



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Protokół nr 38/2016
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 24 października 2016 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT)

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

1. Marzanna Bieńkowska
2. Anna Cieślik
3. Paweł Grieb
4. Lucjusz Jakubowski
5. Marlena Jankowiak
6. Michał Myśliwiec
7. Tomasz Pasierski – prowadził posiedzenie
8. Jakub Pawlikowski
9. Janusz Szyndler
10. Marek Wroński

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku OTEZLA (apremilast), we wskazaniu: aktywne łuszczycowe zapalenie stawów u dorosłych pacjentów, u których wystąpiła niewystarczająca odpowiedź na leczenie co najmniej dwoma lekami przeciwreumatycznymi modyfikującymi przebieg choroby (LMPCH) i u których dalsze leczenie wyłącznie LMPCh nie jest rozważane, uprzednio nie leczonych lekami biologicznymi – zgodnie z wnioskiem firmy o modyfikację wskazania refundacyjnego, przekazanym pismem znak PLR.4600.1293.2016.9.MKR z dnia 29.09.2016 r.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku AKYNZEO (netupitant + palonosetron), we wskazaniu: do stosowania u dorosłych pacjentów wymagających profilaktyki nudności i wymiotów związanych z chemioterapią przeciwnowotworową o wysokim potencjale ematogennym (HEC) zawierającą cisplatynę (CIS) w dawce równej lub wyższej niż 50 mg/m² – zgodnie z wnioskiem firmy o modyfikację wskazania refundacyjnego, przekazanym pismem PLR.4600.1248.2016.3.MS z dnia 04.10.2016 r.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku COTELLIC (kobimetynib), we wskazaniu: w ramach programu lekowego: Leczenie czerniaka skóry (ICD-10 C43).
7. Przygotowanie opinii w sprawie dot. skuteczności klinicznej i praktycznej, bezpieczeństwa stosowania, relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania, oraz niepewności oszacowań



leku ZAVESCA (miglustat), we wskazaniu: leczenie dorosłych i dzieci z chorobą Niemann-Picka typu C.

8. Przygotowanie opinii na temat projektu programu polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia, współfinansowanego ze środków UE w ramach EFS „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie profilaktyki chorób układu oddechowego dla pracowników zawodowo narażonych na działanie pyłu zwłókniającego na lata 2017-2020”.
9. Przygotowanie opinii na temat projektów programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program profilaktyki cukrzycy, bezpłatne badania przesiewowe uczniów z grupy Ryzyka Zespołu Metabolicznego”,
 - 2) „Program wczesnego wykrywania i zapobiegania powstawaniu wad postawy u dzieci w wieku szkolnym z terenu Gminy Bieruń”.
10. Losowanie składów Zespołów na kolejne posiedzenia Rady.
11. Zamknięcie posiedzenia.

Ad 1. Posiedzenie o godzinie 11.05 otworzył Przewodniczący Rady Tomasz Pasierski.

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

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

Ad 4. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.4350.15.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Otezla (apremilast) we wskazaniu: w leczeniu dorosłych chorych na aktywne tłuszczycowe zapalenie stawów (ŁZS)”.

W trakcie prezentacji analitycznej przeprowadzono telekonferencję z zaproszonym ekspertem z dziedziny reumatologii, prof. dr hab. Eugeniuszem Kucharzem.

Na wstępie Tomasz Pasierski przyznał, że omawiany lek jest nowatorską terapią o ciekawym mechanizmie działania. Natomiast badania, na podstawie których został wprowadzony, dotyczą innej populacji niż wnioskowana, w związku z czym nie ma mocnych dowodów na skuteczność i efektywność kosztową leku w omawianym wskazaniu. Ponadto NICE (*ang. National Institute for Health and Care Excellence*), najbardziej wiarygodna zdaniem Rady Przejrzystości agencja, nie zaleciła jego refundacji. Następnie przewodniczący poprosił eksperta o ustosunkowanie się do powyższej wypowiedzi.

Eugeniusz Kucharz stwierdził, że istotną kwestią w omawianym przypadku jest nowy mechanizm działania, który być może pozwoli uzyskać efektywność, i takie są odczucia u części chorych, bez potrzeby stosowania leczenia biologicznego. Co do zakresu populacji przyznał, że faktycznie nie ma dokładnych danych epidemiologicznych, ale według jego własnych obliczeń, około 250 chorych rocznie jest włączanych do leczenia biologicznego z powodu tłuszczycowego zapalenia stawów. Jeżeli do tej liczby doda się około 50 chorych, którzy nie zostali objęci leczeniem biologicznym oraz np. 100 (szacunkowo) chorych, którzy mogli mieć jakieś przeciwwskazania i nie spełniali wymogów programu, to daje liczbę około 400 pacjentów. Wyraził przypuszczenie, że populacja chorych leczonych na tym etapie, po nieefektywności dwóch klasycznych leków modyfikujących bez możliwości dalszego leczenia wyłącznie lekami modyfikującymi będzie tego rzędu. W jego opinii populacja nie powinna się zwiększać ponad 250 chorych rocznie, gdyż część pacjentów z czasem przejdzie do leczenia biologicznego, a część chorych nie będzie mogła tego leku zażywać. Na przestrzeni trzech, czterech lat populacja powinna się ustabilizować, do wielkości ok 500-700 pacjentów. Przyznał, że podane przez niego liczby są szacunkowe, jednak uwzględniające szczegółowe sytuacje, kiedy omawiany lek może być

zastosowany zamiast leczenia biologicznego, co jest jego dużym atutem. W dalszej swojej wypowiedzi podkreślił, że nie wiadomo do końca z czym oceniany lek można porównać. Porównywanie go do leków biologicznych jest nie do końca uzasadnione, gdyż tylko część pacjentów, u których wystąpi nietolerancja bądź nieskuteczność terapii trafi do leczenia biologicznego. Dodał, że problemem jest brak badań prowadzonych wyłącznie na populacji chorych, u których stosowane były tylko leki modyfikujące syntetyczne. Z tego co pamięta, w przeprowadzonych badaniach wtórnie rozdzielono chorych, którzy byli już leczeni biologicznie i potem dostali apremilast oraz chorych, którzy nie byli leczeni biologicznie (byli „biologicznie naiwni”). Zwrócił ponadto uwagę na czas i mechanizm działania leku. U chorych, u których przewiduje się wystąpienie lub występuje zwiększone ryzyko zakażenia lub zabiegu (np. wszczepienia endoprotezy), ze względu na krótki okres działania leku, odstawienie go na krótko sprawi, że chory będzie z niego „wypłukany” i będzie mógł być poddany leczeniu na infekcje bądź innym zabiegom, a takiej możliwości nie ma w przypadku większości leków biologicznych.

Tomasz Pasierski zapytał, czy według eksperta omawiany lek, będzie w przyszłości jedynym stosowanym w leczeniu łuszczykowego zapalenia stawów.

Eugeniusz Kucharz odpowiedział, że ww. lek będzie dodatkową opcją leczenia. Łuszczykowe zapalenie stawów jest bardzo niejednorodną chorobą, która w przyszłości prawdopodobnie rozpadnie się na kilka chorób, a wówczas będzie się mówiło o podgrupach chorych. Dobrze jest więc mieć alternatywę, gdyż w przypadku tej choroby nie ma takiej gamy leków, jak w innych zapalnych chorobach reumatycznych. Lek ten jest pewnym dodatkowym rozwiązaniem, pozwalającym na niestosowanie u części pacjentów leczenia biologicznego, a u części to leczenie opóźni.

Tomasz Pasierski poprosił również o wyjaśnienie jaki jest stan leczenia w Polsce chorych na łuszczykowe zapalenie stawów oraz dostęp do leków biologicznych.

Eugeniusz Kucharz wskazał, że część chorych nie trafia do leczenia ze względu na zapisy w programie lekowym, część pacjentów ma przeciwwskazania do leczenia biologicznego lub nawet są oporni psychologicznie. W przypadku zwiększenia dostępu do leków biologicznych, liczba pacjentów zwiększyłaby się o ok. 50 do 100 chorych rocznie, również ze względu na to, iż jest to rzadka choroba, a leczenie biologiczne jest już ostatnią opcją. Nie u wszystkich pacjentów leczenie to jest skuteczne, tolerowane lub możliwe do zastosowania. W związku z tym, wprowadzenie tego leku byłoby korzystne.

Na zakończenie telekonferencji Tomasz Pasierski zapytał jaki jest wpływ leczenia biologicznego na historię naturalną choroby oraz czy chorzy zostają wyleczeni.

Eugeniusz Kucharz odpowiedział, że jest to leczenie objawowe i przeciwzapalne, a przyczyna choroby jest nieznaną. U części pacjentów występują długotrwałe okresy remisji choroby, nie wiadomo z jakich powodów, jednak o wyleczeniu całkowitym nie ma mowy.

Odnosząc się do wypowiedzi eksperta, analityk AOTMiT dodał, że według definicji HTA, technologią alternatywną powinna być aktualnie istniejąca praktyka medyczna, więc leczenie biologiczne może być komparatorem w stosunku do omawianego leku.

W dalszej kolejności swoją propozycję stanowiska przedstawił Paweł Grieb, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Na wstępie odniósł się do wypowiedzi analityka, iż nieznaną jest wpływ omawianego leku na przeżycie całkowite pacjentów. Jego zdaniem w tej chorobie przeżycie całkowite pacjentów nie jest zmniejszone w stosunku do populacji ogólnej. Można natomiast spodziewać się skrócenia przeżycia pacjentów w wyniku toksyczności leku.

Przechodząc do uzasadnienia pozytywnej propozycji stanowiska podkreślił, że omawiany lek jest immunosupresantem, a wszystkie terapie immunosupresyjne są źródłem skutków ubocznych. Jest to

niskocząsteczkowy inhibitor enzymu fosfodiesterazy-4, podawany doustnie lek immunosupresyjny o unikatowym mechanizmie działania, dopuszczony do stosowania w krajach Unii Europejskiej w listopadzie 2014 r. Wydaje się, że jest to dobry lek, chociaż został zarejestrowany we wczesnej fazie rozwoju. Jego stosowanie w aktywnym łuszczycowym zapaleniu stawów u dorosłych jest zgodne ze wskazaniami rejestracyjnymi opartymi na korzystnych wynikach badań klinicznych z kontrolą placebo. Brak jest jednak danych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania tego leku dłużej niż 1 rok. Nie przeprowadzono także porównania z dotychczas akceptowanymi terapiami, biologicznymi w szczególności. Omawiany lek jest modelowym przykładem, co Rada powinna w takiej sytuacji zrobić: czy tylko oceniać przedłożony do opiniowania przez firmę farmaceutyczną wniosek czy zaproponować coś, co wykracza poza ten wniosek. Dziwił go rekomendacje refundacyjne, ponieważ w jego ocenie zostały podjęte pod wpływem lobby producentów leków biologicznych. Wprowadzenie tego leku pomiędzy użycie tradycyjnych leków immunosupresyjnych syntetycznych, które są toksyczne, a użycie leków biologicznych, w sytuacji kiedy okazało by się, że oceniany lek długo działa (a leki biologiczne po dwóch latach stosowania przestają działać na połowę pacjentów), przewróci się cała gałąź produkcji leków biologicznych. Biorąc to pod uwagę, zdecydował się na wskazanie w swojej propozycji stanowiska innej drogi postępowania. Z wniosku wynika, iż firma wyeliminowała z możliwości przyjmowania omawianego leku pacjentów, którzy są w danej chwili poddawani terapiom biologicznym, które nie są leczeniem długotrwałym - z roku na rok zwiększa się zatem liczba pacjentów, u których leki biologiczne przestały działać, a nie są oni uwzględnieni w przedłożonym wniosku refundacyjnym. Podczas gdy jest to lek o nowym mechanizmie działania, który być może zadziałałby u tych pacjentów. Przypomniał ponadto, że do badań rejestracyjnych dopuszczeni byli pacjenci uprzednio leczeni lekami biologicznymi, u których przestały one działać. Dlatego zaproponował w stanowisku, iż omawiany lek powinien być finansowany ze środków publicznych, ale bez ograniczenia wskazań do pacjentów uprzednio nieleczonych lekami biologicznymi oraz powinien być dostępny w ramach istniejącego programu lekowego obejmującego stosowanie biologicznych inhibitorów TNFalfa u chorych, u których zastosowano wcześniej terapię co najmniej jednym/dwoma LMPCh (stosowanymi w monoterapii lub w ramach terapii kombinowanej). Dodał, że jest to ciekawy lek - nie można liczyć na brak skutków ubocznych, ale na razie ma wiele pozytywnych opinii. Niepokoi go jednak zawarta we wniosku propozycja kategorii dostępności leku w aptece na receptę, gdyż leki biologiczne dostępne są jedynie w ramach programu lekowego. W omawianej sytuacji, nowy lek, o nieznanym jeszcze długoterminowych skutkach, również powinien być dostępny w ramach programu lekowego, co jednocześnie może zapobiec jego nadużywaniu.

Tomasz Pasierski poparł propozycję stanowiska, przygotowaną przez Pawła Grieba. Dodał, że nowe leki wchodzi zazwyczaj w pewną niszę, gdyż nie można przeprowadzić badań dla wszystkich chorych, i to jest właśnie taka nisza dla tego leku. Uważa, że omawiany lek jest bardzo obiecujący.

Paweł Grieb dodał, że w tej chwili nie ma zalecenia co do czasu, kiedy należy włączyć leczenie apremilastem. Oczywiście należy to zrobić po wyczerpaniu opcji tradycyjnych syntetycznych leków, ale można go zastosować przed lekami biologicznymi lub po wyczerpaniu opcji leków biologicznych. Według niego, jeżeli lek będzie dostępny w programie lekowym, należy zostawić specjalistom możliwość wyboru czasu włączenia omawianej technologii do leczenia. Podkreślił, że wyłączenie z leczenia apremilastem pacjentów poddawanych leczeniu biologicznemu jest niewłaściwe i jego zdaniem Rada nie powinna się na to zgodzić.

Analitik AOTMiT potwierdził, że wnioskodawca nie uwzględnił w swoim wniosku badań na pacjentach, którzy byli leczeni lekami biologicznymi, a takie dane faktycznie były w badaniu rejestracyjnym. Wiele ze światowych agencji refundacyjnych zastanawiało się, na jakim etapie terapii umieścić apremilast.

Kanadyjska agencja rozważyła rekomendację leku w leczeniu dorosłych chorych na aktywne ŁZS, u których wystąpiła niewystarczająca odpowiedź, nietolerancja bądź przeciwwskazania do LMPCh.

Paweł Grieb podkreślił, że w analizie ekonomicznej wnioskodawca chciał wykazać, że leczenie apremilastem będzie tańsze od leków biologicznych, których w ogóle nie brał pod uwagę.

Michał Myśliwiec zapytał Pawła Grieba dlaczego w swojej propozycji stanowiska nazwał ocenianą technologię immunosupresantem, gdyż jego zdaniem jest to lek przeciwwzapalny oraz dlaczego cena tego leku jest tak duża, zwłaszcza jeśli w Polsce dostępne są inhibitory fosfodiesterazy, np. aminofilina lub sildenafil, które są tańsze. Dodał, że zbliża się w swojej opinii do propozycji refundacyjnej kanadyjskiej agencji lub negatywnego wskazania NICE.

Paweł Grieb wyjaśnił, że jeśli chodzi o cenę leku, przemysł farmaceutyczny jest najbardziej uzależniony (w porównaniu do innych gałęzi przemysłu) od praw wyłącznych z patentu. Jeśli nie ma patentu, nie ma leku. W przypadku patentu, cenę leku po jego rejestracji kształtuje nie koszt jego opracowania i produkcji tylko chęć/możliwość płatnika, prywatnego lub publicznego bądź też firm ubezpieczeniowych.

Tomasz Pasierski zaproponował wpisanie do stanowiska Rady rekomendacji refundacyjnej kanadyjskiej agencji.

Paweł Grieb odnosząc się jeszcze do pytania Michała Myśliwca poinformował, że nazwał omawiany lek immunosupresantem w oparciu o literaturę. Mechanizm działania tego leku, „jego punkt uchwytu”, polegać ma na tym, że pośrednio hamuje ekspresję TNFalfa, czyli ma takie samo działanie jak leki biologiczne tylko szczebel wcześniej. Dodał jeszcze, że lek jest nowy, w niektórych obszarach ma przewagę nad lekami biologicznymi, ponieważ jest podawany doustnie. Podkreślił ponadto wypowiedź eksperta zaproszonego na posiedzenie, iż dużym atutem omawianego leku jest to, że można szybko się wycofać z leczenia nim, gdyż jego efekt bardzo szybko zanika. Z drugiej strony jednak jest bardzo mało doświadczeń praktycznych jego stosowania.

Dyrektor Wydziału Oceny Technologii Medycznych w AOTMiT, Wojciech Wysoczański, zwrócił uwagę na zagrożenie związane z ryzykiem niewłaściwego użycia leku względem wskazań/zaleceń do jego stosowania.

Janusz Szyndler stwierdził, że w jego opinii Rada chce wprowadzić finansowanie leku, na temat którego posiada niewiele danych. ŁZS nie jest krótkotrwałą terapią, a roczne doświadczenie z lekiem to zdecydowania za mało, aby można go było wprowadzić tak wysoko w algorytm leczenia reumatoidalnego zapalenia stawów. Nie ma bezpośredniego dowodu na to, że stosowanie omawianego leku opóźni wprowadzenie leczenia biologicznego. Ponad-to lek jest za drogi, analiza ekonomiczna przedstawiona przez wnioskodawcę jest zbyt optymistyczna.

Tomasz Pasierski przychylił się do wypowiedzi Janusza Szyndlera i stwierdził, że będzie głosował za negatywnym stanowiskiem Rady.

Paweł Grieb dodał, że gdy w poprzednich latach Rada rekomendowała do finansowania terapie biologiczne do tej oraz innych chorób przewlekłych to one również miały taki ograniczony dystans czasowy. Jego zdaniem Rada powinna pełnić rolę integratora poglądów różnych interesariuszy. Poinformował, że z wielu artykułów poglądowych, które czytał, a których analitycy nie zacytowali w analizie weryfikacyjnej, eksperci entuzjastycznie wypowiadali się na temat apremilastu, zwracając jednak uwagę, że wszystkie leki, które są stosowane w tej i podobnych do łuszczycy chorobach, są toksyczne.

Wojciech Wysoczański „*chciałem zwrócić uwagę nad czym myśmy się jeszcze zastanawiali w trakcie opracowania, pracy nad tym lekiem, mianowicie nad opcjami. Problemem nam się okazało to, że w Polsce TNFy nie weszły jako leki ostatniej szansy czyli po wypróbowaniu wszystkich dostępnych opcji w tej chwili jeszcze przed TNFowych, powinniśmy w zasadzie rozważyć coś jako opcję w trzeciej nazwijmy to linii całą grupę leków, które są o wiele tańsze od tego, ale w związku z tym, że w tej chwili mieliśmy problem z tym, czy po drugiej próbie trzeba by było tylko brać jako najlepszy TNF, w zasadzie np. mieliśmy takie pytanie dlaczego np leflunomid nie powinien być porównywany do tego leku, w związku z tym cena powinna być zrównana do leflunomidu, bo też niejako trzecia linia mógłby być np. leflunomid czy w innych konfiguracjach.*”

Tomasz Pasierski stwierdził, że Rada powinna wydać negatywne stanowisko w sprawie finansowania leku Lek wróci do oceny za rok lub dwa lata, a wtedy Rada będzie posiadała więcej informacji na jego temat.

Paweł Grieb zauważył, że Rada nie ma takiej mocy, żeby zaprzeczać decyzjom rejestracyjnym, w dodatku europejskim. Rejestrując lek w takim wskazaniu EMA (*ang. European Medicines Agency*) musiała ustalić pozytywny stosunek korzyści do ryzyka, biorąc pod uwagę przewlekły charakter choroby.

Janusz Szyndler odniósł się do powyższej wypowiedzi, że jeśli tak by było, to wszystkie leki rejestrowane przez EMA (*ang. European Medicines Agency*) automatycznie wchodziłyby do rejestracji w całej Europie, a tak nie jest. Ponadto, kwestia dopuszczenia i zarejestrowania tego leku obejmuje taki a nie inny horyzont czasowy i to jest podstawa rejestracji. Brzmienie wskazania najczęściej odzwierciedla kryteria włączenia do badania rejestracyjnego, które w tym przypadku udowodniało, że jest to lek skuteczniejszy niż placebo. Natomiast nie jest to jeszcze dowód na tak skonstruowane wskazanie, które zostało zawarte w wniosku. Uważa, że Rada nie zaprzecza decyzjom rejestracyjnym EMA, ale w jego ocenie decyzje refundacyjne powinny być opóźnione względem decyzji rejestracyjnych, ponieważ populacja, która jest oceniana w dokumentacji rejestracyjnej, z punktu widzenia bezpieczeństwa, jest znacznie mniejsza niż ta, która wynika z badań porejestracyjnych i potem okresowych raportów bezpieczeństwa.

Tomasz Pasierski przypomniał historię leku dronedaron, zarejestrowanego w migotaniu przedsionków, dopuszczonego do obrotu w Polsce i w niedługim czasie wycofanego z obrotu z powodu ciężkiego uszkodzenia wątroby, jakie powodował. W związku z powyższym, zaproponował wstrzymanie pozytywnej opinii Rady do czasu, kiedy będzie dysponowała większą ilością danych.

Po ostatecznym sformułowaniu treści negatywnego stanowiska Rady, prowadzący zarządził głosowanie. Rada przyjęła uchwały będące jej stanowiskami, które stanowią załączniki do protokołu:

- 1) Otezla (apremilast), tabl. powl. 30 mg, 56 szt., kod EAN 5909991202200 – w wyniku głosowania, 8 głosów za projektem stanowiska Rady, 2 głosy przeciw projektowi,
- 2) Otezla (apremilast), tabl. powl. 10, 20, 30 mg, 27 szt. (4 szt. po 10 mg; 4 szt. po 20 mg; 19 szt. po 30 mg), kod EAN 5909991202194 – w wyniku głosowania, 8 głosów za projektem stanowiska Rady, 2 głosy przeciw projektowi.

Ad 5. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.4350.18.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Akynzeo (netupitant + palonosetron) we wskazaniu: do stosowania u dorosłych pacjentów wymagających profilaktyki nudności i wymiotów związanych z chemioterapią przeciwnowotworową o wysokim potencjale emetogennym zawierającą cisplatynę w dawce równej lub wyższej niż 50mg/m²”.

W trakcie prezentacji analitycznej Wojciech Wysoczański dodał, że przypadku ww. leku był problem z komparatorami. Aktualnie w profilaktyce wymiotów późnych powszechnie stosuje się ondansetron, który jest najczęściej nadużywanym w Polsce lekiem. Natomiast w omawianym przypadku chodzi o profilaktykę wymiotów wczesnych i sam ondansetron nie jest tutaj dobrym komparatorem.

Dodał, że jeżeli olanzapina byłaby refundowana w Polsce w omawianym wskazaniu, byłaby znacznie tańszą opcją od omawianej technologii oraz jest sprawdzoną terapią. Zwrócił ponadto uwagę na różnice między wymiotami wczesnymi, a późnymi, gdyż wymioty późne wymagają trochę innego mechanizmu działania, np. leków uspokajających.

Michał Myśliwiec stwierdził, że w przypadku omawianej technologii, problem stanowi wyłącznie zbyt wysoka cena leku. Wskazanie jest bardzo dokładnie określone oraz istnieją dowody na skuteczność leku w tym wskazaniu. Zaproponował uwzględnienie w stanowisku Rady zdania, iż olanzapina jest tańszą alternatywą do omawianego leku.

Następnie swoją propozycję stanowiska przedstawił Lucjusz Jakubowski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Zarekomendował Radzie pozytywne stanowisko, choć dodał, że równie dobrze mogłoby ono być negatywne. Ma zastrzeżenia co do tego, że jest to preparat łączony. Nie budzi jego wątpliwości problem zdrowotny oraz zasadność stosowania obu składników tego leku złożonego, gdyż jest to od dawna już udokumentowane, wsparte dowodami naukowymi oraz obecne we wszystkich dostępnych rekomendacjach. Jego wątpliwość wynika z tego, że nawet jeśli wskazanie zostanie ograniczone do leczenia cisplatyną, czyli do stosowania preparatu, czy preparatów, o najsilniejszym potencjale metogennym, w przyjętych różnych schematach leczenia jest oczywiście podkreślona konieczność podania takiego preparatu przed rozpoczęciem chemioterapii, ale również w drugim do czwartego dnia stosowania chemioterapii i wtedy jest możliwość modyfikowania dawki w kolejnych dniach. Natomiast preparat łączony nie uwzględnia żadnej możliwości modyfikowania dawki w kolejnych dniach leczenia i na tym polega jego słabość. Z punktu widzenia efektywności kosztowej, wzrost wydatków płatnika publicznego jest tak niewielki, że przy pewnym wysiłku wnioskodawca mógłby to zmienić samym instrumentem dzielenia ryzyka, niezależnie od możliwych negocjacji co do ceny zbytu netto leku. Zaznaczył, że Rada miała już wcześniej podobne wątpliwości przy innych preparatach złożonych ze względu na to, iż łączenie dwóch składników jest niekiedy zabiegiem czysto rynkowym uniemożliwiającym indywidualne ich stosowanie, chociaż jest także zabiegiem mającym ułatwić pacjentom ich przyjmowanie.

Michał Myśliwiec dodał, że jego wątpliwości, zwłaszcza w przypadku kategorii dostępności w aptece na receptę, budzi to, że omawiany lek jest podawany doustnie przed kroplówką z cisplatyną – czy wobec tego pacjent będzie musiał mieć go ze sobą przychodząc do szpitala?

Lucjusz Jakubowski odpowiedział, że w dostępnych opracowaniach naukowych jest uwzględnione podawanie obu składników tego leku również od drugiego do czwartego dnia leczenia. Możliwość podawania omawianego leku nie jest ograniczona tylko do momentu przed podaniem kroplówki.

Tomasz Pasierski stwierdził, że obydwa składniki omawianego leku są dostępne oddzielnie, zatem nie jest on terapią jedynej szansy. Nie widzi poza tym powodu, dla którego tak dużo trzeba zapłacić tylko za to, że dwa składniki są połączone w jednej kapsułce. W związku z powyższym skłania się do negatywnego stanowiska.

Lucjusz Jakubowski dodał, że z punktu widzenia korzyści klinicznych, nic się nie zmieniło.

Analityk AOTMiT przypomniał, że obydwie substancje składające się na omawiany lek nie są w Polsce dostępne.

Tomasz Pasierski odpowiedział, że dostępne są inne, podobnej klasy leki.

Lucjusz Jakubowski dopowiedział, że chodzi o aprepitant oraz ondansetron.

Wojciech Wysoczański zwrócił uwagę, że w kategorii dostępności leku na receptę olanzapina jest niedostępna dla pacjentów w tym wskazaniu, natomiast w leczeniu szpitalnym problem ten nie występuje.

Michał Myśliwiec stwierdził, że Rada powinna wydać pozytywne stanowisko, gdyż jednym z bardzo poważnych powikłań wysokodawkowej terapii cisplatyną są właśnie wymioty, a omawiana terapia mogłaby być stosowana np. u tych pacjentów, którzy nie reagują na ondansetron. W związku z powyższym jest za pozytywnym stanowiskiem Rady, pod warunkiem obniżenia ceny leku.

Lucjusz Jakubowski dodał, że Rada podejmowała już pozytywną decyzję dotyczącą leku Aloxi (palonosetron) w dwóch dawkach, co było wygodniejsze do stosowania przez pacjenta.

Tomasz Pasierski podkreślił, że stosowanie dwóch leków ma znaczenie w chorobach, które mają niską podatność.

W dalszej części posiedzenia Rada dyskutowała nad argumentacją pozytywnego stanowiska dla omawianego leku w kategorii dostępności: w ramach chemioterapii. Rada uznała, iż mimo wątpliwości co do łączenia substancji oraz refundacji innych leków [aprepitant i ondansetron] mających zastosowanie w omawianym wskazaniu, doustne podawanie netupitantu oraz palonosteronu w postaci jednej kapsułki może być technologią wygodniejszą dla pacjenta, choć nie przynosi dodatkowych korzyści klinicznych. Natomiast, stosowanie leku w warunkach szpitalnych zapewnia lepszą kontrolę.

Po ostatecznym sformułowaniu treści stanowisk Rady, prowadzący zarządził głosowanie. Rada przyjęła uchwały będące jej stanowiskami, które stanowią załączniki do protokołu:

1) Akynzeo (netupitant + palonosetron), 300 + 0,5 mg, kapsułki, 1 sztuka, kod EAN 5909991246563, dostępny w aptece na receptę za odpłatnością ryczałtową – w wyniku głosowania, 10 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi Rady,

2) Akynzeo (netupitant + palonosetron), 300 + 0,5 mg, kapsułki, 1 sztuka, kod EAN 5909991246563, stosowany w ramach chemioterapii i dostępny bezpłatnie – w wyniku głosowania, 9 głosów za projektem stanowiska Rady, 1 głos przeciw projektowi Rady.

Bezpośrednio po przegłosowaniu uchwały nr 2) Tomasz Pasierski oświadczył, że zmienił swoją ocenę leku AKYNZEO podawanego w warunkach szpitalnych i zarządził reasumpcję głosowania.

W wyniku powtórnego głosowania Rada przyjęła uchwałę dot. leku Akynzeo (netupitant + palonosetron), 300 + 0,5 mg, kapsułki, 1 sztuka, kod EAN 5909991246563, stosowany w ramach chemioterapii i dostępny bezpłatnie 7 głosami za projektem stanowiska Rady przy 3 głosach przeciw projektowi Rady.

Ad 6. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.4351.27.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Cotellic (kobimetynib) we wskazaniu: czerniak złośliwy skóry (ICD - 10 C43)”.

Następnie swoją propozycję stanowiska przedstawił Marek Wroński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska. Przygotował negatywną propozycję, ze względu na zbyt wysoką cenę leku po czym odczytał jej uzasadnienie.

Wojciech Wysoczański zwrócił uwagę na zaproponowany przez wnioskodawcę instrument podziału ryzyka, gdyż jego zdaniem nie powinno się nazywać [redacted]

Tomasz Pasierski zauważył, że jest to dopuszczalny mechanizm podziału ryzyka.

Wojciech Wysoczański zgodził się z tym, jednak podkreślił, że należy właściwie interpretować działanie RSS i efektywności kosztowej. Zasugerował, że

Marek Wroński przypomniał, że niestety wszyscy chorzy na tę chorobę umierają, a oceniana technologia jej nie likwiduje.

Jakub Pawlikowski zaproponował modyfikację uzasadnienia negatywnego stanowiska, zaproponowanego przez Marka Wrońskiego. Jego zdaniem, bardziej niż nieefektywność kosztowa, powinien być wyeksponowany argument mówiący o zbyt wysokiej cenie leku.

Wobec braku głosów w dalszej dyskusji, po sformułowaniu treści stanowiska, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 10 głosami za projektem stanowiska, przy 0 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu

Ad 7. Na wstępie Tomasz Pasierski poinformował członków Rady, że zmieniło się podejście FDA (*ang. Food and Drug Administration*) do terapii rzadkich, gdyż dopuściła do stosowania leku w dystrofii mięśniowej tylko na podstawie pozytywnego wyniku biopsji mięśni. Oznacza to, że FDA bierze także pod uwagę inne, nie tylko twarde, punkty końcowe, co ma znaczenie przy omawianiu leku objętego tym punktem porządku obrad.

Następnie analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.434.32.2016 „Zavesca (miglustat) we wskazaniu: Leczenie dorosłych i dzieci z chorobą Niemann-Picka typu C”.

W dalszej kolejności swoją propozycję opinii przedstawił Janusz Szyndler, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Zwrócił uwagę na fakt, że temat już kilkakrotnie pojawiał się na posiedzeniach Rady. Stanowisko Rady zawsze było dosyć jednolite, jeśli chodzi o kwestię finansowania miglustatu w tym wskazaniu. W omawianym przypadku Rada ma natomiast wypowiedzieć się np. na temat jego skuteczności klinicznej i praktycznej, nie odnosząc się do finansowania leku. Jeśli chodzi o skuteczność omawianej technologii, to nic się nie zmieniło od czasu poprzednich ocen, nadal jest tylko jedno i to samo randomizowane badanie wysokiej jakości, w którym wykazano, że u pacjentów leczonych miglustatem obserwuje się poprawę w zakresie poziomego ruchu sakadowego gałek ocznych (pierwszorzędowy punkt końcowy), a także stabilizację objawów w zakresie zaburzeń połykania, ostrości słuchu, umiejętności chodzenia i funkcji poznawczych. Skuteczność omawianej technologii jest umiarkowana i ulega wyczerpaniu w horyzoncie czasowym powyżej roku. W chwili obecnej większość specjalistów i wytycznych koncentruje się na tym, że miglustat osiąga swoją optymalną skuteczność w sytuacji, gdy jest stosowany w momencie pojawienia się już pierwszych objawów neurologicznych bądź nawet przed ich wystąpieniem, na co nie ma potwierdzonych dowodów. Jest to przekonanie wynikające z obserwacji serii przypadków, pojedynczych przypadków oraz pewnej praktyki klinicznej. Wskazują one na umiarkowanie pozytywny wpływ leczenia miglustatem na niektóre objawy neurologiczne i jakość życia. W pojedynczych przypadkach może on przyczyniać się do zahamowania progresji choroby, zwłaszcza u osób z późnym początkiem objawów. Podkreślił jednak, że w chwili obecnej praktycznie brak jest dowodów na skuteczność leku pochodzących z badań klinicznych wysokiej jakości. Nie ma również dowodów, że stosowanie miglustatu ma wpływ na przedłużenie życia pacjentów. Wobec powyższego wnioskowanie dotyczące skuteczności klinicznej miglustatu w chorobie Niemann-Picka typu C jest

obarczone wysokim ryzykiem niepewności. Jego zdaniem część pojawiających się rekomendacji wynika z pewnych nadziei i oczekiwań co do skuteczności omawianego leku, który jest aktualnie jedynym zarejestrowanym w Unii Europejskiej lekiem w leczeniu tej choroby. W związku z powyższym, w swojej opinii skłania się do podtrzymania poprzednich stanowisk Rady.

Michał Myśliwiec wyraził wątpliwość wobec użycia stwierdzenia o umiarkowanie pozytywnym wpływie leku. Zaproponował użycia stwierdzenia, mówiącego o słabym pozytywnym wpływie leku, aby opinia Rady była zgodna z tym, co na jego temat zostało dotąd napisane.

Janusz Szyndler wytłumaczył, iż choroba Niemann-Picka typu C jest chorobą rzadką, wobec czego, ze względu na bardzo małą populację dotkniętą chorobą, możliwości przeprowadzenia większej liczby badań są ograniczone, dlatego użył sformułowania o umiarkowanym wpływie leku, jednak zgodził się z propozycją Michała Myśliwca.

Wojciech Wysoczański podkreślił, że mimo 6 lat od ostatniego badania, jego skuteczność nadal nie została potwierdzona. W jego opinii jest to argument za odrzuceniem tego leku.

Analitik AOTMiT, odnosząc się do powyższej wypowiedzi, dodał, że w przeciągu tych 6 lat pojawiło się tylko 22 nowych opisów przypadków.

Lucjusz Jakubowski wyraził zdanie, iż ma nadzieję na pozytywną decyzję Ministra Zdrowia ws. finansowania omawianego leku, gdyż stanowi on jakąkolwiek szansę, z punktu widzenia psychologicznego, dla rodziców opiekujących się dziećmi dotkniętymi tą chorobą.

Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za projektem opinii, przy 2 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Na koniec, Tomasz Pasierski zwrócił się do członków Rady, aby częściej korzystali z przysługującego im prawa do złożenia zdania odrębnego.

Ad 8. Analitik AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.205.2016 „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie profilaktyki chorób układu oddechowego dla pracowników zawodowo narażonych na działanie pyłu zwłókniającego na lata 2017-2020”.

Następnie swoją propozycję negatywnej opinii przedstawił Jakub Pawlikowski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Stwierdził, że sam pomysł objęcia świadczeniami z zakresu medycyny pracy osób, zatrudnionych nie na umowę o pracę tylko na inne formy zatrudnienia, jest dobry. Argumentem przemawiającym za negatywną opinią są koszty programu. Wątpliwości budzi rozdysponowanie większości tej kwoty na koszty związane z działaniami informacyjno-edukacyjnymi, natomiast świadczenia zdrowotne dla zakwalifikowanej grupy pracowników narażonych na pył stanowią jedynie niecałe 18% kosztów całkowitych. Ponadto wnioskodawca uwzględnił tylko część uwag Prezesa AOTMiT. Części uwag, dotyczących właśnie kosztów, nie uwzględnił oraz zmodyfikował program, usuwając z niego ważne elementy, jak choćby ćwiczenia, rehabilitację, fizjoterapię. Szczegółowe uzasadnienie znajduje się w projekcie opinii, która stanowi załącznik do protokołu.

Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 10 głosami za projektem opinii, przy 0 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Michał Myśliwiec w związku z tym, że program ten był oceniany przez Radę na początku 2016 roku, zapytał jak często wnioskodawca może przedstawiać ten program do opiniowania.

Analitik AOTMiT odpowiedział, że w ustawie o świadczeniach nie ma informacji na ten temat. Jednak interpretacja Ministerstwa Zdrowia jest następująca: jeśli zmiany w programie nie wykraczają poza uwagi Prezesa Agencji – program nie jest opiniowany ponownie. Natomiast jeśli wykracza poza uwagi Prezesa musi być ponownie zaopiniowany przez Radę

Ad 9.1) Analitik AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr OT.441.199.2016 „Program profilaktyki cukrzycy, bezpłatne badania przesiewowe uczniów z grupy Ryzyka Zespołu Metabolicznego”.

W dalszej części swoją propozycję opinii przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponowała pozytywną opinię, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady. Podkreśliła, że bardzo dużą wartością programu są zawarte w nim działania o charakterze edukacyjnym.

Lucjusz Jakubowski stwierdził, że jeśli program nie spełnia tak wielu wymogów i kryteriów określonych przez AOTMiT, nie powinien być opiniowany pozytywnie pod warunkiem uwzględnienia uwag, gdyż Rada nie jest w stanie tego skontrolować. Są pewne wyjątki, jak np. szczepienia, gdzie przewidywalne korzyści są zdecydowanie większe.

Tomasz Pasierski wyraził wątpliwości, czy interwencje opisane w programie opierają się na dowodach pozyskanych na większej populacji.

Wojciech Wysoczański zauważył, że czym innym jest screening, a czym innym postępowanie lekarskie u dziecka otyłego.

Michał Myśliwiec dodał, że jest za pozytywną opinią ze względu na edukację dzieci.

Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za projektem opinii, przy 2 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

2) Analitik AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.201.2016 „Program wczesnego wykrywania i zapobiegania powstawaniu wad postawy u dzieci w wieku szkolnym z terenu Gminy Bieruń”.

Następnie swoją propozycję pozytywnej opinii pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady, przedstawiła Anna Cieślić, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Podkreśliła, że wady postawy u dzieci są ogromnym problemami bez względu na to, czy screening w tym przypadku jest słuszny, czy nie, program może przynieść pewne korzyści.

Lucjusz Jakubowski ponownie podniósł, że jeśli program nie spełnia wymogów określonych przez AOTMiT, nie powinien być opiniowany pozytywnie pod warunkiem uwzględnienia uwag i być podstawą do wydawania pieniędzy publicznych, niezależnie od wagi problemu.

Michał Myśliwiec przypomniał, że do tej pory Rada opiniowała negatywnie programy polityki zdrowotnej z zakresu wad postawy, z powodu braku metodyki oraz braku fachowców, którzy będą realizowali interwencje opisane w programie.

Tomasz Pasierski dodał, że Rada nie może wydać pozytywnej opinii o programie, w którym nie opisano zaplanowanych interwencji, w związku z czym nie można ocenić ich zasadności.

Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 5 głosami za projektem opinii, w tym głosem prowadzącego posiedzenie, przy 5 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 9. Przeprowadzono losowanie składu zespołu na posiedzenie Rady w dniu 21 listopada 2016 r.

Ad 10. Prowadzący posiedzenie Tomasz Pasierski zakończył posiedzenie Rady o godzinie 15.20.

Protokół sporządził Tomasz Pasierski
Przewodniczący Rady Przejrzystości

.....
(data i podpis)

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Roche Registration Limited).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Roche Registration Limited o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2014, poz.782 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2003 r., Nr 153, poz. 1503 z późn. zm.).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Roche Registration Limited

Dane zakreślone **kolorem czerwonym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na prywatność osoby fizycznej.

Zakres wyłączenia jawności: dane osobowe.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust.1 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2014, poz.782 z późn. zm. w zw. z art. 1 ust. 1 oraz art. 23 ust.1 ustawy z dnia 29 sierpnia 1997 r. o ochronie danych osobowych (Dz. U. z 2014. poz. 1182 z późn. zm.).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: osoba fizyczna.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 112/2016 z dnia 24 października 2016 roku

w sprawie oceny leku Otezla (apremilast) kod EAN: 5909991202200,
we wskazaniu: w leczeniu dorosłych chorych na aktywne łuszczycowe
zapalenie stawów (ŁZS)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Otezla (apremilast), tabl. powł. 30 mg, 56 szt., kod EAN: 5909991202200, we wskazaniu: aktywne łuszczycowe zapalenie stawów u dorosłych pacjentów, u których wystąpiła niewystarczająca odpowiedź na leczenie co najmniej dwoma lekami przeciwreumatycznymi modyfikującymi przebieg choroby (LMPCH) i u których dalsze leczenie wyłącznie LMPCH nie jest rozważane, uprzednio nieleczonych lekami biologicznymi, jako leku dostępnego w aptece na receptę za odpłatnością ryczałtową.

Uzasadnienie

Otezla (apremilast), niskocząsteczkowy inhibitor enzymu fosfodiesterazy-4, jest podawanym doustnie lekiem o unikatowym mechanizmie działania, dopuszczonym do stosowania w krajach Unii Europejskiej w listopadzie 2014r. Doświadczenie z tym lekiem jest jeszcze małe i większość agencji światowych HTA nie rekomenduje jego finansowania ze środków publicznych. Lek był dotychczas porównywany w krótkoterminowych badaniach tylko z placebo. Technologia ta, zgodnie z obliczeniami AOTMiT, nie jest efektywna kosztowo. Lek nie jest refundowany w żadnym kraju o podobnym PKB per capita do RP.

.....
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.4350.15.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Otezla (apremilast) we wskazaniu: w leczeniu dorosłych chorych na aktywne łuszczycowe zapalenie stawów (ŁZS)”. Data ukończenia: 14.10.2016 r.





Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 113/2016 z dnia 24 października 2016 roku

w sprawie oceny leku Otezla (apremilast) kod EAN: 5909991202194,
we wskazaniu: w leczeniu dorosłych chorych na aktywne łuszczycowe
zapalenie stawów (ŁZS)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Otezla (apremilast), tabl. powł. 10, 20, 30 mg, 27 szt. (4 szt. po 10 mg; 4 szt. po 20 mg; 19 szt. po 30 mg), kod EAN 5909991202194, we wskazaniu: aktywne łuszczycowe zapalenie stawów u dorosłych pacjentów, u których wystąpiła niewystarczająca odpowiedź na leczenie co najmniej dwoma lekami przeciwreumatycznymi modyfikującymi przebieg choroby (LMPCH) i u których dalsze leczenie wyłącznie LMPCH nie jest rozważane, uprzednio nieleczonych lekami biologicznymi, jako leku dostępnego w aptece na receptę za odpłatnością ryczałtową.

Uzasadnienie

Otezla (apremilast), niskocząsteczkowy inhibitor enzymu fosfodiesterazy-4, jest podawanym doustnie lekiem o unikatowym mechanizmie działania, dopuszczonym do stosowania w krajach Unii Europejskiej w listopadzie 2014r. Doświadczenie z tym lekiem jest jeszcze małe i większość agencji światowych HTA nie rekomenduje jego finansowania ze środków publicznych. Lek był dotychczas porównywany w krótkoterminowych badaniach tylko z placebo. Technologia ta, zgodnie z obliczeniami AOTMiT, nie jest efektywna kosztowo. Lek nie jest refundowany w żadnym kraju o podobnym PKB per capita do RP.

.....
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.4350.15.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Otezla (apremilast) we wskazaniu: w leczeniu dorosłych chorych na aktywne łuszczycowe zapalenie stawów (ŁZS)”. Data ukończenia: 14.10.2016 r.





Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 114/2016 z dnia 24 października 2016 roku

w sprawie oceny leku Akynzeo (netupitant + palonosetron) kod EAN: 5909991246563, we wskazaniu: do stosowania u dorosłych pacjentów wymagających profilaktyki nudności i wymiotów związanych z chemioterapią przeciwnowotworową o wysokim potencjale emetogennym zawierającą cisplatinę w dawce równej lub wyższej niż 50mg/m²

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Akynzeo (netupitant + palonosetron), 300 + 0,5 mg, kapsułki, 1 sztuka, kod EAN 5909991246563, we wskazaniu do stosowania u dorosłych pacjentów wymagających profilaktyki nudności i wymiotów związanych z chemioterapią przeciwnowotworową o wysokim potencjale emetogennym zawierającą cisplatinę w dawce równej lub wyższej niż 50mg/m², jako leku dostępnego w aptece na receptę za odpłatnością ryczałtową.

Uzasadnienie

Nudności i wymioty w następstwie chemioterapii występują z różnym nasileniem u 70-80% chorych. Terapie z zastosowaniem cisplatiny cechują się wysokim potencjałem emetogennym. Tego typu objawy uboczne wpływają negatywnie na jakość życia pacjentów i ich motywację do dalszego leczenia. Mogą również prowadzić do odwodnienia, zaburzeń elektrolitowych, a także do długotrwałych zaburzeń odżywiania. Stosowanie wybiórczych antagonistów receptora serotoninowego (5-HT₃ RA), antagonistów receptora neurokininowego typu 1 (NK-1 RA) oraz kortykosteroidu, należy do powszechnie akceptowanych i wykorzystywanych schematów terapeutycznych mających na celu zapobieganie nudnościom i wymiotom związanych z chemioterapią.

Doustne podawanie netupitantu oraz palonosetronu (NEPA) w postaci jednej kapsułki może być technologią wygodniejszą dla pacjenta, ale nie przynosi



dotatkowych korzyści klinicznych. Refundowane są obecnie: aprepitant i ondansetron.

.....
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.4350.18.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Akynzeo (netupitant + palonosetron) we wskazaniu: do stosowania u dorosłych pacjentów wymagających profilaktyki nudności i wymiotów związanych z chemioterapią przeciwnowotworową o wysokim potencjale emetogennym zawierającą cisplatynę w dawce równej lub wyższej niż 50mg/m²”. Data ukończenia: 13 października 2016r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 115/2016 z dnia 24 października 2016 roku

w sprawie oceny leku Akynzeo (netupitant + palonosetron) kod EAN: 5909991246563, we wskazaniu: do stosowania u dorosłych pacjentów wymagających profilaktyki nudności i wymiotów związanych z chemioterapią przeciwnowotworową o wysokim potencjale emetogennym zawierającą cisplatinę w dawce równej lub wyższej niż 50mg/m²

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Akynzeo (netupitant + palonosetron), 300 + 0,5 mg, kapsułki, 1 sztuka, kod EAN 5909991246563, we wskazaniu do stosowania u dorosłych pacjentów wymagających profilaktyki nudności i wymiotów związanych z chemioterapią przeciwnowotworową o wysokim potencjale emetogennym zawierającą cisplatinę w dawce równej lub wyższej niż 50mg/m², w ramach osobnej grupy limitowej, jako leku stosowanego w ramach chemioterapii i wydawanego pacjentom bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia ceny, ze względu na graniczną efektywność kosztową.

Uzasadnienie

Nudności i wymioty w następstwie chemioterapii występują z różnym nasileniem u 70-80% chorych. Terapie z zastosowaniem cisplatyny cechują się wysokim potencjałem emetogennym. Tego typu objawy uboczne wpływają negatywnie na jakość życia pacjentów i ich motywację do dalszego leczenia. Mogą również prowadzić do odwodnienia, zaburzeń elektrolitowych, a także do długotrwałych zaburzeń odżywiania. Stosowanie wybiórczych antagonistów receptora serotoninowego (5-HT₃ RA), antagonistów receptora neurokininowego typu 1 (NK-1 RA) oraz kortykosteroidu, należy do powszechnie akceptowanych i wykorzystywanych schematów terapeutycznych mających na celu zapobieganie nudnościom i wymiotom związanych z chemioterapią. Doustne podawanie netupitantu oraz palonosteronu (NEPA) w postaci jednej kapsułki może być technologią wygodniejszą dla pacjenta, ale nie przynosi dodatkowych korzyści klinicznych. Refundowane są obecnie: aprepitant i ondansetron. Jednakże,



stosowanie leku w warunkach szpitalnych zapewnia lepszą kontrolę. Jest ono możliwe pod warunkiem obniżenia ceny terapii.

.....
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.4350.18.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Akynzeo (netupitant + palonosetron) we wskazaniu: do stosowania u dorosłych pacjentów wymagających profilaktyki nudności i wymiotów związanych z chemioterapią przeciwnowotworową o wysokim potencjale emetogennym zawierającą cisplatynę w dawce równej lub wyższej niż 50mg/m²”. Data ukończenia: 13 października 2016r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 116/2016 z dnia 24 października 2016 roku

w sprawie oceny leku Cotellic (kobimetynib) kod EAN:

5902768001136, we wskazaniu: czerniak złośliwy skóry (ICD-10 C43)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Cotellic (kobimetynib), tabletki powlekane, 20 mg, 63 sztuki, kod EAN 5902768001136, we wskazaniu: czerniak złośliwy skóry (ICD-10 C43), w ramach programu lekowego „Leczenie czerniaka skóry (ICD-10 C43)”, jako leku dostępnego bezpłatnie.

Uzasadnienie

Cotellic jest lekiem przeciwnowotworowym, którego mechanizm polega na odwracalnym, selektywnym, allosterycznym, blokowaniu proliferacji komórki rakowej, która jest aktywowana przez szlak kinazy MAP poprzez hamowanie węzła sygnalizacyjnego MEK1/2. Ten nowy lek stosowany jest w I linii leczenia w rozsianym lub nieoperacyjnym czerniaku (stopień III lub IV melanoma), w połączeniu z lekiem przeciwnowotworowym Zelboraf (werumafenib) i tylko u tych dorosłych pacjentów, których komórki nowotworu zawierają mutację genu BRAF V600.

Aczkolwiek połączenie tych dwóch leków było dotąd przebadane zaledwie w kilku badaniach klinicznych o wysokiej jakości, to jednak ich wpływ okazał się skuteczny. Mediana przeżycia całkowitego u chorych leczonych terapią skojarzoną była dłuższa o ok. 5 miesięcy w stosunku do monoterapii samym wemurafenibem, zaś ryzyko zgonu było mniejsze o 30%. Trzeba jednak pamiętać, że po roku od zakończenia badania połowa z prawie 500 leczonych chorych zmarła i przyczyną zgonów była progresja czerniaka. Oceniając obydwie grupy pacjentów pod względem oceny ogólnego stanu zdrowia i stanu funkcjonalnego chorych w zakresie ról życiowych oraz funkcji poznawczych, nie wykazano klinicznie istotnych zmian. Statystycznie istotne różnice wystąpiły natomiast pod względem funkcjonowania fizycznego, emocjonalnego i społecznego, wykazując przewagę na korzyść grupy leczonej terapią skojarzoną kobimetynibem i wemurafenibem, przy czym tylko w przypadku funkcjonowania emocjonalnego zmiany można było uznać za istotne klinicznie. Zaobserwowano też istotną klinicznie zmianę w zakresie bezsenności oraz bólu w grupie pacjentów leczonej terapią skojarzoną na korzyść tej terapii.



Jednak grupa chorych leczonych w terapii skojarzonej lekiem Cotellic miała więcej działań niepożądanych (takich jak hipofosfatemia, biegunka, nadwrażliwość na światło, zwiększone stężenie kinazy kreatynowej oraz zwiększone stężenie AspAT). Ponadto ogółem częściej występowały: chorioretinopatia, niewyraźne widzenie, nadciśnienie, nudności, wymioty zwiększone stężenie fosfatazy zasadowej, odwodnienie, gorączka oraz zmniejszenie frakcji wyrzutowej lewej komory serca. Także częstość zgonów z powodów zdarzeń niepożądanych była większa w grupie terapii łączonej niż w grupie monoterapii.

Od strony ekonomicznej lek Cotellic jest drogi i z obliczeń kosztowych przeprowadzonych przez AOTM wynika, że wartość ICUR kilkakrotnie przekracza wysokość progu, o którym mowa w art. 12 pkt 13 i art. 19 ust. 2 pkt 7 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, co spowoduje dodatkowe roczne wydatki płatnika publicznego w wysokości kilkudziesięciu milionów złotych przy leczeniu zaledwie kilkuset pacjentów.

Z powodu wysokich kosztów ostatecznego leczenia Cotellic jest refundowany tylko w kilku bogatych krajach takich jak Niemcy, Islandia, Dania i Holandia. Odmówiono natomiast refundacji w Anglii i Walii, argumentując iż współczynnik efektywności kosztów za rok życia skorygowany jakością jest zbyt wysoki.

Podsumowując, wyniki analizy ekonomicznej wskazują, że wnioskowana technologia nie jest efektywna kosztowo, nawet przy uwzględnieniu instrumentu podziału ryzyka, który w tej sytuacji Rada uznaje za niewystarczający.

W związku z powyższym Rada przyjęła stanowisko jak wyżej.

.....
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.4351.27.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Cotellic (kobimetynib) we wskazaniu: czerniak złośliwy skóry (ICD-10 C43)”. Data ukończenia: 14.10.2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 314/2016 z dnia 24 października 2016 roku

w sprawie skuteczności klinicznej i praktycznej, bezpieczeństwa stosowania, relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania, oraz niepewności oszacowań leku Zavesca (miglustat), we wskazaniu: leczenie dorosłych i dzieci z chorobą Niemann-Picka typu C

Choroba Niemann-Picka typu C związana jest z zaburzeniami wewnątrzkomórkowego transportu cholesterolu i innych związków lipidowych prowadzącymi do gromadzenia się lipidów w tkankach obwodowych oraz gangliozydów GM2 i GM3 w ośrodkowym układzie nerwowym. W następstwie spichrzania dochodzi do powiększenia śledziony, wątroby jak również do pogarszania funkcji poznawczych, porażenia ruchów gałek ocznych, ataksji, napadów padaczkowych i dystonii. Większość pacjentów umiera przed ukończeniem 20 roku życia. Rozpowszechnienie choroby Niemann-Picka typu C wynosi około 1-9/100 tys.

Miglustat jest jedynym środkiem zarejestrowanym w leczeniu dzieci i dorosłych z chorobą Niemann-Picka. Dostępne dane kliniczne dotyczące skuteczności klinicznej miglustatu są bardzo ograniczone. W jedynym opublikowanym randomizowanym badaniu wykazano, że u pacjentów leczonych miglustatem obserwuje się poprawę w zakresie poziomego ruchu sakadowego gałek ocznych (pierwszorzędowy punkt końcowy) a także stabilizację objawów w zakresie zaburzeń połykania, ostrości słuchu, umiejętności chodzenia i funkcji poznawczych. W przedłużonej fazie badania (typu open-label), przebieg choroby u młodzieży i dorosłych pacjentów ustabilizował się w 68% przypadków na okres co najmniej 12 miesięcy. Wśród pacjentów pediatrycznych postęp choroby w 24 miesięcznym okresie ustabilizował się u 80% pacjentów. Najczęstszymi zdarzeniami niepożądanymi w grupie badanej były biegunka, wzdęcia, utrata wagi i ból brzucha.

Pozostałe dostępne dane kliniczne opierają się na analizach serii przypadków oraz pojedynczych przypadków. Na podstawie tych doniesień można wnioskować, że leczenie miglustatem związane jest z hamowaniem progresji objawów szczególnie u pacjentów z późnym początkiem objawów (w okresie młodzieńczym lub u dorosłych). Wydaje się także, że największą korzyść



odnoszą pacjenci, u których leczenie rozpoczęto w chwili pojawienia się pierwszych objawów neurologicznych.

Według kanadyjskich wytycznych klinicznych opublikowanych w 2014 roku miglustat rekomenduje się dla wszystkich pacjentów, niezależnie od obecności objawów neurologicznych a terapia powinna być przerwana jeśli u pacjenta pojawią się zagrażające życiu komplikacje lub postępujące pogorszenie zdolności kognitywnych. Zdaniem autorów większość pacjentów z chorobą Niemann-Picka typu C leczonych miglustatem wykazuje stabilizację stanu neurologicznego lecz tylko w niewielkim odsetku stwierdza się poprawę w zakresie objawów neurologicznych. Brytyjskie i europejskie wytyczne leczenia miglustatem są zbliżone do powyższych, jednakże w przypadku wytycznych europejskich nie zaleca się rozpoczynania leczenia przed wystąpieniem objawów neurologicznych.

Zdania ekspertów klinicznych poproszonych o opinię w przedmiotowej sprawie są podzielone. Z jednej strony podkreślano zdolność miglustatu do hamowania progresji objawów neurologicznych, z drugiej zaś zwracano uwagę, że wyniki jedyne badania dokumentujące skuteczność kliniczną nie wykazują w sposób przekonujący skuteczność leczenia miglustatem a ponadto brak jest danych dotyczących długoterminowych efektów terapii.

Podsumowując, wyniki analiz serii przypadków oraz badań obserwacyjnych wskazują na słaby wpływ leczenia miglustatem na niektóre objawy neurologiczne i jakość życia. W pojedynczych przypadkach może przyczyniać się także do zahamowania progresji choroby, zwłaszcza u osób z późnym początkiem objawów. Dostępne dane wskazują na akceptowalną tolerancję leczenia miglustatem. Należy jednakże podkreślić, że w chwili obecnej praktycznie brak jest dowodów na skuteczność leku pochodzących z badań klinicznych wysokiej jakości, należy jednak wziąć pod uwagę, że ze względu na bardzo małą populację dotkniętą chorobą możliwości przeprowadzenia większej liczby badań są ograniczone. Nie ma również dowodów, że stosowanie miglustatu ma wpływ na przedłużenie życia pacjentów. Wobec powyższego wnioskowanie dotyczące skuteczności klinicznej miglustatu w chorobie Niemann-Picka typu C jest obarczone wysokim ryzykiem niepewności.

Przez ostatnie 6 lat nie pojawiły się żadne nowe dowody naukowe na skuteczność tej terapii.

Przedmiot zlecenia

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 581 z późn. zm.), w nawiązaniu do zlecenia Ministra Zdrowia, zawartego w piśmie PLA.4600.330.2016.PB z dnia 06.06.2016r., z uwzględnieniem opracowanie ws zasadności stosowania i/lub finansowania terapii

danym produktem leczniczym, raport nr: OT.434.32.2016, „Zavesca (miglustat) we wskazaniu: Leczenie dorosłych i dzieci z chorobą Niemann-Picka typu C”. Data ukończenia: 19.10.2016 r.

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 581 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby Rady Przejrzystości ws zasadności stosowania i/lub finansowania terapii danym produktem leczniczym, nr OT.434.32.2016, „Zavesca (miglustat) we wskazaniu: Leczenie dorosłych i dzieci z chorobą Niemann-Picka typu C”. Data ukończenia: 19.10.2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 315/2016 z dnia 24 października 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” woj. 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” woj. świętokrzyskiego.

Uzasadnienie

Projekt dotyczy ważnego problemu zdrowotnego dla społeczności lokalnej, ponieważ województwo świętokrzyskie należy w skali kraju do obszaru o wysokiej i ciągle wzrastającej zapadalności na choroby zawodowe, w tym również pylice płuc. Wpisuje się również w jeden z priorytetów zdrowotnych określonych w Policy Paper 2014-2020 tj. zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu przewlekłych chorób układu oddechowego. Program nie dubluje świadczeń gwarantowanych, uwzględnia interwencje zgodne z aktualnymi wytycznymi (np. NHRC 2014, SEPAR 2014), zawiera obszerny element edukacyjny oraz obejmuje swoimi działaniami osoby, które narażone są na działanie pyłu zwłókniającego, jednak nie podlegają badaniom w ramach medycyny pracy (w szczególności dotyczy to pracowników zatrudnionych w ramach umów cywilno-prawnych). Można zatem stwierdzić, że zaproponowane świadczenia stanowią wartość dodaną do obecnego systemu medycyny pracy.

Autorzy programu nie usunęli jednak wielu uchybień, które były przyczyną negatywnej opinii Prezesa Agencji w dniu 7.07.2016. dotyczących zwłaszcza budżetu. Biorąc pod uwagę całkowity koszt programu (ponad 2,6 miliona złotych) wątpliwości budzi rozdysponowania większości tej kwoty (ponad 1,6 mln zł) na koszty związane z działaniami informacyjno-edukacyjnymi, zwłaszcza, że nie wskazano podziału kosztów na jej poszczególne elementy tj. kampanię medialną, konferencje, materiały promocyjne, materiały edukacyjne, spotkania z pracodawcami, szkolenia i warsztaty. Uwzględniając



dotąd koszty organizacyjne programu (ponad 500 tys. zł), należy stwierdzić, że świadczenia zdrowotne dla zakwalifikowanej grupy pracowników narażonych na pył (ponad 460 tys. zł) stanowią jedynie niecałe 18% kosztów całkowitych. Nie jest jasne ile oraz jakich interwencji przewiduje wnioskodawca w przypadku świadczeń związanych z wczesną diagnostyką. W aktualnej wersji programu nie określono również kosztów jednostkowych poszczególnych interwencji. Wnioskodawca nie odniósł się także do uwag Prezesa Agencji dotyczących kosztów „preparatów stosowanych w leczeniu uzależnienia od nikotyny”. Brakuje informacji na czym dokładnie ma polegać terapia, jakie preparaty zostaną wykorzystane i czy będą one dostępne bezpłatnie.

W uwagach dotyczących populacji należy zauważyć, że cel główny stanowi bardziej działanie niż cel, dlatego sugerowane jest przekonstruowanie celu głównego. Cele szczegółowe są niemierzalne. Z kolei w miernikach efektywności wydaje się, że np. wskazywanie określonego odsetka osób objętych działaniami edukacyjnymi powinno być zawarte w oczekiwanych efektach programu lub też w celach szczegółowych. W projekcie programu nie zostało wyjaśnione z jakiego powodu wnioskodawca pominiął w obecnie ocenianym projekcie programu przeprowadzenie analizy porównawczej sprzed i po wprowadzeniu programu. W porównaniu do poprzedniej wersji programu wnioskodawca nie zawarł uszczegółowienia odnośnie osób z grup ryzyka, które było uzasadnione. Na podstawie danych przedstawionych przez wnioskodawcę występuje niespójność z zaopiniowaną wcześniej wersją programu w kwestii liczebności populacji: wcześniej sugerowano objęcie działaniami edukacyjnymi ponad 10 tys. osób narażonych na pracę w warunkach oddziaływania pyłu zwłókniającego, a w obecnej wersji 7 tys. osób. Nie doprecyzowano w jakiej części populacji objętej programem przewiduje się zdjęcie RTG i tomografię HCRT.

W projekcie programu nie określono jakie zagadnienia będą poruszane na spotkaniach edukacyjno-szkoleniowych dla lekarzy. Nie jest również wyjaśnione jaki ma być przedmiot spotkań z pracodawcami. W porównaniu do poprzednio ocenianego projektu programu wnioskodawca w obecnej wersji programu nie uwzględnił kto ma prowadzić działania edukacyjne.

W ramach edukacji planuje się również przeprowadzić terapię farmakologiczną w postaci preparatów stosowanych w leczeniu uzależnienia od nikotyny. Wnioskodawca nie uszczegóławia ww. terapii Nie wskazano również informacji związanych z bezpieczeństwem stosowania ww. preparatów.

W porównaniu do poprzednio ocenianej wersji programu stwierdza się brak interwencji w postaci ćwiczeń usprawniających pracę układu oddechowego, zabiegów fizykalnych związanych z ruchomością klatki piersiowej (w tym dostępu do sali ćwiczeń oraz etatu dla fizjoterapeuty) oraz porady psychologicznej dla osób ze stwierdzonymi zmianami w obrębie układu

oddechowego. Interwencje powyższe są zalecane na podstawie odnalezionych wytycznych i rekomendacji (np. NHRC 2014).

W zakresie organizacji programu wnioskodawca również niejasno określa rolę lekarzy pulmonologów. W projekcie programu nie zostali oni włączeni w skład kadry pracowniczej programu, natomiast w budżecie projektu programu jest przewidziany koszt konsultacji pulmonologicznej. Warto byłoby wyjaśnić czy konsultacja pulmonologiczna będzie stanowić usługę zewnętrzną poza projektem czy też będzie realizowana w ramach programu. Niejasna wydaje się również kwestia pominięcia w obecnie ocenianym projekcie programu posiadania pracowni RTG przez ewentualnego realizatora programu.

Wnioskodawca nie odniósł się również do uwag Agencji w zakresie monitorowania programu dotyczących uwzględniania w ocenie zgłaszalności i ocenie jakości świadczeń opinii inspektorów BHP i lekarzy radiologów. Zapewne ich uwagi były również pomocne przy ewentualnych korektach w funkcjonowaniu programu.

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art.48a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 581 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu OT.441.205.2016 „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie profilaktyki chorób układu oddechowego dla pracowników zawodowo narażonych na działanie pyłu zwłókniającego na lata 2017 - 2020” realizowany przez: woj. świętokrzyskie, Warszawa październik 2016r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 316/2016 z dnia 24 października 2016 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki cukrzycy, bezpłatne badania przesiewowe uczniów z grupy Ryzyka Zespołu Metabolicznego” miasta Zakopane

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki cukrzycy, bezpłatne badania przesiewowe uczniów z grupy Ryzyka Zespołu Metabolicznego” miasta Zakopane, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Problem zdrowotny opisany w projekcie programu polityki zdrowotnej wpisuje się w priorytety zdrowotne zawarte w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 21 sierpnia 2009 r. ws. priorytetów zdrowotnych (Dz.U.2009 nr 137 poz.1126), mianowicie: przeciwdziałanie występowaniu otyłości i cukrzycy oraz zapobieganie najczęstszym problemom zdrowotnym i zaburzeniom rozwoju fizycznego i psychospołecznego dzieci i młodzieży objętych obowiązkiem szkolnym i obowiązkiem nauki oraz kształcących się w szkołach ponadgimnazjalnych do ich ukończenia. Działania programu mają na celu wsparcie i uzupełnienie świadczeń dostępnych w ramach NFZ oraz uzyskanie wiedzy na temat częstości występowania zagrożenia cukrzycowego wśród uczniów szkół w Zakopanem. Zgodnie z opiniami ekspertów klinicznych, programy polityki zdrowotnej z zakresu cukrzycy, kierowane do populacji dzieci i młodzieży, powinny skupiać się na edukacji zdrowotnej i promowaniu zdrowego stylu życia, celem przeniesienia zdrowych nawyków do rodzin dzieci objętych programami oraz zmniejszeniem nasilenia środowiskowych czynników ryzyka w przyszłości. Badania oraz edukacja w środowiskach gminnych są wskazane i powinny być prowadzone przez wykwalifikowany personel medyczny posiadający wiedzę z danej dziedziny. Nieuzasadnione jest prowadzenie badań przesiewowych w kierunku cukrzycy w ogólnej populacji dzieci. Koszty całkowite programu to 6 000 zł, natomiast koszt jednostkowy oszacowano na 20 zł.

Uwagi Rady:

- 1. W opisie programu należy odnieść się do rodzajów cukrzycy, etiologii, patogenezy, leczenia, czy też rokowania.*



2. *W programie należy odnieść się do sytuacji epidemiologicznej w zakresie występowania cukrzycy typu 2 w populacji dzieci i młodzieży ze szczególnym uwzględnieniem danych lokalnych.*
3. *Doprecyzować z iloma szkołami nawiązana zostanie współpraca.*
4. *Uściślenie zakresu tematycznego takich prelekcji oraz niezbędnych kwalifikacji osób mających je przeprowadzać.*
5. *Doprecyzować jak planuje się „zwiększenie kompetencji nauczycieli w zakresie pełnienia przez nich roli promotorów zdrowia”. W programie brak szczegółów w tym zakresie Jednak w planowanych interwencjach nie ma odniesienia do tego działania.*
6. *Cel główny jest niemożliwy do osiągnięcia w czasie trwania programu, który zgodnie z projektem wynosić będzie niecałe 2 miesiące.*
7. *Cele szczegółowe nie zostały sformułowane zgodnie z zasadą S.M.A.R.T.*
8. *Oczekiwane efekty wymagają korekty i precyzyjnego zdefiniowania. Mierniki efektywności, powinny zawierać wskaźniki umożliwiające obiektywną i precyzyjną ocenę stopnia realizacji celów.*
9. *Doprecyzować dokładną, a nawet przybliżoną liczebności populacji, do której ma być skierowany program.*
10. *Projekt programu zakłada również przeprowadzenie „wywiadu medycznego”. Nie określono jednak, kto i w jakim zakresie miałby taki wywiad przeprowadzić.*
11. *Należy zaznaczyć, że sposób przechodzenia między poszczególnymi etapami programu przedstawiony został w sposób niejasny i wymaga doprecyzowania.*
12. *Należy zwrócić uwagę na fakt, że w projekcie programu nie odniesiono się do kwestii wyboru realizatora. Zaznaczono jedynie, że potencjalny realizator będzie musiał posiadać wykwalifikowaną kadrę medyczną i odpowiedni sprzęt.*
13. *W budżecie należy doprecyzować jaką kwotę zaplanowano na działania informacyjno-edukacyjne (w tym druk materiałów).*

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art.48a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 581 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu OT.441.199.2016 „Program profilaktyki cukrzycy, bezpłatne badania przesiewowe uczniów z grupy Ryzyka Zespołu Metabolicznego”

realizowany przez: miasto Zakopane, Warszawa październik 2016 oraz Aneksu do raportów szczegółowych:
„Programy zdrowotne z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania cukrzycy - wspólne podstawy oceny”,
kwiecień 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 317/2016 z dnia 24 października 2016 roku
o projekcie programu „Program wczesnego wykrywania
i zapobiegania powstawaniu wad postawy u dzieci w wieku szkolnym
z terenu Gminy Bieruń”

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program wczesnego wykrywania i zapobiegania powstawaniu wad postawy u dzieci w wieku szkolnym z terenu Gminy Bieruń”.

Uzasadnienie

Oceniany projekt programu odnosi się do istotnego problemu zdrowotnego jakim są wady postawy wśród dzieci w wieku szkolnym. Program nie opisuje jednak stosowanych interwencji, dlatego nie można ocenić ich zasadności. Oceniany projekt programu nie zawiera wykazu piśmiennictwa oraz stosownych referencji bibliograficznych, na podstawie których przygotowana została jego treść. Należy podkreślić, że wnioskodawca nie przedstawił mierników efektywności, co utrudnia prawidłowe wykonanie ewaluacji programu. Projekt programu uzupełnia zakres badań przesiewowych w kierunku wad postawy o świadczenia wśród uczniów klas I i II szkoły podstawowej. Należy zaznaczyć, że w treści projektu brak odniesienia do kompetencji zaangażowanego personelu oraz warunków niezbędnych do realizacji programu. Brak jednak odniesienia do szczegółów planowanych interwencji – nie określono metod badań przesiewowych. Nie uwzględniono także sposobu powiązania działań programu ze świadczeniami zdrowotnymi finansowanymi ze środków publicznych. Należy podkreślić, że wnioskodawca nie określił co dokładnie będzie składać się na badanie przesiewowe w kierunku wad postawy. W związku z tym nie można stwierdzić, czy przedstawione koszty zaplanowanych interwencji są uzasadnione, a budżet przeznaczony na ich wykonanie będzie wystarczający.

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



Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art.48a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 581 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu OT.441.201.2016 „Program wczesnego wykrywania i zapobiegania powstawaniu wad postawy u dzieci w wieku szkolnym z terenu Gminy Bieruń” realizowany przez: gminę Bieruń, Warszawa październik 2016 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki i korekcji wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny”, maj 2012 r.