak i w opiniach ekspertów, uznaje się za istotne klinicznie.

W części dostępnych rekomendacji włączenie BEV do schematu chemioterapii traktowane jest jako rekomendacja 1 kategorii lub przynajmniej wskazuje się, że wnioskowana technologia może mieć zastosowanie w odniesieniu do populacji spełniającej kryteria włączenia do badania GOG 240.

Wyniki badania GOG-240 nie wykazały natomiast istotnych statystycznie różnic w jakości życia między ramieniem CT + BEV a ramieniem CT. Jakość życia pacjentek w cytowanym badaniu oceniano za pomocą kwestionariusza FACT-Cx-TOI. Warto jednak podkreślić, że zgodnie z wynikami analizowanego badania GOG-240 odsetek pacjentek z objawami neurotoksycznymi wg skali FACT/GOG-Ntx w ramieniu CT + BEV był istotnie statystycznie mniejszy niż w ramieniu CT.

Z punktu widzenia efektywności kosztowej na podstawie przeprowadzonych analiz można stwierdzić, że o ile terapia w skojarzeniu z BEV bez instrumentu podziału ryzyka byłaby nieefektywna kosztowo, to zaproponowany przez wnioskodawcę RSS sprawia, że terapia skojarzona z BEV w ramach proponowanego programu leczenia staje się kosztowo efektywna zarówno z perspektywy płatnika, jak i perspektywy wspólnej – płatnika i pacjentek.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasiński

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2015 r., poz. 345 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

nr OT.4351.17.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Avastin (bewacyzumab) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych na zaawansowanego raka szyjki macicy (ICD-10 C 53)”. Data ukończenia: 24 czerwiec 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 56/2016 z dnia 4 lipca 2016 roku

w sprawie oceny leku Iclusig (ponatynib kod EAN: 7640159433613, w ramach programu lekowego: Leczenie ponatynibem ostrej białaczki limfoblastycznej z chromosomem Filadelfia (Ph+) (ICD-10 C91.0)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Iclusig (ponatynib), tabl. powł., 5 mg, 60 tabl., kod EAN 7640159433613, w ramach programu lekowego „Leczenie ponatynibem ostrej białaczki limfoblastycznej z chromosomem Filadelfia (Ph+) (ICD-10 C91.0)”, w ramach nowej grupy limitowej, jako leku dostępnego bezpłatnie.

Rada nie akceptuje proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka. Obok zaproponowanego RSS, Rada proponuje wprowadzenie dodatkowego instrumentu polegającego na zwrocie przez wnioskodawcę kosztów leczenia ponatynibem trwającego powyżej 3 miesięcy.

Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego:

- *w kryteriach włączenia do programu lekowego nie uwzględniono oceny stanu ogólnego w skali ECOG, dopuszczalnej oczekiwanej długości życia chorych, progowych parametrów laboratoryjnych oraz wykluczenia możliwości ciąży u kobiet. Kryteria te powinny zostać uzupełnione w oparciu o protokół badania PACE,*
- *w kryteriach wykluczenia z udziału w programie nie uwzględniono kryteriów wykluczenia z badania PACE, ze szczególnym uwzględnieniem schorzeń sercowo-naczyniowych.*

Uzasadnienie

Ponatynib jest silnym inhibitorem pan BCR-ABL zapewniającym duże powinowactwo do naturalnej kinazy BCR-ABL oraz jej zmutowanych form. Ten mechanizm działania ponatynibu wykorzystywany jest w leczeniu chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną z obecnością chromosomu Filadelfia (Ph+ ALL) z opornością lub nietolerancją leczenia dazatynibem dla których kolejne leczenie imatynibem nie jest właściwe ze względów klinicznych oraz u chorych z mutacją T315I. Lek stanowi potencjalną technologię pomostową do przeszczepu szpiku.



Bezpieczeństwo i skuteczność stosowania Ponatynibu zostało ocenione w kilku badaniach jednoramiennych. Populacji docelowej odpowiadało tylko badanie dla ponatynibu (PACE), w którym wyodrębniono kohorty chorych z ALL(Ph+) po niepowodzeniu wcześniejszej terapii za pomocą dazatynibu lub nilotynibu lub z obecnością mutacji T315I. Pacjenci po niepowodzeniu terapii DAZA/NILO stanowili 31% ogólnej populacji ALL Ph+, natomiast pacjenci z obecnością mutacji T315I 69%. Brak prospektywnych badań klinicznych z grupą kontrolną stanowi istotne ograniczenie dla wiarygodnej oceny zysku ze stosowania ponatynibu w porównaniu z aktualnie stosowanymi schematami leczenia.

W badaniu PACE większą odpowiedź hematologiczną (MaHR) do 6 mies. terapii ponatynibem uzyskało 41% leczonych. Większą odpowiedź cytogenetyczną (MCyR) osiągniętą w dowolnym momencie okresu obserwacji (mediana 6 mies.) odnotowano u 47% chorych, w tym u 38% była to odpowiedź całkowita. Po 12 miesiącach od rozpoczęcia terapii brak progresji stwierdzono u 7% chorych, żyło 40% uczestników badania.

Lek, jako inhibitor wielokinazowy, wykazuje istotną toksyczność. Najczęściej występującymi AE hematologicznymi w stopniu ≥ 3 . były: neutropenia, anemia, trombocytopenia oraz gorączka neutropeniczna. Spośród AE niehematologicznych w stopniu ≥ 3 . najczęściej odnotowywano zwiększone stężenie lipazy oraz ból w jamie brzusznej. W badaniu odnotowano również zdarzenia związane z niedrożnością naczyń, które odnotowano u 23% spośród wszystkich chorych biorących udział w badaniu, w tym u 16% chorych zdarzenia miały charakter ciężki. Zdarzenia sercowo-naczyniowe obserwowano u 9,6% pacjentów, w tym zawały serca i udary. Wytyczne kliniczne i rekomendacje finansowe podkreślają znaczenie oceny układu krążenia przed rozpoczęciem leczenia ponatynibem i monitorowanie stanu pacjenta w trakcie terapii, w celu ograniczenia czynników ryzyka sercowo-naczyniowego.

Przedstawiona przez wnioskodawcę analiza farmakoekonomiczna obarczona jest licznymi ograniczeniami wynikającymi z braku badań porównujących ocenianą technologię z aktualnie stosowanymi schematami leczenia. Wyniki analizy sugerują, że wskaźniki ICER dla inkrementalnych kosztów leczenia ponatynibem (w porównaniu z aktualnie stosowanymi schematami chemioterapii) plasują tę technologię w górnej granicy przyjętej dla technologii efektywnych kosztowo w Polsce. Rada zwraca jednak uwagę, że kluczowym założeniem modelu ekonomicznego wnioskodawcy jest kwalifikowanie do alloSCT wszystkich chorych uzyskujących MaHR po 3 miesiącach leczenia ponatynibem. Wykluczenie możliwości leczenia do wystąpienia progresji choroby w modelu wnioskodawcy zwiększa istotnie ryzyko niedoszacowania kosztów leczenia ponatynibem. W związku z tym, zgodnie z założeniem przyjętym w modelu wnioskodawcy, Rada rekomenduje wprowadzenie

dotatkowego RSS polegającego na zwrocie przez wnioskodawcę kosztów leczenia ponatynibem trwającego powyżej 3 miesięcy.

Rekomendacje refundacyjne dla ponatynibu stosowanego w leczeniu ALL Ph+ są pozytywne (SMC 2015, HAS 2015, TLV 2015, PBAC 2015, AWMSG 2014) lub warunkowo pozytywne (CADTH 2015). Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę Iclusig (ponatynib) jest finansowany w 16 krajach UE i EFTA (na 31 wskazanych) ze 100% poziomem refundacji ze środków publicznych (w tym w 2 o zbliżonym do Polski poziomie PKB per capita).

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasierski

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2015 r., poz. 345 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.14.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku ICLUSIG (ponatynib) w ramach programu lekowego: „Leczenie ponatynibem ostrej białaczki limfoblastycznej z chromosomem Filadelfia (Ph+) (ICD-10 C91.0)”. Data ukończenia: 24 czerwiec 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 57/2016 z dnia 4 lipca 2016 roku

w sprawie oceny leku Iclusig (ponatynib kod EAN: 7640159433637, w ramach programu lekowego: Leczenie ponatynibem ostrej białaczki limfoblastycznej z chromosomem Filadelfia (Ph+) (ICD-10 C91.0)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Iclusig (ponatynib), tabl. powł., 45 mg, 30 tabl., kod EAN 7640159433637, w ramach programu lekowego „Leczenie ponatynibem ostrej białaczki limfoblastycznej z chromosomem Filadelfia (Ph+) (ICD-10 C91.0)”, w ramach nowej grupy limitowej, jako leku dostępnego bezpłatnie.

Rada nie akceptuje proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka. Obok zaproponowanego RSS, Rada proponuje wprowadzenie dodatkowego instrumentu polegającego na zwrocie przez wnioskodawcę kosztów leczenia ponatynibem trwającego powyżej 3 miesięcy.

Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego:

- *w kryteriach włączenia do programu lekowego nie uwzględniono oceny stanu ogólnego w skali ECOG, dopuszczalnej oczekiwanej długości życia chorych, progowych parametrów laboratoryjnych oraz wykluczenia możliwości ciąży u kobiet. Kryteria te powinny zostać uzupełnione w oparciu o protokół badania PACE,*
- *w kryteriach wykluczenia z udziału w programie nie uwzględniono kryteriów wykluczenia z badania PACE, ze szczególnym uwzględnieniem schorzeń sercowo-naczyniowych.*

Uzasadnienie

Ponatynib jest silnym inhibitorem pan BCR-ABL zapewniającym duże powinowactwo do naturalnej kinazy BCR-ABL oraz jej zmutowanych form. Ten mechanizm działania ponatynibu wykorzystywany jest w leczeniu chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną z obecnością chromosomu Filadelfia (Ph+ ALL) z opornością lub nietolerancją leczenia dazatynibem dla których kolejne leczenie imatynibem nie jest właściwe ze względów klinicznych oraz u chorych z mutacją T315I. Lek stanowi potencjalną technologię pomostową do przeszczepu szpiku.



Bezpieczeństwo i skuteczność stosowania Ponatynibu zostało ocenione w kilku badaniach jednoramiennych. Populacji docelowej odpowiadało tylko badanie dla ponatynibu (PACE), w którym wyodrębniono kohorty chorych z ALL(Ph+) po niepowodzeniu wcześniejszej terapii za pomocą dazatynibu lub nilotynibu lub z obecnością mutacji T315I. Pacjenci po niepowodzeniu terapii DAZA/NILO stanowili 31% ogólnej populacji ALL Ph+, natomiast pacjenci z obecnością mutacji T315I 69%. Brak prospektywnych badań klinicznych z grupą kontrolną stanowi istotne ograniczenie dla wiarygodnej oceny zysku ze stosowania ponatynibu w porównaniu z aktualnie stosowanymi schematami leczenia.

W badaniu PACE większą odpowiedź hematologiczną (MaHR) do 6 mies. terapii ponatynibem uzyskało 41% leczonych. Większą odpowiedź cytogenetyczną (MCyR) osiągniętą w dowolnym momencie okresu obserwacji (mediana 6 mies.) odnotowano u 47% chorych, w tym u 38% była to odpowiedź całkowita. Po 12 miesiącach od rozpoczęcia terapii brak progresji stwierdzono u 7% chorych, żyło 40% uczestników badania.

Lek, jako inhibitor wielokinazowy, wykazuje istotną toksyczność. Najczęściej występującymi AE hematologicznymi w stopniu ≥ 3 . były: neutropenia, anemia, trombocytopenia oraz gorączka neutropeniczna. Spośród AE niehematologicznych w stopniu ≥ 3 . najczęściej odnotowywano zwiększone stężenie lipazy oraz ból w jamie brzusznej. W badaniu odnotowano również zdarzenia związane z niedrożnością naczyń, które odnotowano u 23% spośród wszystkich chorych biorących udział w badaniu, w tym u 16% chorych zdarzenia miały charakter ciężki. Zdarzenia sercowo-naczyniowe obserwowano u 9,6% pacjentów, w tym zawały serca i udary. Wytyczne kliniczne i rekomendacje finansowe podkreślają znaczenie oceny układu krążenia przed rozpoczęciem leczenia ponatynibem i monitorowanie stanu pacjenta w trakcie terapii, w celu ograniczenia czynników ryzyka sercowo-naczyniowego.

Przedstawiona przez wnioskodawcę analiza farmakoekonomiczna obarczona jest licznymi ograniczeniami wynikającymi z braku badań porównujących ocenianą technologię z aktualnie stosowanymi schematami leczenia. Wyniki analizy sugerują, że wskaźniki ICER dla inkrementalnych kosztów leczenia ponatynibem (w porównaniu z aktualnie stosowanymi schematami chemioterapii) plasują tą technologię w górnej granicy przyjętej dla technologii efektywnych kosztowo w Polsce. Rada zwraca jednak uwagę, że kluczowym założeniem modelu ekonomicznego wnioskodawcy jest kwalifikowanie do alloSCT wszystkich chorych uzyskujących MaHR po 3 miesiącach leczenia ponatynibem. Wykluczenie możliwości leczenia do wystąpienia progresji choroby w modelu wnioskodawcy zwiększa istotnie ryzyko niedoszacowania kosztów leczenia ponatynibem. W związku z tym, zgodnie z założeniem przyjętym w modelu wnioskodawcy, Rada rekomenduje wprowadzenie

dotatkowego RSS polegającego na zwrocie przez wnioskodawcę kosztów leczenia ponatynibem trwającego powyżej 3 miesięcy.

Rekomendacje refundacyjne dla ponatynibu stosowanego w leczeniu ALL Ph+ są pozytywne (SMC 2015, HAS 2015, TLV 2015, PBAC 2015, AWMSG 2014) lub warunkowo pozytywne (CADTH 2015). Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę Iclusig (ponatynib) jest finansowany w 16 krajach UE i EFTA (na 31 wskazanych) ze 100% poziomem refundacji ze środków publicznych (w tym w 2 o zbliżonym do Polski poziomie PKB per capita).

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasierski

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2015 r., poz. 345 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.14.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku ICLUSIG (ponatynib) w ramach programu lekowego: „Leczenie ponatynibem ostrej białaczki limfoblastycznej z chromosomem Filadelfia (Ph+) (ICD-10 C91.0)”. Data ukończenia: 24 czerwiec 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 187/2016 z dnia 4 lipca 2016 roku

o projekcie programu „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie profilaktyki chorób układu oddechowego dla pracowników zawodowo narażonych na działanie pyłu zwłókniającego na lata 2017 - 2020” województwa świętokrzyskiego

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie profilaktyki chorób układu oddechowego dla pracowników zawodowo narażonych na działanie pyłu zwłókniającego na lata 2017 - 2020” województwa świętokrzyskiego.

Uzasadnienie

Zgodnie z wytycznymi RPZ mogą dotyczyć określonych obszarów; jednym z nich jest eliminowanie zdrowotnych czynników ryzyka w miejscu pracy. W opiniowanym programie niefinansowane ze środków publicznych działania edukacyjne, mające na celu ograniczenie zagrożenia pylicą stanowią 1/3 przewidywanych kosztów. Są one uzupełnieniem świadczeń niemających charakteru profilaktyki, lecz diagnostyczno – leczniczymi, już finansowanymi ze środków publicznych.

Program odnosi się do ważnego problemu zdrowotnego i jest zgodny z priorytetem zdrowotnym oraz jednym z celów operacyjnych określonych w Policy Paper 2014-2020 tj. zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu przewlekłych chorób układu oddechowego, również wymienionych w przygotowywanym Narodowym Programie Zdrowia na lata 2016-2020.

Właściwie przedstawiono problem zdrowotny jakim jest pylica płuc, określono czas oraz rodzaj narażenia zawodowego koniecznego do jej rozwoju. W Województwie Świętokrzyskim w ostatnich latach obserwowano wzrost zapadalności na choroby zawodowe, wśród których pylice stanowią około 25%.

Zaplanowano włączenie do programu 10 000 pracowników, co stanowi około 90% populacji docelowej. Jest to zgodne z rekomendacjami NHRC 2014, SEPAR 2014, NIOSH 1996.

W projekcie przewidziano program edukacyjny oraz diagnostyczno – leczniczy.



Zróżnicowane działania edukacyjne są przeznaczone dla pracowników narażonych na pylicę, pracodawców, inspektorów BHP, zatrudnionych w podstawowych jednostkach służby medycyny pracy oraz dla lekarzy.

W części diagnostyczno - leczniczej programu zamieszczono konsultacje specjalistów medycyny pracy i pulmonologii oraz pomiary tlenu węgla w wydychanym powietrzu, spirometrię, gazometrię, RTG klatki piersiowej (wrazie potrzeby uzupełniane HRCT), ćwiczenia usprawniające oraz poradę psychologa. Na podstawie rekomendacji i wytycznych można stwierdzić, że badania zostały dobrane prawidłowo.

Przewidziano akcję informacyjną. Realizator programu zostanie wybrany na drodze konkursu. Wskazano dalsze postępowanie z osobami, u których rozpoznano pylicę. Przewidziano monitorowanie i ewaluację programu. Jakość świadczeń zostanie oceniona za pomocą ankiety wypełnianej przez badanych.

Projekt ma być finansowany ze środków Europejskiego Funduszu Społecznego (EFS). Średni koszt jednostkowy wyniesie ok. 494 zł., a koszt całkowity - 4 941 178,00 zł. Koszt warsztatów edukacyjnych i edukacji indywidualnej pracowników – beneficjentów programu (poz. 5,6,10) zaplanowano na ok. 1 600 000 zł. Szkolenie realizatorów: radiologów będzie kosztować 14 550 (poz.9), służb BHP (poz. 3) - 29 800, lekarzy i pielęgniarek medycyny pracy (poz.8) - 42 000. Obsługa programu to koszt ponad 741 000 zł., zarządzania projektem -ponad 611 000 zł., promocja programu (poz. 27) – 113 000 zł. Koszty jednostkowe badań RTG i HRCT są przeszacowane.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasiński

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art.48 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 581 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu OT.441.103.2016 „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie profilaktyki chorób układu oddechowego dla pracowników zawodowo narażonych na działanie pyłu zwiókniającego na lata 2017 - 2020” realizowany przez: województwo świętokrzyskie, Warszawa czerwiec 2016.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 188/2016 z dnia 4 lipca 2016 roku
o projekcie programu „Wieloletni program polityki zdrowotnej
w zakresie szczepienia dzieci przeciwko ospie wietrznej”
gminy Mielno

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Wieloletni program polityki zdrowotnej w zakresie szczepienia dzieci przeciwko ospie wietrznej” gminy Mielno, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Oceniany program odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, jakim jest ospa wietrzna. Wnioskodawca w ramach opisu problemu zdrowotnego przytoczył dane epidemiologiczne dotyczące występowania ospy wietrznej na terenie województwa zachodniopomorskiego (na którego terenie znajduje się gmina Mielno) na lata 2014 - 2015, wymieniono liczbę przypadków chorych dla poszczególnych lat oraz liczbę hospitalizacji spowodowanych powikłaniami. Ponadto przytoczono dane dotyczące liczby zachorowań u osób wcześniej nie szczepionych przeciwko ospie. W ramach programu będą realizowane szczepienia ochronne p/ospie wietrznej w populacji dzieci 2-letnich. Wnioskodawca zwraca uwagę na dostępność dwóch typów szczepionki – preparatu monowalentnego oraz szczepionki skoniugowanej (poliwalentnej) - Priorix-Tetra®. W projekcie podkreśla się, że akcja szczepień prowadzona będzie za pomocą szczepionki monowalentnej. Na terenie Polski do obrotu dopuszczony jest jeden preparat spełniający powyższe kryterium – Varilrix®. Należy zwrócić uwagę, że przedstawione w projekcie cele nie spełniają w pełni założeń dobrze sformułowanego celu głównego, zgodnie z kryteriami S.M.A.R.T. Jest on konkretny, dobrze zdefiniowany, osiągalny, jednak powinien być możliwy do monitorowania i mierzenia, istotny a także powinien zawierać ostateczny termin jego osiągnięcia (powinien być zaplanowany w czasie). Termin realizacji celu stanowi warunek skutecznego monitorowania jego realizacji. Przedstawione cele szczegółowe są uzupełnieniem głównego założenia. Projekt programu polityki zdrowotnej można uzupełnić o mierniki efektywności: liczba zaszczepionych dzieci urodzonych w danym roku; liczba dzieci niezakwalifikowanych do szczepienia z powodu przeciwwskazań



lekarskich; monitoring wskaźnika zachorowalności z powodu ospy, obliczanego na podstawie danych uzyskanych od realizatora/ realizatorów Programu; wskaźnik zapadalności na ospę przed, w trakcie realizacji oraz po wdrożeniu programu; liczby ewentualnych hospitalizacji w wyniku ospy przed i po programie; współczynnik hospitalizacji dzieci z powodu zachorowań na ospę, obliczony na podstawie danych uzyskanych od realizatora realizatorów Programu; liczby niepożądanych działań występujących w wyniku zaszczepienia dziecka.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasierski

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art.48 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 581 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu OT.441.102.2016 „Wieloletni program polityki zdrowotnej w zakresie szczepienia dzieci przeciwko ospie wietrznej” realizowany przez: gminę Mielno, Warszawa czerwiec 2016 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Profilaktyczne szczepienia przeciwko ospie wietrznej - wspólne podstawy oceny” lipiec 2015.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 189/2016 z dnia 4 lipca 2016 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki zakażeń
pneumokokowych wśród dzieci w wieku trzech lat z obszaru gminy
Świerklaniec”

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych wśród dzieci w wieku trzech lat z obszaru gminy Świerklaniec”, z uwagi na brak budżetu.

Uzasadnienie

*Oceniany program odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, jakim są zakażenia *Streptococcus pneumoniae*. W przesłanym projekcie nie przedstawiono danych epidemiologicznych gminy lub województwa dotyczących zakażeń *S. pneumoniae*. Nie przytoczono danych nowszych niż z 2010r. W projekcie programu nie wskazano typu szczepionki jaka będzie stosowana. Zaznacza się jedynie w części dot. kosztów, że stosowany będzie 1 dawkowy schemat. Zgodnie z rekomendacjami WHO z 2012 roku, wybór szczepionki powinien być oparty na: aktualnej sytuacji epidemiologicznej, dystrybucji serotypów powodujących zakażenia inwazyjne w poszczególnych grupach wiekowych, zapadalności na IChP w poszczególnych grupach wiekowych, danych farmakoekonomicznych⁸. Obecnie, w większości krajów europejskich stosowana jest szczepionka 10-walentna lub 13-walentna. Należy zwrócić uwagę, że przedstawiony w projekcie cel nie spełnia w pełni założeń dobrze sformułowanego celu głównego, zgodnie z kryteriami S.M.A.R.T. Jest on konkretny, dobrze zdefiniowany, osiągalny, jednak powinien być możliwy do monitorowania i mierzenia, istotny, a także powinien zawierać ostateczny termin jego osiągnięcia (powinien być zaplanowany w czasie). Termin realizacji celu stanowi warunek skutecznego monitorowania jego realizacji. Zatem cel główny powinien zostać zmodyfikowany aby w pełni spełniał ww. opisane kryteria. Stwierdzono rozbieżności w liczebności populacji docelowej programu. Rozbieżności w liczebności populacji docelowej mogą wynikać z aktualniejszych danych dotyczących liczby dzieci objętych szczepieniami obowiązkowymi, a także dzieci zaszczepionych przez rodziców. W projekcie nie wyjaśniono jednak dokładnie tych różnic. Odwlekanie szczepienia (najczęściej ze względów finansowych) do momentu, gdy można*



podać np. jedną dawkę (>2 r.ż.) jest postępowaniem niewłaściwym, gdyż największa zachorowalność na IChP występuje właśnie w pierwszych dwóch latach życia. Projekt programu zawiera jedynie oszacowanie kosztów jednostkowych – ceny 1 dawki – jaką jest szczepione 1 dziecko (ok. 200zł). Należy zauważyć, że wnioskodawca nie przytacza szacunkowych kosztów całkowitych. Nie przedstawiono kosztów jednostkowych związanych z organizacją programu (koszt konsultacji lekarskiej, koszt podania szczepionki, koszt działań informacyjnych o programie). W programie określono czas rozpoczęcia prowadzenia programu od września 2016 z zaznaczeniem, że będzie on kontynuowany do czasu wprowadzenia szczepień przeciwko pneumokokom jako szczepień obowiązkowych. W związku z powyższym nieznanym jest czas trwania programu. Należy zwrócić uwagę, że w chwili obecnej trwają prace nad Projektem rozporządzenia Ministra Zdrowia zmieniającego rozporządzenie w sprawie obowiązkowych szczepień ochronnych, w ramach którego planowane jest objęcie wszystkich dzieci urodzonych od 1 stycznia 2017 r. (w wieku „od 2 miesiąca życia do ukończenia 19 roku życia”) obowiązkowymi szczepieniami przeciwko zakażeniom *Streptococcus pneumoniae*. Powyższy projekt w chwili obecnej znajduje się w fazie konsultacji publicznych procedury legislacyjnej. W przypadku wdrożenia ww. projektu zaleca się zmodyfikowanie grupy docelowej objętej szczepieniami tak aby nie powielano świadczeń gwarantowanych np. skierować program do dzieci urodzonych przed 1 stycznia 2017 r. W projekcie nie uwzględniono monitorowania i ewaluacji, oceny zgłaszalności, jakości świadczeń oraz oceny efektywności programu.

W celu weryfikacji skuteczności przeprowadzonych działań należy uzupełnić projekt o powyższe elementy.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasiński

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art.48 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 581 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu OT.441.104.2016 „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych wśród dzieci w wieku trzech lat z obszaru gminy Świerklaniec” realizowany przez: gminę Świerklaniec, Warszawa czerwiec 2016 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy profilaktyki zakażeń pneumokokowych – wspólne podstawy oceny” marzec 2014.