



Rada Przejrzystości
działająca przy
Prezesie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Protokół nr 1/2017
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 9 stycznia 2017 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMIT)

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

1. Marzanna Bieńkowska
2. Marlena Jankowiak
3. Andrzej Kokoszka
4. Agata Maciejczyk
5. Tomasz Pasierski – prowadził posiedzenie
6. Rafał Suwiński – uczestniczył do pkt. 9.1 porządku obrad
7. Zbigniew Szawarski
8. Janusz Szyndler
9. Marek Wroński

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. 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 IMBRUVICA (ibrutynib) w ramach programu lekowego „Ibrutynib w leczeniu chorych na opornego lub nawrotowego chłoniaka z komórek płaszczka (ICD-10 C85.7, C83.1)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku SYNAGIS (paliwizumab) w ramach programu lekowego „Zapobieganie ciężkiej chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS u dzieci z istotną hemodynamicznie, wrodzoną wadą serca (ICD-10 Q20-Q24)”.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku KEYTRUDA (pembrolizumab) w ramach programu lekowego „Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca pembrolizumabem (ICD-10: C34)”.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku ELOCTA (efmorococog alfa) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66), z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu efmorococog alfa-Elocta-rFVIII Fc”.
8. Przygotowanie opinii na temat projektu programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program profilaktyki wad postawy dla dzieci z klas I szkół podstawowych w latach 2016-2017” miasta Płock.



9. Przygotowanie opinii na temat projektów programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego, współfinansowanych ze środków UE w ramach EFS:
 - 1) „Program profilaktyki nabytych wad postawy skierowanych do dzieci w wieku 5-14 lat z terenu województwa podlaskiego”,
 - 2) „Regionalny Program Polityki Zdrowotnej Województwa Podlaskiego ukierunkowany na wzmocnienie potencjału zdrowia osób pracujących w województwie podlaskim”,
 - 3) „Program profilaktyki III stopnia dla pacjentów po ostrych zespołach wieńcowych w województwie kujawsko-pomorskim”,
 - 4) „Program polityki zdrowotnej wczesnego wykrywania oraz zapobiegania rozwojowi cukrzycy i jej powikłań wśród osób w wieku aktywności zawodowej, zamieszkujących teren województwa lubuskiego”.
10. Losowanie składów Zespołów na kolejne posiedzenia Rady.
11. Zamknięcie posiedzenia.

Ad 1. Posiedzenie o godzinie 10:30 otworzył Przewodniczący Rady Tomasz Pasierski.

Ad 2. Tomasz Pasierski przedstawił propozycję porządku obrad. Pracownik Biura Obsługi Rad zgłosił poprawkę, proponując – z uwagi na czas dostępności eksperta – zamienienie miejscami punktów 6 i 5 porządku obrad. Tomasz Pasierski zgłosił poprawkę polegającą na przesunięciu punktu 9.4 porządku obrad po punkcie 7. Rada przyjęła jednogłośnie zaproponowane poprawki porządku obrad.

Ad 3. Rafał Suwiński zgłosił potencjalny (pozaustawowy) konflikt interesów związany z producentem komparatora dla leku Elocta, prosząc o wyłączenie go z głosowania nad tym tematem. Prowadzący zarządził głosowanie, podczas którego Rada jednogłośnie opowiedziała się za wyłączeniem R. Suwińskiego z głosowania nad stanowiskami dotyczącymi Elocta.

Ad 4. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: OT.4351.37.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Imbruvica (ibrutynib) w ramach programu lekowego: „Ibrutynib w leczeniu chorych na opornego lub nawrotowego chłoniaka z komórek płaszczą (ICD-10 C85.7, C83.1)”.

J. Szyndler stwierdził, że duży rozrzut wyników badania wskazuje na to, że dla tego leku nie znaleziono jeszcze populacji docelowej, która odnosi największą korzyść z terapii.

Propozycję stanowiska negatywnego przedstawił Andrzej Kokoszka, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska. Stwierdził, że ma wątpliwości, czy słabo udokumentowane opóźnienie progresji jest warte zaproponowanej ceny.

Rada wysłuchała opinii eksperta, prof. Wiesław W. Jędrzejczaka: [oceniana] terapia nie powoduje wyleczenia, daje tylko dodatkowe miesiące życia, ale gdy rozwija się oporność, progresja choroby jest bardzo szybka. Jednak jest to odmiana chłoniaka bardzo źle rokująca u 95% chorych, możliwa do wyleczenia jedynie allogenicznym przeszczepieniem szpiku, dostępnym tylko dla młodszych chorych. Udowodniono opóźnienie progresji przy stosowaniu leku, ale w przypadku rozwinięcia się oporności, pogorszenie następuje szybko.

A. Kokoszka: mamy do dyspozycji wyniki badań, które nie dotyczą dokładnie tej populacji, dla której terapia ma być refundowana; jednocześnie koszt terapii jest ogromny, zwłaszcza że nie prowadzi ona do wyleczenia. Badanie ma dużo ułomności metodologicznych. Ponadto ibrutynib porównywany był z monoterapią, podczas gdy zazwyczaj w chemioterapii stosowanych jest kilka leków.

W. Jędrzejczak: tak, ale w tym stopniu zaawansowania chłoniaka terapia wielolekowa też zazwyczaj nie jest skuteczna. Dlatego nawet takie wyniki, jakie otrzymano, jak na tę chorobę dają zauważalny zysk.

R. Suwiński: mam wątpliwości co do oszacowania zysków w zakresie przeżyć całkowitych po zastosowaniu tego leku. W badaniu rejestracyjnym nastąpił cross-over i zysk wykazano w zakresie czasu do progresji, natomiast jeśli chodzi o przeżycia całkowite, to krzywe przebiegają podobnie, trudno oszacować, na ile jest między nimi różnica. Patrzyłem też na badanie dotyczące lenalidomidu i nie widzę dużych różnic z ibrutinibem.

W. Jędrzejczak: nie znam badań lenalidomidu, ale w tym wskazaniu stosuje się też bortezomib, lek generyczny, który w Polsce nie jest refundowany.

R. Suwiński podsumował: jak widać, jest wiele leków obiecujących w tym wskazaniu: lenalidomid, bortezomib, które nie są w Polsce refundowane, nie mogły więc być komparatorami w analizach, choć w mojej ocenie są istotne. Każdy z tych leków pewnie znajdzie swoje miejsce w leczeniu tej choroby, również nawrotowej, ale dziś jeszcze nie bardzo wiadomo, gdzie.

Tomasz Pasierski wypowiedział uwagę ogólną dotyczącą leczenia onkologicznego: w tej chwili w Polsce chorzy z przewlekłą białaczką limfatyczną dostają rytuksymab, który jest terapią wysokiej klasy, są więc dobrze leczeni, nie ma tu szczególnych założeń.

Po ostatecznym sformułowaniu negatywnego stanowiska Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 9 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 6. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: OT.4351.38.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Keytruda (pembrolizumab) we wskazaniu: leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca pembrolizumabem (ICD-10: C34)”.

Propozycję stanowiska w dwóch wersjach – pozytywnej i negatywnej – przedstawił Rafał Suwiński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska. Za ruch w dobrym kierunku uznał zawężenie [wnioskowanej] populacji do grupy chorych odnoszących największą korzyść z terapii. Zwrócił uwagę Rady na tolerancję leczenia: pembrolizumab, podobnie jak niwolumab, jest lekiem stosunkowo dobrze tolerowanym w porównaniu ze standardową chemioterapią. Obecnie pembrolizumab został zarejestrowany w I linii leczenia niedrobnokomórkowego raka płuca i wykazano zysk w przeżyciach. We wniosku mówimy o leczeniu II linii w bardzo ograniczonej populacji. Natomiast instrument dzielenia ryzyka powinien być zaproponowany bardziej korzystny, gdyż populacja może być mimo wszystko znaczna, na co zwraca uwagę w projekcie stanowiska.

Ekspert prof. Maciej Krzakowski przytoczył najważniejsze argumenty na korzyść wniosku: ponad czteromiesięczna poprawa w medianie przeżycia całkowitego po zastosowaniu leku połączona z dużo lepszą jakością życia w porównaniu z chemoterapią oraz kryterium 50% komórek z ekspresją PD-L1 jako znaczne doprecyzowanie populacji.

T. Pasierski stwierdził, że [przy takich założeniach] jest to terapia zbliżona do celowanej.

Po ostatecznym sformułowaniu pozytywnego stanowiska Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 5 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 3 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 5. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: OT.4351.36.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu

leku Synagis (paliwizumab) we wskazaniu: zapobieganie ciężkiej chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS u dzieci z istotną hemodynamicznie wrodzoną wadą serca (ICD-10 Q20-Q24)".

Propozycje stanowisk przedstawił Marek Wroński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektów stanowisk, zgłaszając uwagi do programu lekowego i do instrumentu dzielenia ryzyka.

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

- 1) Synagis (palivizumabum), roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml, 0,5 ml, kod EAN: 8054083006093 – w wyniku głosowania, 9 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi Rady,
- 2) Synagis (palivizumabum), roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml, 1 ml, kod EAN: 8054083006109 – w wyniku głosowania, 9 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi Rady.

Ad 7. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: OT.4351.39.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Elocta (efmoroctocog alfa) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmoroctocog alfa – Elocta – rFVIII(Fc))”.

Tomasz Pasierski podkreślił, że obecnie prowadzi się badania nad wieloma preparatami czynników krzepnięcia przeznaczonymi do podawania rzadziej [niż dotychczas stosowane] – efmoroctocog alfa jest pierwszym ocenianym przez Radę preparatem tego rodzaju (dawkowanym co 3-5 dni zamiast co 2-3 dni).

Ekspert prof. Anna Klukowska: w przypadku tego leku czas między podaniami jest dłuższy średnio o 50% [w porównaniu z lekami tradycyjnymi]; w przypadku dzieci okres półtrwania jest trochę krótszy [niż u dorosłych] – zależnie od wieku dziecka ze względu na większy klirens leków. Np. dla dzieci starszych czas półtrwania dla cz. VIII tradycyjnego wynosił 11-12 godz., to okres półtrwania dla cz. VIII o przedłużonym działaniu był 17-19 godz., dla dzieci małych to odpowiednio ok. 8-9 godz., oraz 12-14 godz. W badaniach klinicznych wykazano skuteczność preparatu przy podawaniu 2 x w tygodniu, gdy leki tradycyjne podawane są 3 x w tyg. Pytana o ew. nowe formy preparatów o jeszcze dłuższym okresie półtrwania podlegające obecnie badaniom, odpowiedziała, że bada się kilka nowych różnych preparatów, ale na rynku nie ma jeszcze preparatów o dłuższym okresie półtrwania dla czynnika VIII. Byłaby zainteresowana dostępem do tego leku dla swoich pacjentów, na podstawie literatury, która świadczy o możliwości zmniejszenia liczby podań, która obecnie wynosi średnio 3 x w tyg. dla cz. VIII tradycyjnego, ale u niektórych dzieci trzeba podawać nawet co drugi dzień.

Propozycję stanowiska przedstawił Tomasz Pasierski, członek Rady wyznaczony do przygotowania projektu stanowiska. Stwierdził, że dowody na poprawę jakości życia przy stosowaniu Elocty są mało przekonujące.

Rada postanowiła jednogłośnie, że przyjmie sześć stanowisk dla Elocta jedną uchwałą. Po ostatecznym sformułowaniu treści stanowisk, prowadzący zarządził głosowanie. W głosowaniu Rada przyjęła uchwałę, która stanowi załącznik do protokołu, ws. przyjęcia następujących stanowisk:

- 1) Elocta (efmoroctocog alfa), 250 IU proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod EAN 5909991246457 – w wyniku głosowania, 9 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi Rady,
- 2) Elocta (efmoroctocog alfa), 500 IU proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod EAN 5909991246464 – w wyniku głosowania, 9 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi Rady

- 3) Elocta (efmorococog alfa), 1000 IU proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod EAN 5909991246488 – w wyniku głosowania, 9 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi Rady,
- 4) Elocta (efmorococog alfa), 1500 IU proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod EAN 5909991246495 – w wyniku głosowania, 9 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi Rady,
- 5) Elocta (efmorococog alfa), 2000 IU proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod EAN 5909991246501 – w wyniku głosowania, 9 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi Rady.
- 6) Elocta (efmorococog alfa), 3000 IU proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod EAN 5909991246518 – w wyniku głosowania, 9 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi Rady.

Ad 9. 4) Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.244.2016 „Program polityki zdrowotnej wczesnego wykrywania oraz zapobiegania rozwojowi cukrzycy i jej powikłaniom wśród osób w wieku aktywności zawodowej zamieszkujących teren województwa lubuskiego”.

Rada przedyskutowała zasadność uwzględniania w programie kobiet ciężarnych, a także osób z chorobami psychicznymi.

Następnie propozycję opinii przedstawiła Marlena Jankowiak, członkini Rady wyznaczona przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponowała opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 9 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 8. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.247.2016 „Program profilaktyki wad postawy dla dzieci z klas I szkół podstawowych w latach 2016-2017” (m. Płock).

Następnie propozycję opinii przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członkini Rady wyznaczona przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponowała opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 9 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 9. 1) Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.250.2016 „Program profilaktyki nabytych wad postawy skierowany do dzieci w wieku 5-14 lat z terenu województwa podlaskiego”.

Następnie propozycję opinii przedstawiła Marlena Jankowiak, członkini Rady wyznaczona przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponowała opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 9 głosami za projektem opinii, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

2) Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.241.2016 „Regionalny Program Polityki Zdrowotnej Województwa Podlaskiego ukierunkowany na wzmocnienie potencjału zdrowia osób pracujących w województwie podlaskim”.

Następnie swoją propozycję opinii przedstawiła Agata Maciejczyk, członkini Rady wyznaczona przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponowała opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady. Zwróciła uwagę, że program skierowany jest do pracowników dużych zakładów pracy, podczas gdy tego typu programy wojewódzkie powinny raczej wyrównywać nierówności pomiędzy mieszkańcami obszaru np. pracującymi w różnej wielkości przedsiębiorstwach, a także mieszkańcami obszarów wiejskich. Analitik wyjaśnił, że na podstawie umowy z Unią Europejską programy polityki zdrowotnej dofinansowywane z funduszy unijnych muszą dotyczyć głównie osób pracujących.

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

3) Analitik AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.243.2016 „Program profilaktyki III stopnia dla pacjentów po ostrych zespółach wieńcowych w województwie kujawsko-pomorskim”.

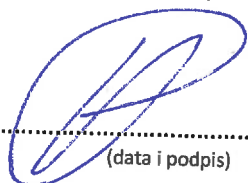
Następnie swoją propozycję opinii przedstawił Janusz Szyndler, który zaproponował opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

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 10. Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenia Rady w dniu 30 stycznia 2017 r. i 6 lutego 2017 r.

Ad 11. Prowadzący posiedzenie Tomasz Pasierski zakończył posiedzenie Rady o godzinie 15:13.

Protokół sporządził Tomasz Pasierski
Przewodniczący Rady Przejrzystości


.....
(data i podpis)

6-3/17



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 1/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku
w sprawie oceny leku Imbruvica (ibrutynib),
kod EAN: 5909991195144, we wskazaniu: w ramach programu
lekowego „ibrutynib w leczeniu chorych na opornego lub
nawrotowego chłoniaka z komórek płaszczka (ICD-10: C85.7, C83.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Imbruvica (ibrutynib), kaps. twarde, 140 mg, 120 szt., kod EAN: 5909991195144, w ramach programu lekowego „ibrutynib w leczeniu chorych na opornego lub nawrotowego chłoniaka z komórek płaszczka (ICD-10: C85.7, C83.1)”.

Uzasadnienie

Nie zaobserwowano istotnych statystycznie różnic w przeżyciu całkowitym pomiędzy pacjentami leczonymi ibrutynibem (IBR), a temsyrolimusem (TEM) lub IBR, a wyborem lekarza (WB), w porównaniu pośrednim (IBR vs. TEM w badaniu Dreyling 2016 HR=0,76 [95% CI: 0,53; 1,09]; p=0,1324; IBR vs. WB HR=0,59 [95% CI: 0,31; 1,1] dla max. czasu obserwacji wynoszącego 24 miesiące i HR=0,61 [95% CI: 0,34; 1,1] dla max. czasu obserwacji wynoszącego 31 miesięcy). W badaniu Dreyling 2016 mediana przeżycia całkowitego nie została osiągnięta w grupie IBR, a w grupie TEM wynosiła 21,3 miesiąca (przedziału ufności nie podano). Przeżycie całkowite było drugorzędowym punktem końcowym wszystkich przytoczonych badań.

W badaniu II fazy Wang 2015 mediana czasu przeżycia pacjentów leczonych IBR wynosiła 22,5 miesiąca (95% CI: 13,7; nie osiągnięto).

W przypadku nawrotowego lub opornego na leczenie MCL (ang. Mantle Cell Lymphoma, chłoniak z komórek płaszczka) leczenie ma charakter paliatywny i głównym jego celem jest zapewnienie pacjentowi możliwie najlepszej jakości życia, zatem analiza zmian w jakości życia pacjentów jest istotnym czynnikiem mogącym mieć wpływ na ostateczną ocenę wnioskowanej technologii medycznej. Jedynie badanie Dreyling 2016 zawierało wyniki pomiaru parametrów mogących pośrednio wskazywać na jakość życia: badano istotną klinicznie poprawę i pogorszenie w zakresie symptomów choroby, mierzone na podstawie kwestionariusza FACT-Lym: Functional Assessment of Cancer



Therapy – Lymphoma. Pojęcie istotności klinicznej zdefiniowano jako co najmniej 5-punktową różnicę w oszacowaniu nasilenia symptomów choroby w porównaniu do oszacowania na początku badania. Wyniki wskazywały, iż stosowanie IBR wiązało się z szybszym uzyskaniem istotnej klinicznie poprawy w zakresie symptomów choroby oraz wolniejszym pogorszeniem jej objawów w porównaniu do TEM. Wyniki te były istotne statystycznie: mediana czasu do uzyskania istotnej klinicznie poprawy w zakresie symptomów choroby odpowiednio dla grup IBR i TEM wyniosła 6,3 (IQR nie do oszacowania) i 57,3 tygodnia (IQR=101,4), HR=2,19 (95% CI: 1,52; 3,14; $p<0,0001$); mediany czasu do pogorszenia objawów choroby nie osiągnięto w grupie IBR vs. 9,7 tygodnia w grupie TEM [(HR=0,27 [95% CI: 0,18; 0,41; $p<0,0001$)]. W porównaniu z pacjentami leczonymi TEM, wyższy odsetek pacjentów z grupy IBR doświadczył poprawy (62% vs 35%) i mniejszy odsetek pogorszenia objawów choroby w czasie badania (27% vs 52%).

Przeżycie do progresji choroby oceniane zarówno przez niezależną komisję, jak i badacza było pierwszorzędnym punktem końcowym badania Dreyling 2016. Wykazano istotną statystycznie różnicę w przeżyciu do progresji choroby pomiędzy grupami IBR a TEM - ryzyko progresji zostało obniżone o 57% w grupie IBR w stosunku do grupy TEM (HR=0,43 [95% CI: 0,32; 0,58]; $p<0,0001$), a mediany czasu do progresji choroby wyniosły w obu grupach odpowiednio 14,6 miesiąca (95% CI: 10,4; nie oszacowano) i 6,2 miesiąca (95% CI: 4,2; 7,9) w przypadku oceny progresji przez niezależną komisję i 15,6 miesiąca (95% CI: 10,6; nie oszacowano) i 6,2 miesiąca (95% CI: 4,2; 7,8) w przypadku oceny progresji przez badacza. Podobnie, w porównaniu pośrednim w zakresie przeżycia do progresji choroby uzyskano istotną statystycznie różnicę pomiędzy grupami leczonymi IBR i WB na korzyść IBR, zarówno w przypadku progresji ocenianej przez niezależną komisję, jak i badacza: HR=0,19 (95% CI: 0,10; 0,36) i HR: 0,17 (95% CI: 0,10; 0,29).

Ogółem, zdarzenia niepożądane wystąpiły u 99% pacjentów w obu ramionach badania Dreyling 2016. Odsetek zgonów w trakcie leczenia, do 30 dni od przyjęcia ostatniej dawki był wyższy w grupie osób leczonych IBR (17%) niż TEM (11%), natomiast zgony związane ze zdarzeniami niepożądanymi w pierwszych 6 miesiącach leczenia zdarzały się częściej w grupie TEM (8%), niż IBR (6%). Podobnie, zdarzenia niepożądane co najmniej trzeciego stopnia występowały częściej u pacjentów leczonych TEM (87%) niż IBR (68%). Najczęstszą przyczyną śmierci w grupie IBR była progresja, a TEM zdarzenia niepożądane.

Lek znajduje się pod dodatkowym nadzorem organu rejestrującego – opatrzony jest symbolem czarnego trójkąta.

W obu badaniach randomizowanych włączonych do przeglądu systematycznego nie zastosowano metody ślepej próby, przez co obniżeniu uległy punktacje

w skali Jadad. Podstawowym ograniczeniem analizy jest brak badań umożliwiających bezpośrednio porównanie ibrutynibu z „wyborem lekarza”. Jedyne badanie randomizowane ibrutynibu zawiera porównanie z temsyrolimusem, który nie został wybrany komparatorem z uwagi na brak jego refundacji w Polsce. Pomimo braku badań porównujących bezpośrednio ibrutynib i „wybór lekarza”, zdecydowano się przeprowadzić porównanie pośrednie:

- populacja badana jest szersza od wnioskowanej do objęcia refundacją co rzutuje na wiarygodność zewnętrzną, tj. możliwość uogólnienia wyników do rzeczywistej populacji w której lek będzie stosowany. Wyszukane przez wnioskodawcę badania pierwotne nie donoszą o wcześniejszym stosowaniu u włączonych do nich pacjentów bendamustyny, czego wymaga wnioskowany program lekowy (lub przeciwwskazań do przyjmowania tego leku). Charakterystyki badań włączonych do analizy nie wskazują, aby chociaż u jakiegoś odsetka badanych stosowano bendamustynę przed rozpoczęciem podawania technologii wnioskowanej lub jej komparatorów, a tym samym nie dostarczono dowodów na efektywność leku wnioskowanego w ocenianej populacji pacjentów;
- brak jest badania RCT bezpośrednio porównującego lek wnioskowany do objęcia refundacją z właściwym komparatorem, tj. technologią stanowiącą aktualną praktykę kliniczną w Polsce;
- przeprowadzone porównanie pośrednie zestawia ibrutynib z „wyborem lekarza” jako komparatorem, tym niemniej monoterapie, które składają się na „wybór lekarza” w badaniu Hess 2009 nie odzwierciedlają praktyki klinicznej w Polsce (w tym określonej przez samego wnioskodawcę). Wytyczne na temat leczenia chłoniaka z komórek płaszczą oraz eksperci kliniczni, do których zgłosił się wnioskodawca z prośbą o opinię, jednoznacznie wskazują, że technologiami opcjonalnymi dla technologii wnioskowanej w tej jednostce chorobowej są zazwyczaj różne schematy polichemioterapii. Analiza kliniczna wnioskodawcy dostarcza natomiast wyników porównania ibrutynibu do (tylko) monoterapii poszczególnymi lekami chemioterapeutycznymi (w populacji szerszej niż wnioskowana). Jednocześnie nieoparte wiarygodnymi dowodami jest twierdzenie wnioskodawcy jakoby „uwzględnienie w ramach komparatora monoterapii, mimo iż wytyczne oraz odnalezione badania wskazują na zastosowanie w nawrotach MCL terapii złożonych, nie powinno wiązać się z różnicami w aktywności biologicznej substancji leczniczych, a co za tym idzie nie powinno wpływać na wyniki kliniczne owych substancji (zarówno podejście oparte na monoterapiach jak i na schematach złożonych jest w nawrotowym bądź opornym na leczenie MCL równie mało skuteczne).”;

- *porównanie pośrednie przeprowadzono mimo różnic w liczebności oraz charakterystyce populacji uczestniczącej w badaniach Dreyling 2016 oraz Hess 2009 oraz różnic w kryteriach oceny analizowanych punktów końcowych. Przede wszystkim w badaniu Hess 2009 uczestniczyli pacjenci bardziej przeleczeni niż w badaniu Dreyling 2016. Ze względu na wiedzę o przebiegu MCL wiadomo, że z upływem czasu i przy stosowaniu kolejnych linii leczenia uzyskiwane są u chorych coraz gorsze wyniki. Może to wpływać na zaniżenie wyników komparatora. Na możliwość takiego wpływu wskazuje również fakt, że wykazana skuteczność temsyrolimusu była niższa w badaniu Hess 2009 niż Dreyling 2016;*
 - *badania Dreyling 2016 oraz Hess 2009 są badaniami niezaślepienymi, co stwarza ryzyko performance i measurement bias (błąd systematyczny związany z odmiennym traktowaniem pacjentów i pomiarem wyników w związku ze znajomością interwencji). Measurement bias ograniczono ponieważ dostępna jest również ocena niezależnej komisji;*
 - *wynik odnośnie przeżycia całkowitego (które nie było pierwszorzędnym punktem końcowym) może być zaburzony przez cross-over pacjentów dopuszczony po zmianie protokołu badania Dreyling 2016. Dodatkowo, na przeżycie po progresji choroby na IBR lub TEM mogło wpływać przyjmowanie kolejnych linii leczenia. Kolejną linię terapii przeciwnowotworowej otrzymało 31,7% pacjentów z grupy IBR (60% tych pacjentów, którzy mieli progresję bądź zmarli) oraz 58,2% pacjentów z grupy TEM (74% tych pacjentów, którzy doświadczyli progresji bądź zmarli);*
 - *krótki jest czas obserwacji analizowanych badań (maksymalnie 31 miesięcy).*
- W większości rekomendacji refundacyjnych wydanych przez agencje HTA innych krajów pojawia się odniesienie do niskiej efektywności kosztowej leku w porównaniu do efektów zdrowotnych. Lek nie jest efektywny kosztowo wg przyjętych w Polsce warunków jego oceny. Zaproponowany RSS nie zapewnia efektywności kosztowej.*

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

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.37.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Imbruvica (ibrutinib) w ramach programu lekowego: „Ibrutinib w leczeniu chorych na opornego lub nawrotowego chłoniaka z komórek płaszczą (ICD-10 C85.7, C83.1)”, data ukończenia: 29 grudnia 2016 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 2/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku
w sprawie oceny leku Keytruda (pembrolizumab),
kod EAN: 5901549325003, we wskazaniu: w ramach programu
lekowego „Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca
pembrolizumabem (ICD-10: C34)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Keytruda (pembrolizumab), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 50 mg, 1 fiolka, kod EAN: 5901549325003, w ramach programu lekowego „Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca pembrolizumabem (ICD-10: C34)”, w ramach istniejącej grupy limitowej, jako leku wydawanego pacjentom bezpłatnie, pod warunkiem zapewnienia efektywności kosztowej.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Jednocześnie, Rada nie akceptuje zaproponowanego instrumentu dzielenia ryzyka proponując własny.

Uzasadnienie

Pembrolizumab jest humanizowanym przeciwciałem monoklonalnym, które wiąże się z receptorem programowanej śmierci komórki 1 (PD-1) i blokuje jego interakcję z ligandami PD-L1 i PD-L2. Poprzez zahamowanie wiązania PD-1 z PD-L1 i PD-L2 wspomaga odpowiedź limfocytów T, w tym odpowiedź przeciwnowotworową.

Skuteczność i bezpieczeństwo stosowania pembrolizumabu w leczeniu chorych na miejscowo zaawansowanego lub rozsiajanego niedrobnokomórkowego raka płuca u osób dorosłych z ekspresją PDL1 w tkance nowotworowej, u których zastosowano wcześniej przynajmniej jeden schemat chemioterapii, była przedmiotem wielośrodkowego, randomizowanego badania Keynote 010. W badaniu tym pembrolizumab porównano z chemioterapią docetaxelem. W populacji wnioskowanej tj. u chorych stosujących pembrolizumab w dawce 2 mg/kg m.c. charakteryzujących się obecnością $\geq 50\%$ komórek z ekspresją PD-L1 (PD-L1 TPS $\geq 50\%$) immunoterapia przyczyniła się do istotnej statystycznie redukcji ryzyka zgonu o 46% w porównaniu bezpośrednim z docetaxelem, mediana przeżycia 14,9 mies. vs 8,2 mies. Interpretując te wyniki, należy mieć jednak na uwadze, że przedziały ufności dla median w obu przypadkach dla



porównania bezpośredniego przeżyć całkowitych i przeżyć bez progresji zachodzą w tym badaniu na siebie. Pomimo selekcji w oparciu o ekspresję PD-L1, część chorych nie odnosi zysku w zakresie przeżyć ze stosowania pembrolizumabu. Populacja odpowiadająca kryterium włączenia do badania liczyła zaledwie 139 chorych. Stanowi to istotne ograniczenie mające wpływ na wiarygodność wyników badania.

Tolerancja leczenia była zadowalająca, zdarzenia niepożądane uznane za związane z leczeniem w grupie otrzymującej pembrolizumab 2 mg/kg m.c. występowały istotnie statystycznie rzadziej niż w grupie leczonych docetaxelem (63% vs 81%). Stosowanie pembrolizumabu w porównaniu do docetaxelu spowodowało też mniejszy negatywny wpływ na funkcjonowanie pacjenta w zakresie ogólnej oceny stanu zdrowia, funkcjonowania fizycznego, w rolach życiowych oraz społecznego. Należy jednak zauważyć, że w przypadku zdarzeń niepożądanych specjalnego zainteresowania w grupie leczonych pembrolizumabem znamienne częściej wystąpiły niedoczynność i nadczynność tarczycy.

Analiza ekonomiczna wykazała, że pomimo uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka współczynnik ICUR dla porównania z pembrolizumabu z docetaxelem, jak i pemetrexedem, znacząco przekracza próg przyjęty dla technologii efektywnych kosztowo w Polsce. Ponadto, wątpliwości budzi przyjęte przez wnioskodawcę założenie dotyczące dożywotniego horyzontu czasowego wynoszącego 20 lat. Zdaniem Rady, mając na uwadze znaczący wzrost populacji leczonych chorych w porównaniu z populacją leczonych obecnie pembrolizumabem chorych na czerniaka złośliwego, oraz to, że znacząca część chorych nie odnosi zysku w zakresie przeżyć całkowitych ze stosowania pembrolizumabu w porównaniu z chemioterapią, producent powinien zaproponować instrument dzielenia ryzyka pozwalający zapewnić efektywność kosztową stosowania leku w Polsce, poprzez propozycję umowy opartej na efektach zdrowotnych i capping, na poziomie zaproponowanym przez wnioskodawcę w analizie wpływu na budżet, tak, aby zapewnić efektywność kosztową tej terapii.

Najnowsze rekomendacje kliniczne uwzględniają możliwość zastosowania pembrolizumabu w omawianym wskazaniu. Rekomendacje refundacyjne są natomiast podzielone: odnaleziono jedną rekomendację pozytywną, jedną pozytywną warunkową i jedną rekomendację negatywną.

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

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.38.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Keytruda (pembrolizumab) we wskazaniu: leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca pembrolizumabem (ICD-10: C34)”, data ukończenia: 30 grudnia 2016 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 3/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku
w sprawie oceny leku Synagis (palivizumabum),
kod EAN: 8054083006093, we wskazaniu: zapobieganie ciężkiej
chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS u dzieci
z istotną hemodynamicznie, wrodzoną wadą serca

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Synagis (palivizumabum), roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml, 0,5 ml, kod EAN: 8054083006093, w ramach programu lekowego, we wskazaniu: zapobieganie ciężkiej chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS u dzieci z istotną hemodynamicznie, wrodzoną wadą serca (ICD-10 Q20-Q24), w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go pacjentom bezpłatnie, pod warunkiem zapewnienia efektywności kosztowej.

Rada Przejrzystości uważa, że projekt programu powinien zostać uzupełniony o informacje: o minimalnej efektywnej liczbie dawek, zasadności kontynuacji podaży paliwizumabu w kolejnym sezonie u tego samego dziecka, czy liczby dawek, które należy podać po operacji serca. Jednocześnie Rada uznaje proponowany instrument dzielenia ryzyka za niewystarczający i proponuje własne rozwiązanie.

Uzasadnienie

Paliwizumab jest humanizowanym, monoklonalnym przeciwciałem klasy IgG1κ, (zbudowanym z sekwencji ludzkich i mysich przeciwciał), które poprzez związanie się z antygenowym miejscem A białka fuzyjnego syncytialnego wirusa oddechowego (RSV) powoduje blokadę połączenia się wirusa z komórką organizmu, zapobiegając zakażeniu.

Śmiertelność niemowląt z powodu zakażenia RSV wynosi 2-3%, ale u dzieci z grup ryzyka może być większa. W przypadku niemowląt z hemodynamicznie istotnymi wadami serca, w zależności od źródła, śmiertelność szacowana jest na 5,2%.

Ze względu na brak skutecznych metod leczenia zakażeń RSV jedynym sposobem uzyskania kontroli nad infekcją RSV (w tym zapobieganie powikłaniom) jest profilaktyka. Tutaj jedynym dostępnym preparatem stosowanym w profilaktyce zakażeń RSV jest paliwizumab.



Lek jest stosowany od kilkunastu lat. Dostępne dowody naukowe wskazują na skuteczność, jak również na względne bezpieczeństwo stosowania paliwizumabu w zapobieganiu ciężkiej chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS. Sezonowe (od października do kwietnia) podawanie leku w comiesięcznych odstępach (do 5x) przyczynia się do istotnej redukcji zarówno zakażeń, jak i ciężkich powikłań, zmniejszając wybitnie okresy hospitalizacji.

W ostatnich kilku latach, szczególnie w USA, gdzie opierając się na szerokich danych epidemiologicznych z kilku stanów, mocno ograniczono wskazania do podawania leku zdrowym wcześniakom, praktycznie ograniczając profilaktykę do bardzo chorych niemowląt.

Zgodnie z tym trendem, Synagis jest obecnie refundowany w ramach programu lekowego „Profilaktyka zakażeń wirusem RS przy wykorzystaniu produktu leczniczego paliwizumab (Synagis)”, realizowanego jako świadczenie gwarantowane dla populacji niemowląt z przewlekłą chorobą płuc, które nie ukończyły 3 miesiąca życia w chwili rozpoczęcia sezonu infekcyjnego RSV i ich wiek ciążowy był poniżej 30 tygodnia oraz dla populacji niemowląt z przewlekłą chorobą płuc, które nie ukończyły 6 miesiąca życia w chwili rozpoczęcia sezonu infekcyjnego RSV i ich wiek ciążowy był poniżej 28 tygodnia.

Obecne zlecenie dotyczy programu lekowego „Zapobieganie ciężkiej chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS u dzieci z istotną hemodynamicznie wrodzoną wadą serca (ICD-10 Q20-Q24)”, w ramach którego lek otrzymują dzieci poniżej jednego roku życia z jawną niewydolnością serca, utrzymującą się pomimo leczenia farmakologicznego, z umiarkowanym i ciężkim pierwotnym nadciśnieniem płucnym oraz z sinicznymi wadami serca, z przezskórnym utlenowaniem krwi tętniczej <80%. Włączenie chorego dziecka do programu wymaga opinii konsultanta wojewódzkiego w dziedzinie kardiologii dziecięcej w porozumieniu z konsultantem krajowym w dziedzinie kardiologii dziecięcej na podstawie dokumentacji z ośrodka prowadzącego leczenie.

Rada Przejrzystości zwraca jednak uwagę na brak zapisów w powyższym programie lekowym dotyczących: minimalnej efektywnej liczby dawek, zasadności kontynuacji podaży paliwizumabu w kolejnym sezonie u tego samego dziecka, czy liczby dawek, które należy podać po operacji serca.

Została zmieniona formuła leku, który obecnie jest w ampułkach już rozpuszczony, co jest zaletą. Poprzedni wymagał przed podaniem dodania załączonego rozpuszczalnika.

W opinii eksperta-kardiologa dziecięcego liczba dzieci odpowiadająca tym powyższym kryteriom, które będą wymagać podawania leku paliwizumab, wynosi ok. 150 rocznie.

Wszyscy eksperci zalecają stosowanie profilaktyki przeciwciałami monoklonalnymi anty RSV u dzieci z istotną hemodynamicznie wrodzoną wadą serca.

Infekcja RSV bardzo często związana jest z koniecznością hospitalizacji na oddziale intensywnej terapii, co może opóźnić ratującą życie operację kardiologiczną oraz przyczynić się do pogorszenia stanu zdrowia dziecka. Zwrócono uwagę, że w okresie rekonwalescencji pooperacyjnej, w okresie obniżonej odporności organizmu, zakażenie może być bardzo niebezpieczne dla zdrowia i życia dziecka z wrodzoną wadą serca. W większości krajów Europy profilaktyka przeciwko RSV jest prowadzona u wszystkich dzieci z wrodzoną hemodynamicznie istotną wadą serca.

Rada Przejrzystości zwraca uwagę na zbyt wysoki koszt terapii paliwizumabem w stosunku do obserwowanych efektów klinicznych oraz na fakt, że wyniki badań nad efektami stosowania paliwizumabu mogą być przestarzałe i przez to mniej wiarygodne, biorąc pod uwagę postępy w opiece nad noworodkami. Jest prawdopodobne, że w następnych kilku latach wskazania do podawania leku zostaną jeszcze bardziej ograniczone.

Paliwizumab jest refundowany w 10 krajach Unii Europejskiej – w tym w 3 krajach o podobnym do Polski PKB per capita.

Rada uważa zaproponowany RSS za niewystarczający i proponuje obniżenie koszty leku i capping.

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 z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.36.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Synagis (paliwizumab) we wskazaniu: zapobieganie ciężkiej chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS u dzieci z istotną hemodynamicznie wrodzoną wadą serca (ICD-10 Q20-Q24)”, data ukończenia: 30 grudnia 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 4/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku
w sprawie oceny leku Synagis (palivizumabum),
kod EAN: 8054083006109, we wskazaniu: zapobieganie ciężkiej
chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS u dzieci
z istotną hemodynamicznie, wrodzoną wadą serca

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Synagis (palivizumabum), roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml, 1 ml, kod EAN: 8054083006109, w ramach programu lekowego, we wskazaniu: zapobieganie ciężkiej chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS u dzieci z istotną hemodynamicznie, wrodzoną wadą serca w ramach istniejącej grupy limitowej, jako leku wydawanego pacjentom bezpłatnie, pod warunkiem zapewnienia efektywności kosztowej.

Rada Przejrzystości uważa, że projekt programu powinien zostać uzupełniony o informacje: o minimalnej efektywnej liczbie dawek, zasadności kontynuacji podaży paliwizumabu w kolejnym sezonie u tego samego dziecka, czy liczby dawek, które należy podać po operacji serca. Jednocześnie Rada uznaje proponowany instrument dzielenia ryzyka za niewystarczający i proponuje własne rozwiązanie.

Uzasadnienie

Paliwizumab jest humanizowanym, monoklonalnym przeciwciałem klasy IgG1κ, (zbudowanym z sekwencji ludzkich i mysich przeciwciał), które poprzez związanie się z antygenowym miejscem A białka fuzyjnego syncytialnego wirusa oddechowego (RSV) powoduje blokadę połączenia się wirusa z komórką organizmu, zapobiegając zakażeniu.

Śmiertelność niemowląt z powodu zakażenia RSV wynosi 2-3%, ale u dzieci z grup ryzyka może być większa. W przypadku niemowląt z hemodynamicznie istotnymi wadami serca, w zależności od źródła, śmiertelność szacowana jest na 5,2%.

Ze względu na brak skutecznych metod leczenia zakażeń RSV jedynym sposobem uzyskania kontroli nad infekcją RSV (w tym zapobieganie powikłaniom) jest profilaktyka. Tutaj jedynym dostępnym preparatem stosowanym w profilaktyce zakażeń RSV jest paliwizumab.



Lek jest stosowany od kilkunastu lat. Dostępne dowody naukowe wskazują na skuteczność, jak również na względne bezpieczeństwo stosowania paliwizumabu w zapobieganiu ciężkiej chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS. Sezonowe (od października do kwietnia) podawanie leku w comiesięcznych odstępach (do 5x) przyczynia się do istotnej redukcji zarówno zakażeń, jak i ciężkich powikłań, zmniejszając wybitnie okresy hospitalizacji.

W ostatnich kilku latach, szczególnie w USA, gdzie opierając się na szerokich danych epidemiologicznych z kilku stanów, mocno ograniczono wskazania do podawania leku zdrowym wcześniakom, praktycznie ograniczając profilaktykę do bardzo chorych niemowląt.

Zgodnie z tym trendem, Synagis jest obecnie refundowany w ramach programu lekowego „Profilaktyka zakażeń wirusem RS przy wykorzystaniu produktu leczniczego paliwizumab (Synagis)”, realizowanego jako świadczenie gwarantowane dla populacji niemowląt z przewlekłą chorobą płuc, które nie ukończyły 3 miesiąca życia w chwili rozpoczęcia sezonu infekcyjnego RSV i ich wiek ciążowy był poniżej 30 tygodnia oraz dla populacji niemowląt z przewlekłą chorobą płuc, które nie ukończyły 6 miesiąca życia w chwili rozpoczęcia sezonu infekcyjnego RSV i ich wiek ciążowy był poniżej 28 tygodnia.

Obecne zlecenie dotyczy programu lekowego „Zapobieganie ciężkiej chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS u dzieci z istotną hemodynamicznie wrodzoną wadą serca (ICD-10 Q20-Q24)”, w ramach którego lek otrzymują dzieci poniżej jednego roku życia z jawną niewydolnością serca, utrzymującą się pomimo leczenia farmakologicznego, z umiarkowanym i ciężkim pierwotnym nadciśnieniem płucnym oraz z sinicznymi wadami serca, z przezskórnym utlenowaniem krwi tętniczej <80%. Włączenie chorego dziecka do programu wymaga opinii konsultanta wojewódzkiego w dziedzinie kardiologii dziecięcej w porozumieniu z konsultantem krajowym w dziedzinie kardiologii dziecięcej na podstawie dokumentacji z ośrodka prowadzącego leczenie.

Rada Przejrzystości zwraca jednak uwagę na brak zapisów w powyższym programie lekowym dotyczących: minimalnej efektywnej liczby dawek, zasadności kontynuacji podaży paliwizumabu w kolejnym sezonie u tego samego dziecka, czy liczby dawek, które należy podać po operacji serca.

Została zmieniona formuła leku, który obecnie jest w ampułkach już rozpuszczony, co jest zaletą. Poprzedni wymagał przed podaniem dodania załączonego rozpuszczalnika.

W opinii eksperta-kardiologa dziecięcego liczba dzieci odpowiadająca tym powyższym kryteriom, które będą wymagać podawania leku paliwizumab, wynosi ok. 150 rocznie.

Wszyscy eksperci zalecają stosowanie profilaktyki przeciwciałami monoklonalnymi anty RSV u dzieci z istotną hemodynamicznie wrodzoną wadą serca.

Infekcja RSV bardzo często związana jest z koniecznością hospitalizacji na oddziale intensywnej terapii, co może opóźnić ratującą życie operację kardiologiczną oraz przyczynić się do pogorszenia stanu zdrowia dziecka. Zwrócono uwagę, że w okresie rekonwalescencji pooperacyjnej, w okresie obniżonej odporności organizmu, zakażenie może być bardzo niebezpieczne dla zdrowia i życia dziecka z wrodzoną wadą serca. W większości krajów Europy profilaktyka przeciwko RSV jest prowadzona u wszystkich dzieci z wrodzoną hemodynamicznie istotną wadą serca.

Rada Przejrzystości zwraca uwagę na zbyt wysoki koszt terapii paliwizumabem w stosunku do obserwowanych efektów klinicznych oraz na fakt, że wyniki badań nad efektami stosowania paliwizumabu mogą być przestarzałe i przez to mniej wiarygodne, biorąc pod uwagę postępy w opiece nad noworodkami. Jest prawdopodobne, że w następnych kilku latach wskazania do podawania leku zostaną jeszcze bardziej ograniczone.

Paliwizumab jest refundowany w 10 krajach Unii Europejskiej – w tym w 3 krajach o podobnym do Polski PKB per capita.

Rada uważa zaproponowany RSS za niewystarczający i proponuje obniżenie koszty leku i capping.

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 z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.36.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Synagis (paliwizumab) we wskazaniu: zapobieganie ciężkiej chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej wirusem RS u dzieci z istotną hemodynamicznie wrodzoną wadą serca (ICD-10 Q20-Q24)”, data ukończenia: 30 grudnia 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 5/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku
w sprawie oceny leku Elocta (efmoroctocog alfa),
kod EAN: 5909991246457, we wskazaniu: w ramach programu
lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A
(ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika
krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmoroctocog alfa – Elocta
– rFVIII Fc)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Elocta (efmoroctocog alfa), 250 IU proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod EAN 5909991246457, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmoroctocog alfa – Elocta – rFVIII Fc)”.

Uzasadnienie

Hemofilia A jest wrodzoną skazą krwotoczną, spowodowaną zmniejszeniem aktywności czynnika krzepnięcia VIII (cz. VIII) w osoczu, w wyniku czego dochodzi do obfitych krwawień do stawów, mięśni lub narządów wewnętrznych, występujących samoistnie lub w skutek wypadkowych bądź chirurgicznych urazów. Postać ciężka choroby stanowi 53,7% spośród wszystkich przypadków hemofilii A.

Podstawą leczenia hemofilii jest uzupełnienie niedoborowego czynnika krzepnięcia w krwiobiegu w celu zahamowania aktywnego krwawienia lub jego prewencji. W profilaktyce i leczeniu krwawień w hemofilii A stosuje się: liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane z ludzkiego osocza (koncentraty osoczopochodne); liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane metodami inżynierii genetycznej (koncentraty rekombinowane).

Mimo że terapia ta jest bardzo kosztowna, państwo polskie zapewnia dostęp do cz. VIII wszystkim chorym na hemofilię. Z uwagi na krótki czas półtrwania cz. VIII, stosowany profilaktycznie wymaga on podawania co 2-3 dni.

Elocta jest przedstawicielem nowej generacji czynników krzepnięcia o przedłużonym czasie półtrwania, przez co mogą one być rzadziej stosowane, choć brak na to dobrych dowodów naukowych i porównania do dotychczas



stosowanych technologii. Przekładać się to może na rzadsze wkłucia dożylnie i zmniejsza konieczność stosowania wkłuc centralnych oraz na mniejszą ilość podawanych czynników krzepnięcia.

Analizę ekonomiczną w ocenianym wniosku przeprowadzono w formie analizy konsekwencji kosztów, a jej horyzont czasowy wynosił 12-miesiący. Analiza ta opiera się na arbitralnie przyjętej wartości QALY za dzień, w którym wystąpiło krwawienie wynoszącej 0,20. Wartość ta może być równie dobrze mniejsza, co większa. Równie niewiarygodną składową tej analizy jest zużycie czynników krzepnięcia. Cena produktu Elocta jest wysoka i koszt QALY pięciokrotnie przekracza próg określony w ustawie.

W opinii wielu agencji HTA (Francja, Szwecja, Niemcy) wartość dodana tej technologii jest mała.

Można się spodziewać wprowadzenia do terapii innych form cz. VIII o znacząco dłuższym okresie półtrwania, a do tego czasu leczyć chorych na hemofilię w dotychczas przyjęty sposób, modyfikując odstępy między podaniem cz.VIII.

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

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.39.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Elocta (efmorococog alfa) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmorococog alfa – Elocta – rFVIII Fc)”, data ukończenia: 29 grudnia 2016 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 6/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku
w sprawie oceny leku Elocta (efmoroctocog alfa),
kod EAN: 5909991246464, we wskazaniu: w ramach programu
lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A
(ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika
krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmoroctocog alfa – Elocta
– rFVIII Fc)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Elocta (efmoroctocog alfa), 500 IU proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod EAN 5909991246464, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmoroctocog alfa – Elocta – rFVIII Fc)”.

Uzasadnienie

Hemofilia A jest wrodzoną skazą krwotoczną, spowodowaną zmniejszeniem aktywności czynnika krzepnięcia VIII (cz. VIII) w osoczu, w wyniku czego dochodzi do obfitych krwawień do stawów, mięśni lub narządów wewnętrznych, występujących samoistnie lub w skutek wypadkowych bądź chirurgicznych urazów. Postać ciężka choroby stanowi 53,7% spośród wszystkich przypadków hemofilii A.

Podstawą leczenia hemofilii jest uzupełnienie niedoborowego czynnika krzepnięcia w krwiobiegu w celu zahamowania aktywnego krwawienia lub jego prewencji. W profilaktyce i leczeniu krwawień w hemofilii A stosuje się: liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane z ludzkiego osocza (koncentraty osoczopochodne); liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane metodami inżynierii genetycznej (koncentraty rekombinowane).

Mimo że terapia ta jest bardzo kosztowna, państwo polskie zapewnia dostęp do cz. VIII wszystkim chorym na hemofilię. Z uwagi na krótki czas półtrwania cz. VIII, stosowany profilaktycznie wymaga on podawania co 2-3 dni.

Elocta jest przedstawicielem nowej generacji czynników krzepnięcia o przedłużonym czasie półtrwania, przez co mogą one być rzadziej stosowane, choć brak na to dobrych dowodów naukowych i porównania do dotychczas



stosowanych technologii. Przekładać się to może na rzadsze wkłucia dożyłne i zmniejsza konieczność stosowania wkłuc centralnych oraz na mniejszą ilość podawanych czynników krzepnięcia.

Analizę ekonomiczną w ocenianym wniosku przeprowadzono w formie analizy konsekwencji kosztów, a jej horyzont czasowy wynosił 12-miesiący. Analiza ta opiera się na arbitralnie przyjętej wartości QALY za dzień, w którym wystąpiło krwawienie wynoszącej 0,20. Wartość ta może być równie dobrze mniejsza, co większa. Równie niewiarygodną składową tej analizy jest zużycie czynników krzepnięcia. Cena produktu Elocta jest wysoka i koszt QALY pięciokrotnie przekracza próg określony w ustawie.

W opinii wielu agencji HTA (Francja, Szwecja, Niemcy) wartość dodana tej technologii jest mała.

Można się spodziewać wprowadzenia do terapii innych form cz. VIII o znacząco dłuższym okresie półtrwania, a do tego czasu leczyć chorych na hemofilię w dotychczas przyjęty sposób, modyfikując odstępy między podaniem cz.VIII.

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

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.39.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Elocta (efmorococog alfa) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmorococog alfa – Elocta – rFVIII Fc)”, data ukończenia: 29 grudnia 2016 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 7/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku
w sprawie oceny leku Elocta (efmorococog alfa),
kod EAN: 5909991246488, we wskazaniu: w ramach programu
lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A
(ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika
krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmorococog alfa – Elocta
– rFVIII Fc)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Elocta (efmorococog alfa), 1000 IU proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod EAN 5909991246488, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmorococog alfa – Elocta – rFVIII Fc)”.

Uzasadnienie

Hemofilia A jest wrodzoną skazą krwotoczną, spowodowaną zmniejszeniem aktywności czynnika krzepnięcia VIII (cz. VIII) w osoczu, w wyniku czego dochodzi do obfitych krwawień do stawów, mięśni lub narządów wewnętrznych, występujących samoistnie lub w skutek wypadkowych bądź chirurgicznych urazów. Postać ciężka choroby stanowi 53,7% spośród wszystkich przypadków hemofilii A.

Podstawą leczenia hemofilii jest uzupełnienie niedoborowego czynnika krzepnięcia w krwiobiegu w celu zahamowania aktywnego krwawienia lub jego prewencji. W profilaktyce i leczeniu krwawień w hemofilii A stosuje się: liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane z ludzkiego osocza (koncentraty osoczopochodne); liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane metodami inżynierii genetycznej (koncentraty rekombinowane).

Mimo że terapia ta jest bardzo kosztowna, państwo polskie zapewnia dostęp do cz. VIII wszystkim chorym na hemofilię. Z uwagi na krótki czas półtrwania cz. VIII, stosowany profilaktycznie wymaga on podawania co 2-3 dni.

Elocta jest przedstawicielem nowej generacji czynników krzepnięcia o przedłużonym czasie półtrwania, przez co mogą one być rzadziej stosowane, choć brak na to dobrych dowodów naukowych i porównania do dotychczas



stosowanych technologii. Przekładać się to może na rzadsze wkłucia dożylnie i zmniejsza konieczność stosowania wkłuć centralnych oraz na mniejszą ilość podawanych czynników krzepnięcia.

Analizę ekonomiczną w ocenianym wniosku przeprowadzono w formie analizy konsekwencji kosztów, a jej horyzont czasowy wynosił 12-miesięcy. Analiza ta opiera się na arbitralnie przyjętej wartości QALY za dzień, w którym wystąpiło krwawienie wynoszącej 0,20. Wartość ta może być równie dobrze mniejsza, co większa. Równie niewiarygodną składową tej analizy jest zużycie czynników krzepnięcia. Cena produktu Elocta jest wysoka i koszt QALY pięciokrotnie przekracza próg określony w ustawie.

W opinii wielu agencji HTA (Francja, Szwecja, Niemcy) wartość dodana tej technologii jest mała.

Można się spodziewać wprowadzenia do terapii innych form cz. VIII o znacząco dłuższym okresie półtrwania, a do tego czasu leczyć chorych na hemofilię w dotychczas przyjęty sposób, modyfikując odstępy między podaniem cz.VIII.

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

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.39.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Elocta (efmorococog alfa) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmorococog alfa – Elocta – rFVIII Fc)”, data ukończenia: 29 grudnia 2016 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 8/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku
w sprawie oceny leku Elocta (efmorococog alfa),
kod EAN: 5909991246495, we wskazaniu: w ramach programu
lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A
(ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika
krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmorococog alfa – Elocta
– rFVIII Fc)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Elocta (efmorococog alfa), 1500 IU proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod EAN 5909991246495, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmorococog alfa – Elocta – rFVIII Fc)”.

Uzasadnienie

Hemofilia A jest wrodzoną skazą krwotoczną, spowodowaną zmniejszeniem aktywności czynnika krzepnięcia VIII (cz. VIII) w osoczu, w wyniku czego dochodzi do obfitych krwawień do stawów, mięśni lub narządów wewnętrznych, występujących samoistnie lub w skutek wypadkowych bądź chirurgicznych urazów. Postać ciężka choroby stanowi 53,7% spośród wszystkich przypadków hemofilii A.

Podstawą leczenia hemofilii jest uzupełnienie niedoborowego czynnika krzepnięcia w krwiobiegu w celu zahamowania aktywnego krwawienia lub jego prewencji. W profilaktyce i leczeniu krwawień w hemofilii A stosuje się: liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane z ludzkiego osocza (koncentraty osoczopochodne); liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane metodami inżynierii genetycznej (koncentraty rekombinowane).

Mimo że terapia ta jest bardzo kosztowna, państwo polskie zapewnia dostęp do cz. VIII wszystkim chorym na hemofilię. Z uwagi na krótki czas półtrwania cz. VIII, stosowany profilaktycznie wymaga on podawania co 2-3 dni.

Elocta jest przedstawicielem nowej generacji czynników krzepnięcia o przedłużonym czasie półtrwania, przez co mogą one być rzadziej stosowane, choć brak na to dobrych dowodów naukowych i porównania do dotychczas



stosowanych technologii. Przekładać się to może na rzadsze wkłucia dożyłne i zmniejsza konieczność stosowania wkłuc centralnych oraz na mniejszą ilość podawanych czynników krzepnięcia.

Analizę ekonomiczną w ocenianym wniosku przeprowadzono w formie analizy konsekwencji kosztów, a jej horyzont czasowy wynosił 12-miesięcy. Analiza ta opiera się na arbitralnie przyjętej wartości QALY za dzień, w którym wystąpiło krwawienie wynoszącej 0,20. Wartość ta może być równie dobrze mniejsza, co większa. Równie niewiarygodną składową tej analizy jest zużycie czynników krzepnięcia. Cena produktu Elocta jest wysoka i koszt QALY pięciokrotnie przekracza próg określony w ustawie.

W opinii wielu agencji HTA (Francja, Szwecja, Niemcy) wartość dodana tej technologii jest mała.

Można się spodziewać wprowadzenia do terapii innych form cz. VIII o znacząco dłuższym okresie półtrwania, a do tego czasu leczyć chorych na hemofilię w dotychczas przyjęty sposób, modyfikując odstępy między podaniem cz.VIII.

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

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.39.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Elocta (efmorococog alfa) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmorococog alfa – Elocta – rFVIII Fc)”, data ukończenia: 29 grudnia 2016 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 9/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku
w sprawie oceny leku Elocta (efmoroctocog alfa),
kod EAN: 5909991246501, we wskazaniu: w ramach programu
lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A
(ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika
krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmoroctocog alfa – Elocta
– rFVIII Fc)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Elocta (efmoroctocog alfa), 2000 IU proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod EAN 5909991246501, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmoroctocog alfa – Elocta – rFVIII Fc)”.

Uzasadnienie

Hemofilia A jest wrodzoną skazą krwotoczną, spowodowaną zmniejszeniem aktywności czynnika krzepnięcia VIII (cz. VIII) w osoczu, w wyniku czego dochodzi do obfitych krwawień do stawów, mięśni lub narządów wewnętrznych, występujących samoistnie lub w skutek wypadkowych bądź chirurgicznych urazów. Postać ciężka choroby stanowi 53,7% spośród wszystkich przypadków hemofilii A.

Podstawą leczenia hemofilii jest uzupełnienie niedoborowego czynnika krzepnięcia w krwiobiegu w celu zahamowania aktywnego krwawienia lub jego prewencji. W profilaktyce i leczeniu krwawień w hemofilii A stosuje się: liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane z ludzkiego osocza (koncentraty osoczopochodne); liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane metodami inżynierii genetycznej (koncentraty rekombinowane).

Mimo że terapia ta jest bardzo kosztowna, państwo polskie zapewnia dostęp do cz. VIII wszystkim chorym na hemofilię. Z uwagi na krótki czas półtrwania cz. VIII, stosowany profilaktycznie wymaga on podawania co 2-3 dni.

Elocta jest przedstawicielem nowej generacji czynników krzepnięcia o przedłużonym czasie półtrwania, przez co mogą one być rzadziej stosowane, choć brak na to dobrych dowodów naukowych i porównania do dotychczas



stosowanych technologii. Przekładać się to może na rzadsze wkłucia dożylnie i zmniejsza konieczność stosowania wkłuć centralnych oraz na mniejszą ilość podawanych czynników krzepnięcia.

Analizę ekonomiczną w ocenianym wniosku przeprowadzono w formie analizy konsekwencji kosztów, a jej horyzont czasowy wynosił 12-miesiący. Analiza ta opiera się na arbitralnie przyjętej wartości QALY za dzień, w którym wystąpiło krwawienie wynoszącej 0,20. Wartość ta może być równie dobrze mniejsza, co większa. Równie niewiarygodną składową tej analizy jest zużycie czynników krzepnięcia. Cena produktu Elocta jest wysoka i koszt QALY pięciokrotnie przekracza próg określony w ustawie.

W opinii wielu agencji HTA (Francja, Szwecja, Niemcy) wartość dodana tej technologii jest mała.

Można się spodziewać wprowadzenia do terapii innych form cz. VIII o znacząco dłuższym okresie półtrwania, a do tego czasu leczyć chorych na hemofilię w dotychczas przyjęty sposób, modyfikując odstępy między podaniem cz.VIII.

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

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.39.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Elocta (efmorococog alfa) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmorococog alfa – Elocta – rFVIII Fc)”, data ukończenia: 29 grudnia 2016 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 10/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku
w sprawie oceny leku Elocta (efmorococog alfa),
kod EAN: 5909991246518, we wskazaniu: w ramach programu
lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A
(ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika
krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmorococog alfa – Elocta
– rFVIII Fc)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Elocta (efmorococog alfa), 3000 IU proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod EAN 5909991246518, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmorococog alfa – Elocta – rFVIII Fc)”.

Uzasadnienie

Hemofilia A jest wrodzoną skazą krwotoczną, spowodowaną zmniejszeniem aktywności czynnika krzepnięcia VIII (cz. VIII) w osoczu, w wyniku czego dochodzi do obfitych krwawień do stawów, mięśni lub narządów wewnętrznych, występujących samoistnie lub w skutek wypadkowych bądź chirurgicznych urazów. Postać ciężka choroby stanowi 53,7% spośród wszystkich przypadków hemofilii A.

Podstawą leczenia hemofilii jest uzupełnienie niedoborowego czynnika krzepnięcia w krwiobiegu w celu zahamowania aktywnego krwawienia lub jego prewencji. W profilaktyce i leczeniu krwawień w hemofilii A stosuje się: liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane z ludzkiego osocza (koncentraty osoczopochodne); liofilizowane koncentraty cz. VIII wytwarzane metodami inżynierii genetycznej (koncentraty rekombinowane).

Mimo że terapia ta jest bardzo kosztowna, państwo polskie zapewnia dostęp do cz. VIII wszystkim chorym na hemofilię. Z uwagi na krótki czas półtrwania cz. VIII, stosowany profilaktycznie wymaga on podawania co 2-3 dni.

Elocta jest przedstawicielem nowej generacji czynników krzepnięcia o przedłużonym czasie półtrwania, przez co mogą one być rzadziej stosowane, choć brak na to dobrych dowodów naukowych i porównania do dotychczas



stosowanych technologii. Przekładać się to może na rzadsze wkłucia dożyłne i zmniejsza konieczność stosowania wkłuc centralnych oraz na mniejszą ilość podawanych czynników krzepnięcia.

Analizę ekonomiczną w ocenianym wniosku przeprowadzono w formie analizy konsekwencji kosztów, a jej horyzont czasowy wynosił 12-miesiący. Analiza ta opiera się na arbitralnie przyjętej wartości QALY za dzień, w którym wystąpiło krwawienie wynoszącej 0,20. Wartość ta może być równie dobrze mniejsza, co większa. Równie niewiarygodną składową tej analizy jest zużycie czynników krzepnięcia. Cena produktu Elocta jest wysoka i koszt QALY pięciokrotnie przekracza próg określony w ustawie.

W opinii wielu agencji HTA (Francja, Szwecja, Niemcy) wartość dodana tej technologii jest mała.

Można się spodziewać wprowadzenia do terapii innych form cz. VIII o znacząco dłuższym okresie półtrwania, a do tego czasu leczyć chorych na hemofilię w dotychczas przyjęty sposób, modyfikując odstępy między podaniem cz.VIII.

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

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.39.2016 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Elocta (efmorococog alfa) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A (ICD-10 D66) z zastosowaniem rekombinowanego ludzkiego czynnika krzepnięcia VIII o przedłużonym działaniu (efmorococog alfa – Elocta – rFVIII Fc)”, data ukończenia: 29 grudnia 2016 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 1/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku

o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej wczesnego wykrywania oraz zapobiegania rozwojowi cukrzycy i jej powikłaniom wśród osób w wieku aktywności zawodowej, zamieszkujących teren województwa lubuskiego”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej wczesnego wykrywania oraz zapobiegania rozwojowi cukrzycy i jej powikłaniom wśród osób w wieku aktywności zawodowej, zamieszkujących teren województwa lubuskiego”, pod warunkiem uwzględnienia zastrzeżeń wskazanych w uzasadnieniu opinii Rady.

Uzasadnienie

Cukrzyca jest najsilniejszym czynnikiem rozwoju chorób układu krążenia. Problem zdrowotny opisany w projekcie programu polityki zdrowotnej wpisuje się w następujący priorytet zdrowotny zawarty w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. ws. priorytetów zdrowotnych (Dz.U.2009 nr 137 poz. 1126): „przeciwdziałanie występowaniu otyłości i cukrzycy”.

W projekcie programu uwzględniono prawidłowy opis sytuacji epidemiologicznej cukrzycy, uwzględniając dane światowe, europejskie oraz dane dla Polski zarówno w zakresie zachorowalności oraz umieralności, jak i szacowanych kosztów. Wnioskodawca opisuje również sytuację epidemiologiczną w województwie lubuskim, powołując się na dane Lubuskiego Oddziału Wojewódzkiego Narodowego Funduszu Zdrowia. Zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych opublikowanymi przez Ministerstwo Zdrowia dn. 2.01.2017 r. zapadalność rejestrowana na cukrzycę w województwie lubuskim w 2014 roku wyniosła 3,9 tys., natomiast wskaźnik zapadalności rejestrowanej wyniósł 378/100 tys. (9 miejsce w kraju). Zarówno w opisie problemu zdrowotnego, jak i w opisie sytuacji epidemiologicznej zawarto stosowne referencje bibliograficzne.

Oczekiwane efekty wskazane przez wnioskodawcę w projekcie pozostają w zgodzie z założonymi celami programu. Należy jednak zwrócić uwagę, że efekt dotyczący wzrostu wiedzy wśród personelu medycznego POZ nie ma odniesienia w celach programu.



W projekcie wskazano prawidłowe w stosunku do części założeń programu mierniki efektywności. Zaznaczono również, że wartości wskaźników określone będą przed i po realizacji programu. Wnioskodawca w projekcie nie odnosi się jednak do wszystkich mierników, np. dotyczących kontroli nadciśnienia tętniczego czy nawyków żywieniowych.

Ponadto, zgodnie z opisem projektu programu, wnioskodawca dysponować będzie narzędziami do pomiaru poziomu wiedzy nt. cukrzycy wśród uczestników programu (test wiedzy). Wnioskodawca nie zamieszcza wzrostu poziomu wiedzy nt. cukrzycy w celach programu, nie odnosi się również do niego w oczekiwanych efektach ani też w miernikach efektywności. Planuje jednak pomiar „zwiększenia świadomości społecznej cukrzycy” poprzez porównanie liczby osób zgłaszających się na badania w ciągu pierwszego i ostatniego miesiąca trwania rekrutacji.

W projekcie nie określono okresu realizacji programu. Zaznaczono jednak, że będzie on trwał 1,5 roku. Czas ten wydaje się wystarczający dla przeprowadzenia zaplanowanych w nim działań. Warto podkreślić, że dla osiągnięcia trwałości efektów zdrowotnych w programach polityki zdrowotnej należy rozpatrywać działania długofalowe.

W przypadku osób będących w wieku aktywności zawodowej, wnioskodawca powołując się na definicję stosowaną w Badaniu Aktywności Ekonomicznej Ludności (BAEL), określił wiek osób z ww. grupy na 15 lat i więcej. Kwestia zdefiniowania grupy docelowej wymaga jednak doprecyzowania.

Ponadto w grupie wiekowej 15-18 konieczne jest uzyskanie zgody rodziców/opiekunów prawnych na udział w programie.

Wnioskodawca zaznacza, że przewidziany na realizację programu budżet pozwoli na uczestnictwo 14 514 osób. Podaje również, że całkowita liczba osób z populacji docelowej liczyć będzie 44 252 osoby. Sposób oszacowania liczebności ww. populacji wymaga doprecyzowania. Nie wiadomo też, czy liczebność populacji kwalifikującej się do włączenia do programu obejmuje również kobiety w ciąży.

Wnioskodawca w projekcie opisuje również kryteria wykluczenia uczestników z programu: będą to osoby, u których rozpoznano cukrzycę typu 2 lub hiperglikemię w ciąży, u których w ciągu ostatniego roku wykonano badanie OGTT (nie dotyczy kobiet ciężarnych), u których stwierdzono obecność chorób psychicznych, demencji, uzależnień od środków psychoaktywnych oraz które w ciągu ostatnich 6 miesięcy przebyły incydent sercowo-naczyniowy (zawał serca, udar mózgu). Należy zaznaczyć, że w przypadku osób z zaburzeniami psychicznymi stosującymi leki przeciwpsychotyczne, niektóre rekomendacje zalecają przeprowadzanie skryningu (IMAGE Study Group 2010, NHMRC 2009,

CDA 2008). Rada jest zdania, że z programu nie należy wykluczać osób z zaburzeniami psychicznymi.

Przedstawione przez wnioskodawcę działania z zakresu edukacji zdrowotnej przygotowane zostały w sposób rzetelny i prawidłowy. W projekcie dokładnie opisano wszystkie etapy oraz działania, jakie mają zostać przeprowadzone w ramach programu.

W pierwszym etapie zaplanowano wyłonienie spośród populacji docelowej osób z grup ryzyka wystąpienia cukrzycy. Należy zaznaczyć, że w przypadku cukrzycy typu 2 wykonywanie skryningu tylko w grupach ryzyka, zgodne jest z większością zaleceń i wytycznych (NICE 2012, ESC/EASD 2007, IMAGE Study Group 2010), z czego część zaleca wykonywanie w tej grupie badań co roku (PTD 2016, PFP 2008, ACE/AACE 2007, NHMRC 2009).

W celu identyfikacji odpowiedniej grupy osób kwalifikujących się do skryningu wytyczne zalecają przeprowadzenie oceny ryzyka (oceny występowania czynników ryzyka lub zastosowania narzędzi do oceny ryzyka cukrzycy) (NICE 2012, ESC/EASD 2007, IMAGE Study Group 2010). Uczestnicy w wieku aktywności zawodowej (od 15 r.ż.) kwalifikowani będą przy pomocy kwestionariusza FINDRISC (Finnish Diabetes Risk Score). Jest to najczęściej stosowane narzędzie oceny ryzyka rozwoju cukrzycy w Europie, zalecanie m.in. przez Europejskie Towarzystwo Kardiologiczne (ESC/EASD 2007). Ankieta FINDRISC nie będzie miała jednak zastosowania w przypadku kwalifikacji kobiet ciężarnych. Wnioskodawca zaznacza, że w tej grupie docelowej kwalifikacja do programu będzie się odbywała poprzez „Kwestionariusz oceny ryzyka wystąpienia cukrzycy ciążowej”, zgodny z zaleceniami Polskiego Towarzystwa Diabetologicznego (PTD 2016).

Zgodnie z projektem programu, zakwalifikowani na podstawie opisanych wcześniej kwestionariuszy uczestnicy zostaną skierowani do laboratorium, celem wykonania doustnego testu obciążenia glukozą (OGTT), co zgodne jest z wytycznymi/zaleceniami z zakresu programów dot. cukrzycy (PTD 2016, UPSTF 2015, AACE/ACE 2015, ADA 2015, IMAGE Study Group 2010, ESC/EASD 2007). Należy jednak zwrócić uwagę, że wykonanie badania OGTT należy do wykazu świadczeń gwarantowanych, w związku z czym istnieje ryzyko ich powielenia. W celu zapobieżenia powielaniu badań finansowanych ze środków publicznych, z udziału w programie wyłączane będą osoby, u których wspomniane badanie zostało wykonane w okresie krótszym niż rok.

W przypadku kobiet w ciąży należy zaznaczyć, że zgodnie z wytycznymi (PTD 2016, IDF 2015, PTG 2011) wszystkie ciężarne powinny być diagnozowane w kierunku zaburzeń tolerancji glukozy, a wstępne oznaczenie stężenia glukozy na czczo celem diagnostyki w kierunku hiperglikemii ciążowej powinno być zlecone na początku ciąży, podczas pierwszej wizyty u ginekologa.

Należy zwrócić uwagę na nacisk, jaki położony został na kontrolę stosowania się pacjentów do zaleceń, wielokrotne powtarzanie informacji, co pozwoli na utrwalenie zachowań prozdrowotnych. Zgodnie z zaleceniami PTD powtarzanie porad dotyczących zmian stylu życia ma decydujące znaczenie w skuteczności prewencji (PTD 2016). Dodatkowo, zaplanowano zastosowanie narzędzi w postaci ankiet, celem dokonania pomiaru uzyskanych zmian.

Osoby w wieku aktywności zawodowej uczestniczyć będą w szkoleniu grupowym, dwóch szkoleniach indywidualnych (pierwsze po 1-3 tygodniach, drugie po 1 miesiącu), następnie przeprowadzane będzie drugie szkolenie grupowe (po 6 miesiącach od rozpoczęcia programu) oraz trzecie szkolenie indywidualne (ok. 3 miesiące od drugiego szkolenia grupowego). W ramach pierwszego szkolenia grupowego, uczestnicy mają zostać zapoznani z zasadami diety cukrzycowej, odpowiedniej aktywności fizycznej oraz otrzymają materiały edukacyjne. Wnioskodawca nie uściśla jednak, czego mają dotyczyć wspomniane materiały ani czym mają się różnić od tych wydawanych podczas pierwszej wizyty pielęgniarskiej. W projekcie nie określono liczebności grup biorących udział w szkoleniach grupowych, zaznaczono jednak, że zarówno liczebność grup, jak i liczba szkoleń uzależnione będą od liczby osób biorących udział w programie oraz od możliwości lokalowych, a w przypadku dużej liczby uczestników, podmiot zorganizuje miejsce we własnym zakresie poza siedzibą realizatora.

Wnioskodawca nie dołączył do programu materiałów edukacyjnych, jakie mają zostać wykorzystane w ramach programu (jedynie piramidę żywności), zaznaczył jednak, że będą to materiały opracowane przez Instytut Żywności i Żywienia w ramach programu „Zachowaj równowagę”. Materiały te nie pokrywają w całości zakresu tematycznego szkoleń zaplanowanych w ramach programu.

Wnioskodawca zaznacza, że w przypadku kobiet ciężarnych zakończenie udziału w programie bez względu na wynik OGTT następuje w 24 tygodniu ciąży wraz z zaleceniem kontynuacji stosowania się do zmian behawioralnych przez cały okres ciąży, pod nadzorem położniczym. Nie uściśla jednak, dlaczego zakończenie udziału następuje w takim, a nie innym terminie. Może być to związane z faktem, że badania w kierunku cukrzycy ciążowej są przeprowadzane u wszystkich kobiet między 24 a 28 tygodniem ciąży w ramach świadczeń gwarantowanych, co zgodne jest z zaleceniami (PTD 2016, PTG 2011, IDF 2015).

W projekcie programu opisano również zasady udzielania świadczeń. Wnioskodawca zaznacza, że szkolenia indywidualne prowadzone będą w jednostce realizującej program z zapewnieniem możliwości zgłaszania się każdego dnia w tygodniu w godzinach popołudniowych oraz co najmniej raz w tygodniu w godzinach dopołudniowych. Informacja ta jest niespójna

z zapisami zawartymi w punkcie dotyczącym dostępności świadczeń, gdzie wnioskodawca podaje, że realizator zapewnić musi dostępność 5 razy w tygodniu, w tym 3 razy do godziny 18.

Uściślenia wymaga kwestia edukacji personelu. W opisie przebiegu programu zaznaczono, że w każdej jednostce realizującej program mianowany zostanie koordynator odpowiedzialny za przygotowanie personelu do przeprowadzenia interwencji przewidzianych w ramach programu. Szkolenie personelu medycznego w zakresie postępowania z chorymi na cukrzycę jest powszechnie zalecane. Rekomendacje w tym zakresie odnoszą się głównie do edukacji personelu medycznego w zakresie postępowania z pacjentami chorującymi na Zespół Stopy Cukrzycowej (PTLR 2015, SVS 2015, RNAO 2013, CSR 2006), można je jednak odnieść również do wiedzy ogólnej z zakresu cukrzycy. Wnioskodawca nie uściśla jednak, w jaki sposób odbywać miałyby się wspomniana edukacja, ani jaką liczbę osób miałyby objąć. Uzupelnienia wymaga również kwestia kompetencji, jakie musiałyby posiadać koordynator.

W projekcie odniesiono się również do sposobu wyboru realizatorów programu. Wnioskodawca zaznacza, że ma on się odbyć w drodze konkursu ofert. Program realizowany ma być na terenie województwa lubuskiego, jednak wnioskodawca nie podaje informacji, na terenie jakich powiatów proponowane w programie świadczenia mają być dostępne. Należy zaznaczyć, że wnioskodawca powinien zadbać o równy dostęp do świadczeń dla wszystkich mieszkańców województwa bez względu na miejsce zamieszkania.

W ramach monitorowania i ewaluacji programu zasadne wydaje się uzupełnienie oceny zgłaszalności o przyczyny braku uczestnictwa/rezygnacji pacjentów z udziału w programie.

Wnioskodawca przewiduje także przeprowadzenie oceny jakości świadczeń, która zakłada wypełnienie przez uczestników programu ankiety satysfakcji na zakończenie udziału, podczas drugiej wizyty pielęgniarskiej. Zgodnie z informacjami zawartymi w projekcie programu, zaplanowano również gromadzenie przez realizatora danych i przekazania ich w formie zbiorczej w formularzu załączonym do projektu programu. Formularz ten zawiera informacje dotyczące licznych wskaźników, których wartości mierzone mają być dwukrotnie (wartość wyjściowa i wartość końcowa), dzięki czemu możliwe będzie zbadanie zmiany, jaka została osiągnięta w wyniku działań realizowanych w ramach programu. Mierniki te odnoszą się jednak do zgłaszalności oraz efektywności programu, a nie do oceny jakości świadczeń.

Ocena stopnia zmiany nawyków uczestników w wyniku realizacji działań edukacyjnych, ma być sprawdzana przy pomocy kwestionariusza oceny zachowań żywieniowych oraz międzynarodowego kwestionariusza aktywności fizycznej. Oba kwestionariusze zostały załączone przez wnioskodawcę

do projektu programu. Rekomendowane jest użycie kompletu pytań, natomiast wnioskodawca zastosował w programie minimalny zestaw pytań, który zapewnia podstawowy zakres oceny zwyczajów żywieniowych i częstości spożycia żywności. Należy również zaznaczyć, że uzyskanie rzetelnych rezultatów możliwe jest tylko wtedy, gdy kwestionariusz wykorzystywany jest przez przeszkolonego ankietera rygorystycznie przestrzegającego wytycznych międzynarodowego zespołu IPAQ.

W projekcie przedstawiono koszty jednostkowe i całkowite. W ramach kosztów jednostkowych oszacowane zostały koszty interwencji z podziałem na poszczególne etapy realizacji programu. Określono również szacowany koszt w odniesieniu do rodzaju uczestnika (osoba w wieku aktywności zawodowej – 270 zł lub kobieta w ciąży – 255 zł). Sposób oszacowania ww. kwot wydaje się niejasny. Wnioskodawca nie uściśla, na jakiej podstawie określił koszty poszczególnych działań. Planowane koszty całkowite oszacowane zostały natomiast poprzez pomnożenie kosztu jednostkowego przypadającego na uczestnika w wieku aktywności zawodowej przez założoną liczbę uczestników (razem 3 918 780 zł). Z powyższych obliczeń można wnioskować, że koszty te nie obejmują środków przewidzianych na realizację programu wśród kobiet ciężarnych. Kwestia ta wymaga doprecyzowania.

Ponadto w opisie zasad udzielania świadczeń wnioskodawca zaznacza, że zarówno druk materiałów edukacyjnych i ankiet, jak i w razie potrzeby wynajem pomieszczeń na przeprowadzanie szkoleń, finansowane będą w ramach programu. Wydaje się, że koszty te nie zostały jednak ujęte w przedstawionym budżecie.

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu OT.441.244.2016 „Program polityki zdrowotnej wczesnego wykrywania oraz zapobiegania rozwojowi cukrzycy i jej powikłaniom wśród osób w wieku aktywności zawodowej zamieszkujących teren województwa lubuskiego” styczeń 2017 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania cukrzycy – wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 2/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki wad postawy dla dzieci z klas I szkół podstawowych w latach 2016-2017” miasta Płock

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki wad postawy dla dzieci z klas I szkół podstawowych w latach 2016-2017” miasta Płock pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Opiniowany projekt wpisuje się w priorytety: „zapobieganie najczęstszymi 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” oraz „zmniejszenie przedwczesnej zachorowalności i ograniczenie negatywnych skutków przewlekłych schorzeń układu kostno-stawowego”, należące do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. (Dz. U. 2009, Nr 137, poz. 1126). Należy wskazać, że prowadzenie programów wczesnej diagnostyki wad postawy u dzieci i młodzieży jest powszechnie rekomendowane przez ekspertów, pomimo braku przekonujących dowodów efektywności. Interwencje przewidziane w ramach projektu programu są silnie powiązane ze świadczeniami zdrowotnymi finansowanymi ze środków publicznych. W treści projektu podkreślono także, że oceniany program realizowany w latach 2016-2017 jest pilotażem, po ocenie jego efektów zostanie natomiast opracowany program do realizacji w latach następnych.

Jak wskazano, program adresowany do 100% populacji. W programie przewidziano udział wykwalifikowanego personelu, jakim są specjaliści w zakresie rehabilitacji ruchowej, ortopedzi czy też osoby specjalizujące się w fizjoterapii lub korekcji wady postawy, to podstawa dobrze przygotowanego programu w tym zakresie. Zaplanowano prowadzenie działań edukacyjnych skierowanych do lekarzy POZ, nauczycieli nauczania początkowego, dzieci z klas I szkół podstawowych oraz ich rodziców/opiekunów prawnych. W programie wskazano budżet całkowity i jednostkowy, jednak podkreślono, że koszt kampanii informacyjnej nie jest wliczony w koszt realizacji niniejszego programu



polityki zdrowotnej (zorganizowanie odrębnej kampanii informacyjnej, dotyczącej wszystkich finansowanych z budżetu Miasta Płocka programów polityki zdrowotnej).

Uwagi:

1. Wnioskodawca odniósł się do sytuacji epidemiologicznej, przedstawiając zarówno dane z obszaru Europy, trendy ogólnopolskie, jak i sytuację lokalną. Warto jednak zaznaczyć, iż niektóre informacje wymagają aktualizacji (powołanie na badania z lat 2005-2006).
2. Należy wskazać, że cel główny powinien zostać sformułowany w sposób szczegółowy, tak aby był on mierzalny, realistyczny oraz terminowy. Aby to osiągnąć, należy jasno zdefiniować w kontekście przedstawionego celu głównego pojęcia „odchylenia”, jak i „prawidłowa postawa ciała”.
3. Główne założenie ocenianego projektu zostało uzupełnione 3 celami szczegółowymi. Wątpliwości budzi, czy po jednym spotkaniu edukacyjnym z fizjoterapeutą osiągnięty zostanie cel odnoszący się do zwiększenia wśród rodziców wiedzy nt. prawidłowej postawy ciała i profilaktyki schorzeń kręgosłupa oraz umiejętności w zakresie kształtowania prawidłowych postaw i wzmocnienia aktywności fizycznej dzieci.
4. Doprecyzować zakres tematyczny materiałów informacyjnych zamieszczonych w e-dzienniku.
5. W treści projektu programu przedstawiono również 5 mierników efektywności. Mierniki muszą dotyczyć rezultatów, a nie podjętych wysiłków. Samo przedstawienie liczby przeprowadzonych szkoleń czy też liczby godzin gimnastyki korekcyjnej nie wskaże w sposób dokładny, jak zmienił się stan zdrowia osób objętych działaniami realizowanymi w ramach programu. Wskaźniki przedstawione przez wnioskodawcę mają bardziej charakter ilościowy niż jakościowy.
6. W uzasadnionych przypadkach, mając na uwadze niski poziom motywacji do ćwiczeń, typowy dla młodych osób, można zastanowić się nad uzupełnieniem go o konsultację psychoterapeutyczną (SOSORT 2014).
7. W programie należy odnieść się udziału dyrektorów szkół podstawowych z obszaru Miasta Płock. Wspomniana grupa powinna odgrywać ważną rolę w rozpowszechnianiu informacji o możliwości uczestnictwa w programie badań przesiewowych w kierunku wad postawy oraz działań edukacyjnych poświęconych tej tematyce.
8. Wskazano, że szkolenie ma być prowadzone przez specjalistę z dziedziny profilaktyki i korekcji wad postawy. Warto jednak zaznaczyć, iż należy

sprecyzować ich długości, czy też liczebności grup biorących udział w szkoleniu, a także odniesienie się do określenia, z jakimi ćwiczeniami korekcyjnymi zapoznani zostaną nauczyciele oraz w jaki sposób realizator zamierza sprawdzić, czy będą oni potrafili w sposób stosowny wykorzystać zdobytą wiedzę oraz umiejętności podczas zajęć z dziećmi wymagającymi gimnastyki korekcyjnej.

- 9. W treści projektu zaznaczono, że realizator programu zostanie wybrany na zasadach konkursu ofert, co jest zgodne z zapisami ustawowymi. Należy jednak przytoczyć prawidłową podstawę prawną tego zadania. Wnioskodawca przytacza błędną czyli ustawę z dn. 11 września 2015 r. o zdrowiu publicznym.*
- 10. W programie w sposób pobieżny określono zasoby kadrowe, sprzętowe oraz lokalowe, jakimi powinien dysponować realizator.*
- 11. Warto także podkreślić, iż w kosztach całkowitych uwzględniono grupę Bk2 oraz Bk3, nie odniesiono się natomiast do grupy Bk1, dla której zajęcia prowadzić mają nauczyciele nauczania początkowego bądź fizjoterapeuci zatrudnieni przez realizatora programu (sprzeczne informacje znajdujące się w różnych częściach projektu programu). Wnioskodawca powinien uzupełnić planowane koszty o uwzględnienie wskazanych zajęć.*

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu OT.441.247.2016 „Program profilaktyki wad postawy dla dzieci z klas I szkół podstawowych w latach 2016-2017” realizowany przez: Miasto Płock”, styczeń 2017 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki i korekcji wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny”, styczeń 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 3/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku o projekcie programu „Program profilaktyki nabytych wad postawy skierowany do dzieci w wieku 5-14 lat z terenu województwa podlaskiego”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki nabytych wad postawy skierowany do dzieci w wieku 5-14 lat z terenu województwa podlaskiego” pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Projekt programu odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, jakim są wady postawy wśród dzieci i młodzieży w wieku szkolnym. W treści problemu zdrowotnego wskazano okresy krytyczne, które pociągają za sobą nieprawidłowości w kształtowaniu postawy ciała u dzieci i młodzieży. Odniesiono się również do przyczyn powstawania wad postawy.

Opiniowany projekt wpisuje się w następujące priorytety: „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” oraz „zmniejszenie przedwczesnej zachorowalności i ograniczenie negatywnych skutków przewlekłych schorzeń układu kostnow stawowego”, należące do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 21 sierpnia 2009 r. (Dz.U. 2009, Nr 137, poz. 1126). Ponadto wnioskodawca podkreśla, iż program ten jest zgodny z Wytycznymi w zakresie realizacji przedsięwzięć z udziałem środków z Europejskiego Funduszu Społecznego w obszarze zdrowia na lata 2014-2020. Obszar działań przewidzianych w ramach programu jest również komplementarny z zapisami dokumentów o charakterze strategiczno-wdrożeniowym, m.in. Policy Paper dla ochrony zdrowia na lata 2014-2020.

Regionalny Program Polityki Zdrowotnej pt. Program profilaktyki nabytych wad postawy skierowany do dzieci w wieku 5-14 lat z terenu województwa podlaskiego, ukierunkowany na edukację w zakresie czynników sprzyjających rozwojowi wad postawy, mający na celu zainteresowanie zagadnieniami



prawidłowej postawy ciała oraz zasadami racjonalnego żywienia, zarówno dzieci, jak i ich rodziców/opiekunów, a także zwiększający dostęp do leczenia i rehabilitacji, obejmujący profilaktykę pierwszo i trzeciorzędową, wynika z przeprowadzonej analizy potrzeb zdrowotnych.

Wnioskodawca odniósł się do sytuacji epidemiologicznej, przedstawiając w sposób szczegółowy zarówno aktualne dane ogólnopolskie, jak i sytuację regionalną.

W województwie podlaskim częstość występowania zniekształceń kręgosłupa jest bardzo wysoka, na co wskazuje surowy współczynnik chorobowości z powodu zniekształceń kręgosłupa u dzieci i młodzieży w wieku 0-18 lat, który jest o prawie 41% wyższy niż wartość współczynnika dla Polski (2015 r.).

Regionalny Program Polityki Zdrowotnej Województwa Podlaskiego przewiduje prowadzenie dwóch poziomów działań: poziomu I – projektu edukacyjnego (skierowanego do rodziców/opiekunów dzieci w wieku 5-6 lat, które uczęszczają do przedszkola oraz dzieci uczących się w szkołach podstawowych – klasy I, IV i VI) oraz poziomu II – projektu leczenia i rehabilitacji (skierowanego do dzieci w wieku 5-14 lat).

Wnioskodawca odwołuje się do rekomendacji SOSORT 2014, nie precyzuje jednak zakresu planowanych metod terapeutycznych. W treści projektu programu zaznaczono bowiem, że formy leczenia oraz rehabilitacji, którymi objęte będą dzieci ze stwierdzonymi wadami postawy, zależą od ich indywidualnych potrzeb i o ich doborze decydować będzie lekarz specjalista.

Projekt zawiera wszystkie niezbędne elementy, w tym budżet całkowity i jednostkowy, wymaga jednak korekt i uzupełnień:

- odnalezione rekomendacje kładą szczególny nacisk na rolę edukacji nie tylko dziecka, ale i jego opiekunów. Niski poziom motywacji do ćwiczeń, typowy dla młodych osób, można podnieść poprzez uświadomienie dziecka i rodziców co do charakteru choroby, jej przewidywanego przebiegu, potencjalnych konsekwencji braku leczenia itd. W uzasadnionych przypadkach warto uzupełnić leczenie o konsultację psychoterapeutyczną (SOSORT 2014). Zasadne wydaje się zatem prowadzenie działań edukacyjnych obejmujących swym zakresem rodziców i opiekunów prawnych wszystkich dzieci, do których skierowany jest program;
- w ramach projektu programu wnioskodawca nie sprecyzował zakresu oferowanych metod terapeutycznych, które uznawane są za specyficzne dla skolioz. Nie można zatem dokładnie zweryfikować zakresu wskazanej interwencji;
- dzieci z rozpoznaną skoliozą (kąt Cobba $>10^{\circ}$ - 20°) objęte zostaną leczeniem przy zastosowaniu PSE (Specyficzne Metody

Fizjoterapeutyczne, specyficzna fizjoterapia ambulatoryjna – ang. Physiotherapeutic Specific Exercises). Należy podkreślić, iż w przypadku dzieci, u których kąt Cobba osiąga wartość między 11° a 15° , PSE są maksymalnymi rekomendacjami leczniczymi. Wspomniane maksymalne zalecenia terapeutyczne oznaczają te rodzaje postępowania, których przekroczenie będzie pociągało za sobą wystąpienie zjawiska over-treatment, związanego z przesadnie intensywnym leczeniem. W zależności od metodyki przyjętej w poszczególnych metodach terapeutycznych należących do PSE, program terapeutyczny opiera się na nauczaniu dziecka samodzielnego wykonywania ćwiczeń, a następnie prowadzeniu leczenia w formie zazwyczaj 2-4 sesji ćwiczeniowych w ciągu tygodnia. Wnioskodawca zaplanował 10 indywidualnych sesji (po 30 min). Wskazana w treści projektu programu liczba zajęć może się zatem okazać niewystarczająca. Odnalezione rekomendacje (NSF 2010, VHA-DoD 2010) zalecają, aby pacjenci otrzymywali tyle świadczeń terapeutycznych, ile „potrzebują” i są w stanie tolerować, aby przystosować, odzyskać i/lub wrócić do optymalnego osiągnięcia niezależności funkcjonowania. W wytycznych podkreśla się także konieczność zapewnienia powszechności, kompleksowości, wczesności i ciągłości w zakresie rehabilitacji leczniczej;

- *dzieci z rozpoznaną skoliozą (kąt Cobba $>20^{\circ} \pm 5^{\circ}$), u których wymagane jest zastosowanie gorsetów sztywnych (12-20 godz./dobę), oraz dzieci z rozpoznaną kifozą i lordozą objęte zostaną ćwiczeniami korekcyjno-kompensacyjnymi na basenie. Należy zaznaczyć, iż nie ma dowodów naukowych pozwalających zalecać pływanie jako formę leczenia skoliozy (SOSORT 2014). Niewątpliwie zajęcia ruchowe na basenie mogą mieć charakter profilaktyczny. Wnioskodawca zaznacza, że ćwiczenia korekcyjno-kompensacyjne na basenie będą miały charakter towarzyszący, tj. będą uzupełnieniem postępowania korekcyjnego (odpowiednie zestawy ćwiczeń) zleconego przez lekarza specjalistę lub rehabilitanta;*
- *w celu sprawdzenia stopnia poprawy w zakresie redukcji zniekształcenia kręgosłupa lekarz specjalista będzie miał możliwość zlecenia wykonania badania radiologicznego kręgosłupa (założono objęcie badaniami RTG grupy 4 312 dzieci). Zgodnie z rekomendacjami obiektywnymi powodami przemawiającymi za zleceniem zdjęć rentgenowskich pacjentom ze skoliozą powinny być zmiany w wynikach pomiaru wykonanego za pomocą skoliometru i/lub zmiany w wyglądzie asymetrii tułowia. Sposoby inne niż radiologiczne, tj. badania lekarskie, pomiary z użyciem skoliometru, topografia powierzchni ciała, powinny być wykorzystywane*

w pierwszej kolejności do wykrycia progresji skrzywienia u pacjentów ze skoliozą (SOSORT 2012);

- zasadne wydaje się, aby w celu oceny jakości świadczeń udzielanych w ramach programu przygotowana została wystandaryzowana ankieta, która oddałaby ocenę jakości interwencji świadczonych we wskazanych grupach;
- Wnioskodawca zamierza także zorganizować spotkania dyrektorów placówek oświatowych z edukatorami zdrowotnymi, celem przystąpienia owych placówek do programu. Wspomniana grupa dyrektorów przedszkoli, szkół podstawowych oraz gimnazjalnych powinna odgrywać ważną rolę w rozpowszechnianiu informacji o możliwości uczestnictwa zarówno w działaniach edukacyjnych, jak i części nakierowanej na leczenie oraz rehabilitację;
- zasadne wydaje się także przekazywanie informacji o możliwości skorzystania z programu profilaktyki wad postawy rodzicom/opiekunom przez nauczycieli podczas zebrań klasowych;
- w treści projektu nie sprecyzowano, na jakich zasadach wyłoniony zostanie realizator programu. W sposób pobieżny określono także zasoby kadrowe, nie odniesiono się natomiast do zasobów sprzętowych oraz lokalowych, jakimi powinien dysponować realizator;
- Wnioskodawca programu zakłada jego monitorowanie i ewaluację. W ramach tych działań zaplanowano przeprowadzenie oceny jakości świadczeń oraz efektywności programu. Nie wyszczególniono natomiast oceny zgłaszalności. Zgłaszalność do programu może zostać oceniona za pomocą zestawienia liczby dzieci, których rodzice nie wyrazili zgody na uczestnictwo w programie, do całej populacji objętej programem. Przeprowadzona może zostać również analiza rezygnacji z udziału w programie (wyrażona stosunkiem liczby rodziców/opiekunów, którzy zgłosili rezygnację, do początkowej liczby zgód udzielonych na wzięcie udziału w programie). Zasadne wydaje się, aby ocena zgłaszalności uwzględniała także dokładną liczbę uczestników poszczególnych działań zaplanowanych w ramach programu, z uwzględnieniem wieku dzieci oraz schorzenia, z którym się borykają;
- ocena efektywności programu zostanie zweryfikowana na podstawie zgodności z miernikami efektywności. Wnioskodawca podkreśla, iż pełny obraz efektywności programu będzie możliwy do uzyskania w wyniku ewaluacji w odstępie rocznym lub dwuletnim od zakończenia programu. Ocena efektywności dokonana powinna zostać m.in. na podstawie liczby osób, które wezmą udział w programie, wzrostu wiedzy nt. profilaktyki wad postawy, a także poprawy lub pogorszenia wad postawy

stwierdzonych badaniem klinicznym oraz oceną wyników badania obrazowego. Warto zaznaczyć, aby liczba dzieci objętych programem, uwzględniała podział na wyszczególnione w treści projektu poziomy działań. Istotne jest, aby przedstawione wskaźniki zostały ze sobą zestawione (np. ocena wzrostu poziomu wiedzy). Zestawienie powyższych wartości przełoży się na możliwość określenia czy zaproponowane świadczenia będą wpływały na realizację założonych celów;

- w treści projektu programu przedstawiono szczegółowe opracowanie budżetu, które wydaje się być poprawnie przygotowane. Wnioskodawca określił zarówno koszty jednostkowe, jak i całkowite działań zaplanowanych w ramach realizacji poziomu I oraz poziomu II programu. Należy jednak zaznaczyć, iż informacje odnoszące się do kosztów zostały przedstawione przez wnioskodawcę w sposób chaotyczny, w różnych częściach projektu programu;
- błędnie obliczono koszt edukacji połączonej z zajęciami ruchowymi dla uczniów I klasy szkoły podstawowej w latach 2017-2018 – koszt 533 sesji, które odbywać mają się 20 razy w ciągu roku dla klas liczących ok. 20 dzieci, przy oszacowanym przez wnioskodawcę koszcie (60 zł/1 godz.) powinien wynosić 639 600 zł, a nie tak jak wskazano w treści projektu 369 600 zł. Należy jednak podkreślić, że łączny koszt edukacji we wskazanej grupie wiekowej w latach 2017-2021 oszacowano już w sposób prawidłowy.

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu OT.441.250.2016 „„Program profilaktyki nabytych wad postawy skierowany do dzieci w wieku 5-14 lat z terenu województwa podlaskiego” realizowany przez: Województwo Podlaskie”, styczeń 2017 oraz Aneksów do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki i korekcji wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny”, styczeń 2017 r., „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny”, sierpień 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 4/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku
o projekcie programu „Regionalny Program Polityki Zdrowotnej
Województwa Podlaskiego ukierunkowany na wzmocnienie
potencjału zdrowia osób pracujących w województwie podlaskim”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Regionalny Program Polityki Zdrowotnej Województwa Podlaskiego ukierunkowany na wzmocnienie potencjału zdrowia osób pracujących w województwie podlaskim”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Zgodnie z wytycznymi odnoszącymi się do programów ukierunkowanych na eliminowanie zdrowotnych czynników ryzyka w miejscu pracy, zalecającymi uwzględnianie rozwiązań opracowanych w latach 2007-2013 w ramach Programu Operacyjnego Kapitał Ludzki, niniejszy projekt został przygotowany w oparciu m.in. o: „Kompleksowy program profilaktyczny dotyczący chorób układu krążenia” i „Kompleksowy program profilaktyczny dotyczący prospołecznych zagrożeń w środowisku pracy”, Instytutu Medycyny Pracy im. prof. Nofera w Łodzi.

Program przewiduje działania w zakresie chorób układu krążenia, wybranych nowotworów (płuca, piersi, gruczołu krokowego, jelita grubego) oraz stresu/depresji. Na podstawie wytycznych i rekomendacji można stwierdzić, że zaproponowane interwencje szkoleniowe, edukacyjne oraz diagnostyczne są prawidłowe. Autorzy projektu przedstawili dowody naukowe w postaci publikacji dotyczących m.in. skuteczności działań w ramach programów promocji zdrowia w miejscu pracy.

Zgodnie z zaleceniami European Society of Cardiology (2016) celowe wydaje się prowadzenie edukacji w zakresie zmiany stylu życia u osób po 50 r. ż., obarczonych ryzykiem wystąpienia choroby sercowo-naczyniowej. Rekomenduje się rozważenie leczenia psychospołecznych czynników ryzyka (np. depresji) w celu zapobiegania chorobie niedokrwiennej serca, w szczególności gdy ten czynnik jest rozwinięty u pacjenta. Edukacja powinna odnosić się do aktywności fizycznej, diety, rezygnacji z palenia tytoniu.



Centres for Disease Control and Prevention (CDC), 2016 rekomenduje prowadzenie kompleksowych działań edukacyjnych w przypadku nowotworów jelita grubego, zwracających uwagę na zmianę nawyków żywieniowych i identyfikację czynników ryzyka (wywiad rodzinny).

CDC 2016/ESC 2016 zalecają prowadzenie wraz z działaniami edukacyjnymi również kontroli ciśnienia tętniczego oraz poziomu cholesterolu i glikemii u osób z możliwymi czynnikami ryzyka w populacji bezobjawowej.

ESC 2016 rekomenduje w przypadku wszystkich bezobjawowych dorosłych z lub bez chorób sercowo-naczyniowych w wywiadzie przeprowadzenie oceny globalnego ryzyka wystąpienia incydentu sercowo-naczyniowego (za pomocą np. skali ryzyka Framingham, SCORE, QRISK2).

Wytyczne NICE 2016, WHO 2012, European Agency for Safety and Health at Work (EU-OSHA) 2012 zalecają, by do programów związanych z promocją zdrowia angażować pracodawców, menadżerów, pracowników, osoby wykonujące zawody medyczne.

Większość interwencji proponowanych w ramach programu dostępnych jest w ramach świadczeń gwarantowanych i Programu Profilaktyki Chorób Układu Krążenia (PPCHUK). Wartością dodaną (obok edukacji) jest przeprowadzenie działań w miejscu pracy i objęcie nimi osób w wieku 25-50 lat (ogólnopolski PPCHUK kierowany jest do wybranych grup wiekowych). Dodatkowym działaniem jest określenie ryzyka wystąpienia wybranych chorób, którego nie prowadzi lekarz medycyny pracy, w ramach badań zleczanych przez pracodawcę. Program kierowany jest do osób pracujących w województwie podlaskim, w wieku 25-50 lat i będzie współfinansowany przez Unię Europejską w ramach Europejskiego Funduszu Społecznego.

Zakłada przeprowadzenie:

- poziom I: działań szkoleniowych, obejmujących pracodawców, pracowników BHP/PIP/PIS, lekarzy i pielęgniarek POZ, edukatorów zdrowotnych;*
- poziom II: działań edukacyjnych, obejmujących pracowników zakładów pracy;*
- poziom III : pomiaru ciśnienia tętniczego, określenia BMI, prowadzenia ankiet dotyczących określenia ryzyka występowania schorzeń układu krążenia, nowotworów, zewnętrznych przyczyn zgonów/zachorowań, a także badań biochemicznych (oznaczenie poziomu cholesterolu całkowitego, frakcji HDL, LDL, trójglicerydów, glukozy na czczo), u osób ze zdiagnozowanymi czynnikami ryzyka.*

Projekt zawiera wszystkie niezbędne elementy, w tym budżet całkowity i jednostkowy, wymaga jednak korekt i uzupełnień:

- wnioskodawca nie przedstawił danych w oparciu o mapy potrzeb zdrowotnych z zakresu chorób układu krążenia, nowotworów i zaburzeń psychicznych. Opis należałoby uzupełnić o te informacje;
- należały określić, w jakim czasie planuje się osiągnięcie celu głównego;
- należały przeformułować cele szczegółowe (obecnie są one działaniami nie celami) oraz podać, na jakiej podstawie zostały określone odsetki w nich wskazane;
- miernik dotyczący chorobowości populacji hospitalizowanej z powodu chorób układu krążenia i nowotworów w województwie podlaskim powinien odnosić się również do zewnętrznych przyczyn zgonów;
- spośród zewnętrznych przyczyn zgonów projekt uwzględnia jedynie stres/depresję. Należałoby uwzględnić w odpowiednich zapisach, że pozostałe przyczyny zgonów nie są oceniane;
- edukatorzy zdrowotni mają brać udział w szkoleniu z lekarzami oraz w szkoleniu z pielęgniarkami. Udział ten budzi wątpliwości, ponieważ dla samych edukatorów zostały przewidziano odrębne szkolenia. Należałoby to wyjaśnić/doprecyzować;
- przy ocenie ryzyka chorób krążenia należy określić, która ze skal zostanie zastosowania (SCORE, Framingham czy QRISK2), by zachować jednolitą metodologię;
- należy podać jednoznaczną informację, gdzie będą prowadzone działania edukacyjne (miejsce pracy czy POZ);
- należy napisać, czy przewiduje się testowanie prawidłowego działania materiałów edukacyjnych w formie elektronicznej, przeznaczonych na urządzenia mobilne;
- należy zwrócić uwagę, by działania edukacyjne prowadzić dłużej. Porada edukacyjna trwająca 15-20 minut wydaje się za krótka, by mogła wywrzeć wpływ na zmianę zachowań odbiorcy;
- przy założeniu, że w drugiej części programu weźmie udział 102 000 osób, należałoby zweryfikować, czy utworzenie jedynie 10 mobilnych zespołów medycznych będzie wystarczające;
- autorzy projektu (str. 33) szacują, że u 72% osób wystąpi co najmniej 1 czynnik ryzyka (72 000 osób), natomiast na stronie 69 projektu napisali, że 1 czynnik ryzyka wystąpi u 24,3% osób (24 786 osób) oraz że więcej niż 1 ryzyko zdrowotne wystąpi u 67,3% osób (68 646 osób). Sumując te wartości oszacowań, liczba osób wyniesie 93 000. Koszty projektu na poziomie III zostały przedstawione dla 93 000. Obliczenia te wymagają wyjaśnień;

- *na str. 44 projektu wspomniano o możliwości kontynuowania współpracy z edukatorem zdrowotnym. Nie podano, na jakich zasadach miałyby się to odbywać. Należy to wyjaśnić;*
- *należy pamiętać, że ewaluacja powinna być prowadzona jedynie po zakończeniu programu, a w trakcie jego trwania prowadzi się działania związane z monitoringiem (tabela 41 projektu nie wskazuje na to jednoznacznie);*
- *należy przedstawić wskaźniki dotyczące jakości;*
- *należy wyjaśnić, dlaczego koszt cateringu prowadzonego w ramach szkolenia pielęgniarek ma być dwukrotnie wyższy w porównaniu z kosztem cateringu podczas szkolenia lekarzy.*

Autorzy projektu zwracają uwagę, że program wpisuje się w obszar działań wymienionych w Narodowym Programie Zdrowia na lata 2016-2020. Zalicza się do nich m.in. zmniejszenie nierówności społecznych w zdrowiu.

Wytyczne, m.in. te z zakresu profilaktyki chorób sercowo-naczyniowych, podkreślają, by przy planowaniu badań przesiewowych dołożyć starań, aby w pierwszej kolejności objąć programem grupę największego ryzyka.

Niniejszy program kierowany jest do pracowników większych zakładów pracy, a więc osób z relatywnie lepszym dostępem do świadczeń zdrowotnych niż osoby z małych zakładów pracy, osoby niepracujące/bezrobotne, nie wspominając o bezdomnych. Z założenia poprawi zatem dostęp do usług medycznych adresatom programu, zwiększając nierówność tego dostępu w odniesieniu do pozostałych grup.

Rada proponuje też zmianę tytułu programu na „Regionalny Program Polityki Zdrowotnej Województwa Podlaskiego ukierunkowany na poprawę zdrowia osób pracujących w województwie podlaskim”.

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu OT.441.241.2016 „„Regionalny Program Polityki Zdrowotnej Województwa Podlaskiego ukierunkowany na wzmocnienie potencjału zdrowia osób pracujących w województwie podlaskim” realizowany przez: Województwo Podlaskie”, styczeń 2017 oraz Aneksów do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki raka piersi – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2015 r., „Programy wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego – wspólne podstawy oceny” z listopada 2016 r., „Profilaktyka i wczesne wykrywanie nowotworów jelita grubego – wspólne podstawy oceny” z maja 2015 r., „Wykrywanie wczesnych zmian nowotworowych górnych dróg oddechowych – wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2013 r., „Programy wczesnego wykrywania raka płuca – wspólne podstawy oceny” z maja 2014 r., „Programy profilaktyki chorób od stresowych” ze stycznia

2011 r., „Programy z zakresu profilaktyki chorób sercowo-naczyniowych – wspólne podstawy oceny” z lutego 2013 r., „Wczesne wykrywanie otępień lub innych zaburzeń funkcji poznawczych – wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2013 r., Programy zdrowotne z zakresu zdrowia psychicznego – wspólne podstawy oceny” z lutego 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 5/2017 z dnia 9 stycznia 2017 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki III stopnia dla pacjentów po ostrych zespołach wieńcowych w województwie kujawsko-pomorskim”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki III stopnia dla pacjentów po ostrych zespołach wieńcowych w województwie kujawsko-pomorskim” pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem opinii jest program polityki zdrowotnej planowany na okres 3 lat, z zakresu rehabilitacji kardiologicznej, współfinansowany z Europejskiego Funduszu Społecznego, realizowany na terenie woj. kujawsko-pomorskiego. Program odnosi się do ważnego problemu zdrowotnego oraz realizuje następujące priorytety zdrowotne: zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu chorób naczyniowo-sercowych, w tym zawałów serca i udarów mózgu.

Program przewiduje działania w zakresie edukacji zdrowotnej pacjentów po OZW, a także rehabilitację kardiologiczną, a świadczenia oferowane w ramach programu uzupełniałyby świadczenia finansowane w ramach NFZ. Cel główny obejmuje zmniejszenie liczby powtórnych OZW (o 10%) oraz zgonów (o 10%) u pacjentów poddanych interwencji w ciągu 36 miesięcy od włączenia do programu. Wnioskodawca przedstawił oczekiwane efekty programu, korespondujące z założonymi celami.

Przedstawione mierniki efektywności w większości odpowiadają postawionym celom. Program adresowany jest do wszystkich dorosłych pacjentów do 64 r.ż. hospitalizowanych z powodu OZW, do lekarzy i pielęgniarek z oddziałów szpitalnych oraz przychodni kardiologicznych oraz lekarzy POZ z woj. kujawsko-pomorskiego, grupa docelowa programu tj. pacjenci po OZW, jest prawidłowa i zgodna z zaleceniami PTK. Na podstawie danych epidemiologicznych przedstawionych przez wnioskodawcę, wydaje się, że programem będą mogli zostać objęci wszyscy pacjenci po OZW. Dodatkowo działaniami edukacyjnymi zostaną objęte rodziny tych pacjentów. Edukacją planuje się objąć



ok. 50 lekarzy i 100 pielęgniarek rocznie z oddziałów szpitalnych oraz przychodni kardiologicznych i około 300 lekarzy POZ z terenu województwa. Ocena efektywności programu (skuteczność interwencji) przyjmie formę anonimowej ankiety telefonicznej, przeprowadzanej za zgodą uczestnika programu po 3, 6 i 12 miesiącach od momentu włączenia do programu.

Przedstawiony budżet został opisany zgodnie ze schematem programu rekomendowanym przez Agencję. Przedstawiono roczny koszt programu oraz koszty całkowite na wszystkie lata realizacji. Kosztorys zawiera również koszty jednostkowe szkoleń dla personelu medycznego, koszty współpracy edukatorów z pacjentami, poradnictwa dietetycznego, opieki psychologicznej, koszty ewaluacji programu. Koszty ćwiczeń rehabilitacyjnych oraz badań (EKG, próba wysiłkowa, echo serca, badania biochemiczne) przedstawiono w przeliczeniu na 1 uczestnika.

Oceniany program został przygotowany w oparciu o „Kompleksową rehabilitację Kardiologiczną, Stanowisko komisji ds. Opracowania Standardów Rehabilitacji Kardiologicznej Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego” i jest zgodny z jego założeniami oraz w oparciu o „Projekt modelowego programu zdrowotnego w zakresie profilaktyki wtórnej u pacjentów po ostrych zespołach wieńcowych” autorstwa CEESTAHC. Założenia programu są zgodne z wytycznymi: BACPR 2012, AACVPR/AHA 2012, NICE 2013, 2015; PTK 2013.

Podsumowując, projekt zawiera niezbędne elementy, wymaga jednak pewnych korekt:

- w celu wykazania efektywności programu wartości wskaźników powinny być określone zarówno przed, jak i po realizacji programu,
- wskazane jest uzupełnienie, jakiego rodzaju treści edukacyjne będą przekazywane podczas spotkań edukacyjnych, a także w jakiej formie będą przekazywane,
- konieczne jest sprecyzowanie rodzaju interwencji rehabilitacyjnych, jakie będą realizowane w ramach programu, zgodnie ze schematem programu polityki zdrowotnej rekomendowanym przez Agencję,
- konieczne jest sprecyzowanie, jaki zakres pytań będzie obejmować ankieta monitorowania efektywności programu, która będzie przeprowadzana po 3, 6 i 12 miesiącach od momentu włączenia do programu,
- wskazane jest większe zróżnicowanie wynagrodzeń za działania związane z kontaktem z pacjentem (6 zł za kontakt telefoniczny i 10 zł za kontakt osobisty), wskazane jest także wskazanie, w jaki sposób będzie prowadzone monitorowanie jakości kontaktów.

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu OT.441.243.2016 „Program profilaktyki III stopnia dla pacjentów po ostrych zespołach wieńcowych w województwie kujawsko-pomorskim” realizowany przez: Województwo kujawsko-pomorskie”, styczeń 2017 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2016 r.