



Rada Przejrzystości
działająca przy
Prezesie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Protokół nr 4/2017
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 30 stycznia 2017 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT)

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada), obecni na posiedzeniu:

1. Marzanna Bieńkowska
2. Andrzej Kokoszka
3. Agata Maciejczyk
4. Konrad Maruszczyk
5. Tomasz Pasierski – prowadził posiedzenie
6. Zbigniew Szawarski
7. Piotr Szymański
8. Janusz Szyndler
9. Andrzej Śliwczyński

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Rafał Suwiński

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego L-CARNITINE CRISTALINE, we wskazaniach: 3-metylokrotonylo-glicynuria - MCC; acyduria glutarowa I - GA I; acyduria izowalerianowa - IVA; acyduria metylomalonowa - MMA; acyduria propionowa - PA; deficyt translokazy karnityny - CACT; deficyt transportera karnityny (pierwotny deficyt karnityny) – CUD.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego: XMTVI MAXAMAID oraz XMTVI MAXAMUM we wskazaniach: acyduria metylomalonowa - MMA, acyduria propionowa - PA.
6. Przygotowanie opinii na temat projektów programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Wczesna wielospecjalistyczna i kompleksowa opieka nad dzieckiem zagrożonym niepełnosprawnością lub niepełnosprawnym z terenu Gminy Nędza”,



- 2) „Program polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki raka gruczołu krokowego na terenie Miasta Kalisza”,
 - 3) „Program profilaktyki boreliozy w powiecie słupeckim”.
7. Przygotowanie opinii na temat projektów programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego, współfinansowanych ze środków UE w ramach EFS:
- 1) „Program profilaktyki chorób odkleszczowych i eliminowanie skutków ich występowania w najbardziej zagrożonych grupach ryzyka województwa podlaskiego”,
 - 2) „Program wykrywania zakażeń *Borrelia burgdorferi* wśród mieszkańców województwa lubelskiego ze szczególnym uwzględnieniem grup ryzyka jako profilaktyka boreliozy z Lyme na lata 2017 - 2019”.
8. Przygotowanie opinii odnośnie efektywności:
- 1) produktów leczniczych zawierających ezetimib w połączeniu z atorwastatyną, z grupy limitowej 48.0, Leki hamujące wchłanianie cholesterolu z przewodu pokarmowego [30%],
 - 2) produktów leczniczych z grupy limitowej 168.0, Leki stosowane w chorobie Parkinsona - leki doustne zawierające lewodopę z inhibitorem dekarboksylazy [R],
 - 3) produktów leczniczych z grupy limitowej 171.0, Leki stosowane w chorobie Parkinsona – selegilina [R],
- wydawanych [obecnie] z odpłatnością ryczałtową lub 30%, z uwzględnieniem ich limitu finansowania, w populacji osób powyżej 75 roku życia, w formie rankingu ww. leków z uwzględnieniem:
- a) znaczenia jednostki chorobowej w ramach potrzeb zdrowotnych pacjentów z populacji powyżej 75 r.ż. na podstawie podręczników medycznych, danych o chorobie, obciążeniu pacjenta chorobą, tj. wpływem choroby podstawowej na stan pacjenta – w skali od 0 do 1;
 - b) skuteczności i bezpieczeństwa oraz siły zaleceń dotyczących stosowania leku na podstawie najnowszych rekomendacji klinicznych – w skali od 0 do 1;
 - c) aktualnej dostępności dla świadczeniobiorców do wskazanych terapii w oparciu o wielkość dopłat do wymienionych leków – w skali od 0 do 1.
9. Losowanie składów Zespołów na kolejne posiedzenia Rady.
10. Zamknięcie posiedzenia.

Ad 1. Posiedzenie o godzinie 10:03 otworzył Przewodniczący Rady Tomasz Pasierski.

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

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

Ad 4. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z opracowania nr: OT.431.4.2016 L-Carnitine Cristalline we wskazaniach: 3-metylokrotonyloglicynuria – MCC; acyduria glutarowa I – GA I; acyduria izowalerianowa – IVA; acyduria metylomalonowa – MMA; acyduria propionowa – PA; deficyt translokazy karnityny – CACT; deficyt transportera karnityny; (pierwotny deficyt karnityny) – CUD. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację”.

Andrzej Śliwczyński zadał pytanie analitykowi dlaczego nie można stosować suplementów diety, które są obecne na rynku, a których cena jest 81 razy niższa niż omawianego środka.

W odpowiedzi analityk poinformował członków Rady, że w opinii ekspertów, badany produkt l-karnityna krystaliczna jest czystą postacią l-karnityny i dlatego ma przewagę nad dostępnymi w Polsce suplementami.



Andrzej Śliwczyński zauważył, że wcale czystą nie jest, bo przecież badania, które są dostępne nie wskazują, że było z zastosowaniem czystej l-karnityny.

Analitik potwierdził, że w badaniach nie odnaleźli potwierdzenia tego, iż były wykonywane one przy użyciu czystej L-karnityny, ale eksperci w swoich opiniach pozostawali jednogłośni, że ich zdaniem ma to znaczenie.

Tomasz Pasierski podkreślił, że jego zdaniem z punktu widzenia lekarskiego, jest to absolutnie udowodnione postępowanie medyczne, co do tego nie ma wątpliwości, że to pomaga, że to leczy, że to chroni przed rozwojem powikłań. Natomiast może jest to tak oczywiste, że nie ma badań randomizowanych.

Piotr Szymański zauważył, że badania nie odnoszą się do konkretnego preparatu w tym przypadku tylko do suplementacji karnityny. A Rada ma odpowiedzieć na pytanie dotyczące refundacji bardzo drogiego preparatu.

Tomasz Pasierski dodał, że członkowie Rady nie mają wątpliwości, że suplementacja karnityną pomaga i powinna być jakoś dostępna, trzeba się jednak dobrze zastanowić nad refundacją tak drogiego preparatu.

Następnie swoją propozycję opinii przedstawiła Agata Maciejczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska. Stwierdziła, że przedmiotem oceny jest leczenie chorób rzadkich będących wrodzonymi uwarunkowanymi genetycznie wadami metabolizmu i diagnostyka tych chorób w Polsce dostępna jest w ramach programu badań przesiewowych noworodków. Dotyczy to w Polsce niewielkiej liczby pacjentów, około 50 i przybywa rocznie 10-15 nowych przypadków. Karnityna ma swoją pozycję w leczeniu tych wszystkich chorób i w opinii ekspertów, i na podstawie odnalezionych wytycznych klinicznych, nie ma technologii alternatywnej we wskazaniach dla l-karnityny w tych chorobach. Jej rola jest zróżnicowana, bo jeżeli chodzi o deficyt transportera karnityny, to jest to lek podstawowy w tej chorobie i suplementacja karnityną eliminuje objawy takie jak kardiomiopatia czy hepatopatia, i powinna być podawana pacjentowi przez całe życie. Natomiast w acyduriach organicznych istotą leczenia metabolicznego jest terapia złożona, oparta na postępowaniu dietetycznym, w tym na suplementacji karnityny, ale również innych aminokwasów w zależności od choroby. Dzięki suplementacji karnityną zapobiega się występowaniu wtórnego niedoboru, którego skutki takie jak hipoglikemia, stłuszczenie narządów, zaburzenia detoksykacji nieprawidłowych metabolitów – stanowią powikłania choroby podstawowej. Można wnioskować raczej na podstawie wytycznych i tego co mówią eksperci, a mniej na podstawie badań, bo są to badania słabej jakości. Ale wszystkie wytyczne mówią o zasadności suplementacji karnityny. Jeżeli chodzi o sam preparat to od strony farmaceutycznej, jest tak, że suplement diety nie podlega takim standardom jakościowym jak leki i żywność specjalnego przeznaczenia. W związku z tym kontrola tych preparatów jest zupełnie inna i zdarzają się przypadki, że wręcz nie ma deklarowanej substancji w suplemencie diety.

W trakcie dalszej dyskusji powiedzieli: T.Pasierski: może refundację zawęzić do tej grupy, która najlepiej działa tzn. do deficytu transportera? A.Maciejczyk: ale w tych innych chorobach też trzeba podawać, bo to zapobiega powikłaniom choroby podstawowej; T.Pasierski: no to musimy się zdecydować, czy w ogóle jesteśmy za, czy uważamy, że to jest zbyt drogie i można sobie kupić suplement; M.Bieńkowska: nie wiem czy dobrze rozumiem, ale tu jest też kwestia społeczna, bo jeżeli my to odrzucimy i nie będzie można tego refundować pacjentom z chorobami rzadkimi, bo tak to należy powiedzieć, to w takiej sytuacji pacjent będzie musiał sam kupić czy sprowadzić z USA i zapłacić jeszcze koszty przesyłki; A.Maciejczyk: wiele tych preparatów, które są na rynku ma domieszki różnych innych produktów, które nie są wskazane do stosowania niemowlętom;

K.Maruszczyk: jestem raczej na nie, jeśli chodzi o finansowanie czegoś co jest osiemdziesiąt razy droższe, co może być u nas kupione to nie znajduję tutaj poparcia; Zb. Szawarski: jestem przeciwny, to tylko sprzedawanie nadziei; T.Pasierski: w Polsce są dostępne dużo tańsze formy tej karnityny, po znacznie niższej cenie niż wnioskowany produkt; P.Szymański: proponuję, żeby po prostu decyzja była negatywna, taki jest mój punkt widzenia i odłożona do czasu, do którego nie zostaną przeprowadzone prace, które pozwolą nam stwierdzić, czy na rynku polskim nie istnieje możliwość zapewnienia dostępności czystej krystalicznie karnityny w zdecydowanie niższej cenie. Czyli krótko mówiąc, decyzja jest negatywna nie dlatego, że ten lek nie pomaga, tylko dlatego, że do podjęcia racjonalnej decyzji o tym jaki produkt refundować nie mamy wystarczającej ilości danych dotyczącej rynku l-karnityny. Czyli dzisiejsza decyzja byłaby negatywna w związku z brakiem ilości wystarczających danych, na temat technologii o porównywalnej skuteczności, natomiast w dużo mniejszej cenie. Są uzasadnione przesłanki na to, żeby stwierdzić, że takie technologie wielokrotnie tańsze istnieją; A.Śliwczyński: Rada może chyba zasugerować Ministrowi Zdrowia dodanie l-karnityny do listy substancji, z których wykonywane są leki apteczne; T.Pasierski: czyli dostępność l-karnityny wzrosłaby poprzez umieszczenie jej na liście substancji czynnych.

Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za projektem opinii Rady, przy 1 głosie przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 5. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z opracowania nr: OT.431.5.2016 XMTVI Maxamaid i XMTVI Maxamum we wskazaniach: Acyduria metylomalonowa – MMA; Acyduria propionowa – PA. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację”.

Następnie propozycję swojego pozytywnego stanowiska przedstawił Andrzej Kokoszka, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska. Uzasadnił je faktem, że oceniane preparaty należą do środków spożywczych stosowanych w bardzo rzadkich chorobach i w sytuacji kiedy zostały wyczerpane inne metody.

Andrzej Śliwczyński zgłosił wątpliwości dotyczące cen, tzn. ceny obu omawianych preparatów są wyliczone, natomiast członkowie Rady nie mają informacji, jakie są ceny dla preparatów równorzędnych.

Piotr Szymański poinformował członków Rady o cenie omawianych środków spożywczych, którą odnalazł podczas dyskusji w sklepach internetowych.

Tomasz Pasierski stwierdził, że przed chwilą Rada oceniała produkt, który na pewno działał, nie było żadnych wątpliwości, że działa medycznie, ale były alternatywne formy, które można było kupić taniej. To było przesłanką do wydania negatywnej opinii.

Andrzej Śliwczyński zaprotestował, stwierdzając że jest dużo postaci alternatywnych, które wskazali podczas prezentacji analitycy.

Konrad Maruszczyk wtrącił, że Rada nie ma informacji ile one kosztują i czy rzeczywiście omawiane środki są akurat najtańszą postacią.

Tomasz Pasierski dodał, że ponieważ Rada nie ma danych o cenach tych produktów, więc nie może sformułować podobnego wniosku jak w przypadku wcześniej omawianego środka. Rada może przychylić się do propozycji A.Kokoszki i sformułować wniosek pozytywny, albo odrzucić go z powodu zupełnie innych argumentów.

W trakcie dalszej dyskusji powiedzieli: A. Śliwczyński: może uznajmy w takim razie, że diety eliminacyjne w tych schorzeniach powinny się opierać o środki specjalnego przeznaczenia

żywieniowego o najniższej cenie? No bo to jest pewnego rodzaju niezgodność. Tam mówiliśmy, że produkt jest za drogi, a tutaj mamy środki o podobnym składzie tyle tylko, że tańsze, no i też niedostępne. Dlaczego akurat mamy sprowadzać na import docelowy ten a nie inny środek? Zb.Szawarski: chciałbym zakwestionować argument o niskiej liczbie pacjentów, który znajduje się w przedstawionym projekcie stanowiska, bo gdybyśmy mieli pacjenta jednego tylko w Polsce, dla którego istnieje super nowoczesna terapia rzędu np. 5 mln dolarów, czy byłoby to usprawiedliwienie dla akceptacji tej terapii? A.Kokoszka: nie chodzi o terapię tylko o producenta, producent który produkuje leki dla chorób rzadkich, ma przez to dużo niższy zysk i przez to te ceny są wyższe niż producent leku, sprzedawanego w setkach tysięcy; Zb.Szawarski: to prawda, ale czy my powinniśmy spełniać wszystkie warunki producenta tylko dlatego, że produkuje taki lek? T.Pasierski: wydaje mi się, że kluczową informacją jest w tej chwili ile kosztuje ta alternatywa, to znaczy o ile ten lek można by kupić taniej; A.Słiwczyński: zgadzam się, że bardzo niska liczba pacjentów nie jest przesłanką do tego, że jesteśmy w stanie ponieść wysokie koszty; T.Pasierski: niska liczba pacjentów wskazuje na niski budget impact i to wszystko. A budget impact jest jednym z elementów naszej oceny; analityk: tu jest jeszcze kwestia tych bardzo słabych badań i słabych wyników tych badań, w jednym z nich autorzy wskazali, że nie należy stosować tych mieszanek aminokwasów; T.Pasierski: właśnie, hamują wzrost i nie powinno się dawać małym dzieciom, może zastanówmy się nad stanowiskiem negatywnym; A.Kokoszka: zwracam uwagę, że wszyscy eksperci są jednoznacznie i jednomyślnie za; P.Szymański: tego rodzaju środki opiniowaliśmy już kilkakrotnie i sama zasada stosowania takich suplementów nie budzi wątpliwości, a w tym przypadku w odróżnieniu od l-karnityny, która jest dostępna zupełnie za grosze, takiego problemu nie ma. Natomiast wydaje mi się, że tutaj najbardziej istotnym problemem jest wycena substancji znajdująca się w raporcie. Nie zgadza się ona z tą, którą widzimy w sprzedaży, w sklepach internetowych gdzie jest ponad dwukrotnie niższa. Może po prostu zgodę należy obwarować warunkiem takim, że zgody powinny być udzielane po dokładnym sprawdzeniu ceny u dostawcy i po akceptacji produktu sprzedawanego po możliwie najniższej cenie.

Kończąc dyskusję Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 6 głosami za projektem opinii Rady, przy 3 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 6. 1) Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.256.2016 „Wczesna wielospecjalistyczna i kompleksowa opieka nad dzieckiem zagrożonym niepełnosprawnością lub niepełnosprawnym z terenu Gminy Nędza”.

Następnie swoją propozycję opinii przedstawiła Marzanna Bierkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Przyznała, że ocena jest niejednoznaczna i miała duży dylemat, ponieważ zdaje sobie sprawę z faktu, że jeżeli chodzi o rehabilitację, zwłaszcza dzieci, to dostęp do tej niej jest bardzo mały. Do projektu zgłosiła wiele negatywnych uwag, szczegółowo opisanych w przedstawionym projekcie opinii. Skłaniałaby się jednak ku ocenie pozytywnej, pod warunkiem uwzględnienia przez realizatora wszystkich uwag Rady.

Piotr Szymański wyraził wątpliwość, czy to jest w ogóle inicjatywa realizowalna i czy można powiedzieć o jakimś programie, że istnieje jeśli nie wiadomo ile pieniędzy ktoś jest w stanie przeznaczyć na ten program. Program po prostu nie ma budżetu, jedynie kosztorys.

Tomasz Pasierski dodał, że zasada zawsze była taka, że Rada nie akceptuje programów bez budżetów całkowitych, budżet jest warunkiem koniecznym.

Analityk przypomniał, że od lipca 2016 r. jednostki samorządu terytorialnego mają możliwość kupowania po prostu świadczeń od Narodowego Funduszu Zdrowia. Jeśli chodzi akurat o rehabilitację to droga jest otwarta.

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.

2) Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.270.2016 „Program polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki raka gruczołu krokowego na terenie Miasta Kalisza”.

Następnie swoją propozycję opinii przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponowała opinię negatywną ponieważ rekomendacje są zgodne co do tego, że prowadzenie badań przesiewowych w kierunku raka gruczołu krokowego w populacji bezobjawowych mężczyzn, nie ma uzasadnienia. Błędem jest również potraktowanie przez wnioskodawcę jako badania przesiewowego tylko badanie per rectum, i to przed tym badaniem zamierza informować uczestników o potencjalnych korzyściach i ryzyku związanym z badaniem przesiewowym. Natomiast badanie PSA ma być wykonane przed konsultacją urologiczną, bez poinformowania pacjenta nt. korzyści i ryzyka związanego z tym badaniem. Jest to postępowanie niezgodne z rekomendacjami.

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.

3) Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.254.2016 „Program profilaktyki boreliozy w powiecie słupskim”.

Następnie swoją propozycję opinii przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponowała opinię pozytywną pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady opisanych szczegółowo w projekcie opinii.

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 7. 1) Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.261.2016 „Program profilaktyki chorób odkleszczowych i eliminowanie skutków ich występowania w najbardziej zagrożonych grupach ryzyka województwa podlaskiego”.

Następnie swoją propozycję pozytywnej opinii przedstawił Zbigniew Szawarski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Stwierdził, że jest to bardzo przyzwoity program, posiadający jednak pewne mankamenty. Niejasne jest, i nie wiadomo w jaki sposób i na jakiej podstawie leśnicy zostali wyłączeni z tego programu. Jest tu duża niekonsekwencja, ponieważ podstawą decyzji o wyłączeniu leśników jest ustawa o zapobieganiu i zwalczaniu zakażeń i chorób zakaźnych, w ramach której koszty szczepień ponosi pracodawca. AOTMiT nigdy nie oceniał żadnego programu samorządowego czy resortowego dotyczącego działań profilaktycznych w tej grupie ryzyka. Ustawa do grupy ryzyka zalicza wszystkie zawody, które obejmuje oceniany projekt. Niekonsekwencji i sprzeczności jest więcej, nie wiadomo np. na czym ma polegać zapewnienie co najmniej 60 podmiotom gospodarczym sektora rolnictwa, łowiectwa i rybactwa możliwości współpracy z podmiotem sektora Podstawowej Opieki Zdrowotnej. Nie wiadomo na jakiej podstawie zostanie dokonana ocena stopnia tej współpracy. Zakwestionował części składowe, etapy i działania organizacyjne. Brak jest kryteriów wyboru organizatora czy realizatora programu. Nie wiadomo jakie działania będą najpierw, jakie potem. Czy przewidywane szczepienia w tych trzech najbardziej narażonych na infekcje kleszczem powiatach będą liczyły się w ogólnym rachunku edukacyjno-profilaktycznym. Nie jest jasne co ma na myśli wnioskodawca. Czy mówi o wyszczepialności, czy o działaniach edukacyjnych kierowanych do 60% populacji? Kogo ma wtedy na myśli? Czy mieszkańców powiatu, trzech powiatów czy całą populację województwa

podlaskiego? Nie jest również dostatecznie jasno i ściśle przygotowana część dotycząca akcji informacyjno-edukacyjnej i szkoleń. Z jednej strony nie ma rolników, ani leśników w tej akcji, a z drugiej strony zaprasza się do udziału wszelkie podmioty gospodarcze, które obejmują swoim zakresem także leśników i wszystkie gospodarcze organizacje zajmujące się leśnictwem. Zasadnicze obiekcje budzi przygotowana i załączona do programu ankieta, bardzo obszerna, którą każdy ma wypełnić i dostarczyć organizatorom. Ale postulat jest taki, żeby ankietę tę wypełniano w obecności lekarza, który wyjaśni, podpowie, poradzi. Co więcej wnioskodawca podaje również, że w wyniku przeprowadzenia ankiety możliwe będzie wyodrębnienie kohorty wymagającej przeprowadzenia szybkiej interwencji oraz, że zorganizowana zostanie możliwość wizyty profilaktycznej dla pracowników wraz z szybką interwencją, ale nie wiadomo co to jest owa szybka interwencja i na czym ma polegać. Wnioskodawca stosuje zamiennie pojęcia monitorowanie i ewaluacja. Chciałby dokonać ewaluacji dwa razy w trakcie programu – w połowie i na końcu. Gdy tymczasem to jest czynność, którą z reguły czyni się na samym końcu po zakończeniu programu. Wnioskodawca przedstawił koszty, ponad 4 mln zł, w rozbiciu na poszczególne etapy i działania przewidziane w ramach programu. Przedstawiony kosztorys zawiera jednak szereg nieścisłości dotyczących przede wszystkim kosztów liczby szkoleń oraz kosztów szczepionki. Konieczna jest zmiana tytułu, bo w projekcie w ogóle nie ma mowy o konsekwencjach i przeciwdziałaniu zakażeniom. Biorąc pod uwagę przewidywane zmiany klimatu, ocieplenie, Rada zwraca uwagę, że należy liczyć się z bardzo dynamicznym wzrostem zapadalności na boreliozę i choroby odkleszczowe. Zaproponował pozytywną ocenę programu, bo to jest absolutnie potrzebny program, niezbędny. Warunki, które podał są jego zdaniem bardzo łatwe do spełnienia.

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.

2) Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.273.2016 „Program wykrywania zakażeń *Borrelia burgdorferi* wśród mieszkańców województwa lubelskiego ze szczególnym uwzględnieniem grup ryzyka, jako profilaktyka boreliozy z Lyme na lata 2017-2019”.

Następnie swoją propozycję opinii przedstawił Konrad Maruszczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponował opinię pozytywną pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady. Program został skonstruowany jasno i przejrzysto, i opiera się na wiarygodnych i sprawdzonych informacjach. Uwagi dotyczą konieczność wyjaśnienia niektórych kwestii, np. wskazania jakie wyniki ankiet przeprowadzanej wśród osób zgłaszających się decydować będą o zakwalifikowaniu do udziału w programie czy doprecyzowania oraz uzupełnienia informacji dotyczących kosztów jednostkowych.

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. Tomasz Pasierski zaproponował, aby Rada procedowała w podobny sposób jak podczas poprzednich posiedzeń, kiedy wydawano opinie w sprawie efektywności oraz przygotowania danych do rankingu produktów leczniczych w populacji osób powyżej 75 roku życia tj. aby po przedstawieniu przez członków Rady prowadzących określone tematy (substancje czynne) podsumowań danych analitycznych, każdy z uczestników posiedzenia sformułował na piśmie, w dostarczonym formularzu, własne oceny (w skali 0-1), z których następnie zostaną wyliczone średnie.

Piotr Szymański przedstawił podsumowanie informacji nt. produktów leczniczych zawierających ezetimib w połączeniu z atorwastatyną, z grupy limitowej 48.0, Leki hamujące wchłanianie cholesterolu z przewodu pokarmowego. Stwierdził, że: opinia dotyczy właściwie wszystkich

pacjentów powyżej 75 r.ż. z hipercholesterolemią, z zaburzeniami lipidowymi. Określenie znaczenia jednostki chorobowej dla tak zróżnicowanej grupy jest niezwykle trudne, dlatego że obejmuje, w odniesieniu do tej szczególnej grupy leków, osoby poddane prewencji pierwotnej, czyli nie mającej wywiadu istotnych chorób układu sercowo-naczyniowego i prewencji wtórnej, czyli osób, które taki wywiad mają. Sytuacja tych osób już w populacji ogólnej jest bardzo zróżnicowana, a tym bardziej populacji osób po 75 r.ż. W 2015 roku w Polsce przeciętne dalsze trwanie życia 75-letniego mężczyzny oszacowano na 10 lat, a kobiety na 12,5 roku. W oparciu o najbardziej znane badanie z zastosowaniem ezetimibu tj. badanie Improve-it stwierdził, że dla części osób znajduje się blisko granicy przeżywalności. Podstawowym problemem utrudniającym określenie znaczenia jednostki chorobowej w ramach potrzeb zdrowotnych tej populacji jest taki, że jest to grupa szalenie niejednorodna. Analitycy także nie wskazali znaczenia tej jednostki chorobowej, wskazując jednostki zastępcze tzn. dusznicę bolesną, ostry zawał serca i inne powikłania choroby wieńcowej. Zapewne można byłoby to ważyć w jakiś sposób, osobiście starał się zrobić to arbitralnie i odniósł się jako do uśrednionego wskaźnika dla duszniczy bolesnej. Populacja obejmuje także osoby, dla których hipercholesterolemia w wieku 75+ czy 80 lat jeśli są w prewencji pierwotnej najprawdopodobniej nie ma istotnego znaczenia dla rokowania. Perspektywa lecznicza musi być co najmniej 7-letnia, żeby myśleć o wymiernych efektach dla tej kombinacji leków. Proponuje, żeby to było porównywalne z dusznicą bolesną, jego zdaniem jest to i tak niezwykle liberalne określenie znaczenia jednostki chorobowej w tej populacji. Są wątpliwości czy zwłaszcza u osób po 80 r.ż. hipercholesterolemia ma znaczenie, z całą pewnością nie ma znaczenia dla osób z czasem przeżycia krótszym niż jeden rok. Co oczywiście dla części ze starszych osób z populacji 75+ ma miejsce i dla osób z licznymi chorobami innymi, nie współistniejącymi tylko kompetencyjnie występującymi w stosunku do hipercholesterolemii.

Tomasz Pasierski zauważył, że ezetymib miał być lekiem, który będzie alternatywą do statyn, ale do tej pory nie udowodnił swojej mocy. Jego zdaniem, rola preparatów złożonych jest bardzo ograniczona. Kombinacja z atorwastatyną jest najsilniejszą baterią antycholesterolową jaka jest znana w tej chwili w przyrodzie, z wyjątkiem być może inhibitorów PCSK9. W tej grupie wiekowej nie ma żadnych dowodów, że takie ostre obniżanie cholesterolu coś daje.

Kontynuując Piotr Szymański stwierdził, że poza skutecznością, w stosunku do której brakuje dowodów nawet na wcześniejszym etapie, tzn. u osób starszych nie wiadomo czy nawet wyższe dawki statyn są skuteczne, problemem przy tych lekach jest ich toksyczność. Jeśli przyjrzeć się rekomendacjom dotyczącym osób starszych i toksyczności, to ani będąca składnikiem tego leku atorwastatyna nie jest lekiem z wyboru w populacji geriatrycznej, ani też wysokie dawki, nie są zalecanymi dawkami w tej populacji. Po 80 r.ż. w ogóle sprawa staje się całkowicie wątpliwa i zdecydowanie mniejszy kłopot z oceną byłby, gdyby opinia miała być zawężona do prewencji wtórnej.

Tomasz Pasierski zauważył, że byłoby prościej gdyby to tylko dotyczyło ezetimibu, wówczas można powiedzieć, że chory nie toleruje statyn, a musi mieć obniżony cholesterol, ale preparat złożony bardzo zawęży możliwości. W tym przypadku zaproponował niski ranking.

Członkowie Rady wpisali w indywidualne formularze swoje oceny.

Następnie Janusz Szyndler przedstawił podsumowanie informacji nt. produktów leczniczych z grupy limitowej 168.0, Leki stosowane w chorobie Parkinsona - leki doustne zawierające lewodopę z inhibitorem dekarboksylazy oraz produktów leczniczych z grupy limitowej 171.0, Leki stosowane w chorobie Parkinsona – selegilina. Stwierdził, że lewodopa jest najbardziej efektywnym lekiem stosowanym rutynowo w leczeniu objawów choroby Parkinsona, dlatego w swoim podsumowaniu uwzględnił głównie chorobę Parkinsona, ale z pewnym odniesieniem do wskazań pozarejestacyjnych,

tzn. chorób neurodegeneracyjnych, włączając w to dystonię wrażliwą na lewodopę z racji jej podstawowego znaczenia w terapii. Lewodopa zawsze musi być podawana z inhibitorem obwodowej dekarboksylazy, stąd też to założenie. Jest to oczywiście warunek konieczny, żeby uzyskać odpowiednią skuteczność ośrodkową. Jest to lek o pierwszorzędym znaczeniu. To standardowe postępowanie w leczeniu choroby Parkinsona. Jest to lek absolutnie pierwszego wyboru. Duża część pacjentów są to właśnie osoby w starszym wieku, natomiast faktem jest, że nie ma bezpośrednich dowodów płynących z badań randomizowanych, które byłyby nakierowane konkretnie na taką podgrupę. Natomiast z racji tego, że jest to standardowe postępowanie plus jakby rozkład populacyjny choroby uważa, że to jest lek o podstawowym znaczeniu.

Selegilina – sytuacja jest troszeczkę. Jeżeli chodzi o zalecenia kliniczne w związku z selegiliną jest to lek, który dopuszcza się do stosowania jako lek pierwszorazowy we wczesnej terapii choroby Parkinsona i on jako taki może być używany również jako lek pierwszoliniowy, a także jako dodatek postaciach bardziej zaawansowanych. Natomiast nie budzi wątpliwości, że jest to środek, który ma względną skuteczność terapeutyczną niższą niż lewodopa. Selegilina wywołuje niektóre działania niepożądane, które są przyczyną częstszego odstawiania selegiliny niż lewodopy podczas terapii. To prawdopodobnie wynika z jej metabolizmu, w związku z czym jego zdaniem wartość kliniczna selegiliny jest niższa niż lewodopy.

Członkowie Rady wpisali w indywidualne formularze swoje oceny.

Następnie pracownik BOR przystąpił do wprowadzania indywidualnych ocen nadanych przez członków Rady do arkusza kalkulacyjnego w celu wyliczenia uśrednionych ocen.


Po wprowadzeniu ocen indywidualnych i wyliczeniu ocen uśrednionych Rada sformułowała treść opinii. Prowadzący zarządził głosowanie.

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

Ad 5. Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 27 lutego 2017 r.

Ad 6. Prowadzący posiedzenie Tomasz Pasierski zakończył posiedzenie Rady o godzinie 13:50.

Protokół sporządził Tomasz Pasierski
Przewodniczący Rady Przejrzystości


.....
(data i podpis)

6.3/17.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 13/2017 z dnia 30 stycznia 2017 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego L-Carnitine Cristalline we wskazaniach: 3-metylokrotonylo-glicynuria (MCC), acyduria glutarowa I (GA I), acyduria izowalerianowa (IVA), acyduria metylomalonowa (MMA), acyduria propionowa (PA), deficyt translokazy karnityny (CACT), deficyt transportera karnityny (pierwotny deficyt karnityny; CUD)

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego L-Carnitine Cristalline, fiolki á 1 g, sprowadzanego z zagranicy zgodnie z art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2008 r., Nr 45, poz. 271, z późn. zm.), we wskazaniach:

- *3-metylokrotonylo-glicynuria (MCC),*
- *acyduria glutarowa I (GA I),*
- *acyduria izowalerianowa (IVA),*
- *acyduria metylomalonowa (MMA),*
- *acyduria propionowa (PA),*
- *deficyt translokazy karnityny (CACT),*
- *deficyt transportera karnityny (pierwotny deficyt karnityny; CUD),*

przy założeniu, że wykorzystano u pacjenta dostępne alternatywne metody leczenia lub istnieją przeciwwskazania do prowadzenia terapii z użyciem takich metod.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest leczenie chorób rzadkich będących wrodzonymi uwarunkowanymi genetycznie wadami metabolizmu. Diagnostyka tych chorób w Polsce dostępna jest w ramach programu badań przesiewowych noworodków na lata 2015-2018. Liczba chorych w Polsce szacowana jest przez ekspertów na około 50 pacjentów, a orientacyjna roczna liczba nowych zachorowań na 10-15 przypadków.



W opinii ekspertów i na podstawie odnalezionych wytycznych klinicznych nie ma technologii alternatywnej w tych wskazaniach dla L-karnityny.

Istotą leczenia metabolicznego jest terapia złożona (acydurie organiczne) oparta na postępowaniu dietetycznym, suplementacji karnityny, ewentualnie innych aminokwasów w zależności od choroby oraz leczeniu objawowym powikłań.

Pierwotny deficyt karnityny (CUD) wymaga podawania karnityny, ponieważ suplementacja całkowicie eliminuje objawy (kardiomiopatia, hepatopatia).

W pozostałych jednostkach chorobowych suplementacja karnityną zapobiega wystąpieniu wtórnego niedoboru, którego skutki – hipoglikemia, stłuszczenie narządów wewnętrznych (wątroba), zaburzenia detoksykacji nieprawidłowych metabolitów – stanowią powikłanie choroby podstawowej.

3-metylokrotonylo-glicynuria – Nie wszyscy pacjenci mają objawy choroby i wymagają leczenia, ale u niektórych chorych może być konieczna suplementacja doustną L-karnityną.

Nie odnaleziono badań wysokiej jakości. Badania wskazują niejednoznacznie na rzeczywistą skuteczność L-karnityny w normalizacji poziomu L-karnityny we krwi i moczu. W niektórych przypadkach nie obserwowano zmian po jej podaniu (Lehnert 1996, Rutledge 1995). Ze względu na niską jakość badań wnioskowanie na ich podstawie jest niepewne, zwłaszcza w zakresie istotności klinicznej.

Acyduria glutarowa typu I – terapia tej neurometabolicznej choroby obejmuje stosowanie diety o niskiej zawartości lizyny oraz suplementację karnityną, której dawkę należy podwoić w przypadku ostrych epizodów.

We wszystkich odnalezionych wytycznych praktyki klinicznej – 4 rekomendacje N. Boy i inni 2016, BIMDG 2013 (Wielka Brytania), Kölker 2011 (Niemcy), EIMD (Europa) – podkreślono konieczność ciągłej suplementacji L-karnityną w dawkach zapewniających prawidłowe stężenie wolnej L-karnityny w osoczu. Podczas ostrych epizodów choroby dawkę L-karnityny należy zwiększać.

Odnaleziono 3 badania prospektywne, 3 retrospektywne i 6 opisów przypadków. Wskazano, że suplementacja karnityną zwiększała fizjologiczną detoksyfikację estru acyl-CoA i zapobiegała wtórnemu niedoborowi karnityny. Postępowanie dietetyczne i suplementacja L-karnityną ma działanie neuroprotekcyjne u pacjentów bezobjawowych. Autorzy zwracali uwagę, że wczesna diagnoza i leczenie, w tym podawanie L-karnityny, może zapobiec rozwojowi zaburzeń dystoniczno-dyskinetycznych związanych z chorobą.

Acyduria izowalerianowa – w leczeniu stosuje się suplementację L-karnityną oraz dietę ograniczającą spożycie leucyny. Terapią ratującą życie jest podawanie glicyny. Pozostałe formy leczenia są terapią objawową oraz podtrzymującą.

W wytycznych praktyki klinicznej – 1 rekomendacja BIMDG 2008(a) (Wielka Brytania) – podkreślono konieczność podawania glicyny i L-karnityny.

Odnalezione badania niskiej jakości wskazują na skuteczność suplementacji L-karnityną w podnoszeniu stężeń wolnej i całkowitej karnityny w osoczu oraz stężenia karnityny w krwinkach czerwonych. Wykazano, że wczesne rozpoczęcie terapii u chorych niemowląt bez powikłań umożliwia ich prawidłowy rozwój umysłowy.

Acyduria metylomalonowa – terapia obejmuje specjalną dietę ubogą w białko. Uzupełnieniem leczenia jest antybiotykoterapia, suplementacja karnityną i biotyną.

W wytycznych praktyki klinicznej – 2 rekomendacje Baumgartner 2014, BIMDG 2008(b) (Wielka Brytania) – zaleca się suplementację L-karnityną, podkreślając, że pełni ona ważną rolę w usuwaniu szkodliwych metabolitów organicznych.

Acyduria propionowa – Podstawę leczenia stanowi odwrócenie katabolizmu. W leczeniu hiperamonemii stosuje się benzoesan sodu, karbamylloglutaminian lub hemodializę. Ważne jest leczenie żywieniowe, w tym ograniczenie podaży białka. W detoksyfikacji stosuje się suplementację karnityną.

W wytycznych praktyki klinicznej Baumgartner 2014, BIMDG 2008(c)(Wielka Brytania) – wskazuje się na konieczność stosowania suplementacji L-karnityną. Zwraca się także uwagę na duże znaczenie leczenia L-karnityną, hydroksykobalaminą, benzoesanem sodu i doustną biotyną od momentu wystąpienia objawów do momentu pełnej diagnozy.

Deficyt translokazy karnityny – obok specjalnej diety o niskiej zawartości długołańcuchowych kwasów tłuszczowych uzupełnionej średniołańcuchowymi kwasami tłuszczowymi oraz przestrzegania zakazu długiego przebywania na czczo zalecana jest suplementacja karnityną.

W odnalezionych opisach przypadków opisano, że stosowanie odpowiedniej diety i L-karnityny było skuteczne w odwracaniu objawów klinicznych niedoboru CACT oraz znacznie poprawiło profil acylokarnityny u 4 chorych na 5. Dwóch pacjentów zmarło w wyniku powikłań choroby.

Deficyt transportera karnityny – standardowym postępowaniem jest suplementacja L-karnityną. Doustne przyjmowanie L-karnityny jest konieczne przez całe życie chorego.

Odnalezione badania niskiej jakości wskazują na skuteczność suplementacji L-karnityną w podnoszeniu stężeń wolnej i całkowitej karnityny w osoczu.

W wytycznych praktyki klinicznej – BIMDG 2008(d) (Wielka Brytania), Angelini 2006 – podkreślono, że suplementacja L-karnityną jest standardowym postępowaniem i że doustne przyjmowanie L-karnityny jest konieczne przez całe życie pacjenta.

Odnaleziono pozytywną rekomendację finansową PHARMAC 2016 (Nowa Zelandia) dotyczącą stosowania L-karnityny w wybranych chorobach metabolicznych. Odnaleziono informację, że OMH w Kanadzie refunduje L-

karnitynę w ramach programu Inherited Metabolic Diseases w acyduriach organicznych, zaburzeniach utleniania kwasów tłuszczowych, deficycie transportera L-karnityny oraz wtórnym deficycie L-karnityny.

Negatywne stanowisko Rady wynika głównie z faktu, że polscy pacjenci mogą nabyć krystaliczną L-karnitynę po znacznie niższej cenie niż wnioskowany produkt. Rada proponuje rozważenie zwiększenia dostępności L-karnityny poprzez umieszczenie jej na liście surowców farmaceutycznych stosowanych w aptekach.

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

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), w związku z art. 39 ust. 3 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 opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr OT.431.4.2016 „L–Carnitine Cristalline we wskazaniach: 3-metylokrotonylo-glicynuria – MCC, acyduria glutarowa I – GA I, acyduria izowalerianowa – IVA, acyduria metylomalonowa – MMA, acyduria propionowa – PA, deficyt translokazy karnityny – CACT, deficyt transportera karnityny (pierwotny deficyt karnityny) – CUD”, 26 stycznia 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 14/2017 z dnia 30 stycznia 2017 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego
XMTVI Maxamaid i XMTVI Maxamum we wskazaniach acyduria
metylomalonowa (MMA) oraz acyduria propionowa (PA)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego XMTVI Maxamaid, proszek 500 g, i XMTVI Maxamum, proszek 500 g, sprowadzanego z zagranicy zgodnie z art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2008 r., Nr 45, poz. 271, z późn. zm.), we wskazaniach: acyduria metylomalonowa (MMA) oraz acyduria propionowa (PA), przy założeniu, że wykorzystano u pacjenta dostępne alternatywne metody leczenia lub istnieją przeciwwskazania do prowadzenia terapii z użyciem takich metod we wskazaniu.

Uzasadnienie

Omawiane środki stosowane są w bardzo rzadkich chorobach. Badania ich skuteczności są w związku z tym stosunkowo niskiej jakości.

Oceniane preparaty należą do środków spożywczych rekomendowanych w wytycznych praktyki klinicznej we wnioskowanych wskazaniach. Trzej polscy eksperci jednoznacznie rekomendują finansowanie ze środków publicznych TVI Maxamaid we wnioskowanych wskazaniach. Dwoje z nich rekomenduje również XMTVI Maxamum.

Jednakże w opinii Rady diety eliminacyjne w tych schorzeniach powinny się opierać na środkach o najniższej cenie. Na rynku dostępne są oceniane produkty w znacznie niższej cenie.

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



Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), w związku z art. 39 ust. 3 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 opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr OT.431.5.2016 „XMTVI Maxamaid i XMTVI Maxamum we wskazaniach: Acyduria metylomalonowa – MMA, Acyduria propionowa - PA”, 26 stycznia 2016 r. (prawdopodobnie 26.01.2017 – przyp. BOR).



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

Nr 23/2017 z dnia 30 stycznia 2017 roku

o projekcie programu „Wczesna wielospecjalistyczna i kompleksowa opieka nad dzieckiem zagrożonym niepełnosprawnością lub niepełnosprawnym z terenu Gminy Nędza”

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Wczesna wielospecjalistyczna i kompleksowa opieka nad dzieckiem zagrożonym niepełnosprawnością lub niepełnosprawnym z terenu Gminy Nędza”.

Uzasadnienie

Najważniejszą przesłanką negatywnej opinii Rady jest brak całkowitego budżety programu.

Celem głównym programu zdrowotnego jest zapewnienie adresatom programu możliwości kontynuowania procesu rehabilitacji po wykorzystaniu gwarantowanych świadczeń zdrowotnych i korzystania z ponadstandardowych form wieloprofilowego leczenia, rehabilitacji i usprawniania. Ciągłość, systematyczności i kompleksowość stanowi niezbędny warunek uzyskania oczekiwanych efektów rehabilitacji i terapii. Wskazane przez wnioskodawcę świadczenia w zakresie rehabilitacji leczniczej (kinezyterapia, fizykoterapia, masaż leczniczy, hydroterapia oraz metody neurofizjologiczne, w tym metoda Vojty, NDT Bobath, Integracja sensorycznej są rekomendowane jako skuteczne. W programie realizator zostanie wyłoniony w drodze konkursu ofert. Przedstawiono kwestię, w jaki sposób uczestnicy programu będą mogli zakończyć udział w programie. Skale badań jakości i efektywności edukacji oraz instytucjonalizacja zaplecza badawczego, jakie wymieniono w programie, są powszechnie wykorzystywane w praktyce rehabilitacyjnej. Poza tym wskazana w programie terapia logopedyczna pedagogiczna jest również zalecana. Natomiast dogoterapia może stanowić wartość dodaną w odniesieniu do świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji. Jest ona powszechnie wykorzystywana we wrocławskim modelu usprawnienia (WMU). Należy jednak przy tym pamiętać, że nie odnaleziono dowodów naukowych świadczących o skuteczności ww. metody.

Projekt zawiera następujące wady:



- *Wnioskodawca częściowo określił zakres interwencji w poszczególnych grupach. Brakuje natomiast określenia, w której grupie zostaną wykorzystane interwencje: metoda Knillów, Snoezelen, terapia taktykalna czy też Makaton.*
- *W programie należałoby zdefiniować wprost jednostki chorobowe. W związku z powyższym brak jest możliwości przeprowadzenia procesu oceny w pełni zgodnie z metodologią HTA.*
- *Doprecyzowania wymaga, jakie świadczenia będą stanowić uzupełnienia, a które interwencje będą stanowić zwiększenie dostępności do świadczeń gwarantowanych. Zapisy zawarte w projekcie programu są niespójne i wzajemnie się wykluczają.*
- *W projekcie należałoby umieścić zapis mówiący o tym, że rodzaj zabiegów oraz częstość i intensywność działań będą ustalane indywidualnie przez fizjoterapeutę/logopedę/lekarza specjalistę.*
- *Autorzy określili 9 celów szczegółowych. Warto byłoby przeformułować cele określone w projekcie, tak aby były zgodne z regułą S.M.A.R.T. Dodatkowo należy zauważyć, że proponowane cele szczegółowe stanowią działania.*
- *Wskazane w programie mierniki efektywności należałoby uzupełnić o mierniki dotyczące rodziców/opiekunów dzieci, np. ocena stopnia świadomości rodziców związanej z zaburzeniami dziecka itp.*
- *W projekcie programu nie zawarto danych demograficznych ani nie określono populacji osób włączanych do programu.*
- *Dokładna liczba oraz rodzaj poszczególnych zabiegów u poszczególnych beneficjentów z określonymi schorzeniami nie zostały wskazane.*
- *Doprecyzować, czy do programu będzie wymagana pisemna zgoda rodziców/opiekunów na udział dziecka.*
- *W programie należałoby zastanowić się nad dodatkową formą informowania na temat programu, chociażby poprzez rozesłanie zaproszeń do udziału.*
- *Warte rozważenia byłoby również zaproponowanie możliwości transportu do ośrodka, w którym będzie prowadzony program lub rozważenie przeprowadzania rehabilitacji w warunkach domowych.*
- *Należałoby dodać, że zakończenie udziału powinno być możliwe na każdym etapie trwania programu.*
- *Wnioskodawca nie określił również kosztu całkowitego projektu programu. Budzą wątpliwości koszty jednostkowe. W tym np. koszty związane ze stosowaniem lampy Sollux czy też Biopton. Koszt rynkowy ok. 45 min cyklu wynosi ok. 12 zł-16 zł (50 zł według wnioskodawcy).*

.....
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 nr OT.441.256.2016 „Wczesna wielospecjalistyczna i kompleksowa opieka nad dzieckiem zagrożonym niepełnosprawnością lub niepełnosprawnym z terenu Gminy Nędza”, realizowany przez Gminę Nędza, styczeń 2017 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży” z sierpnia 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

Nr 24/2017 z dnia 30 stycznia 2017 roku

o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki raka gruczołu krokowego na terenie Miasta Kalisza”

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki raka gruczołu krokowego na terenie Miasta Kalisza”.

Uzasadnienie

Projekt programu polityki zdrowotnej dotyczy istotnych i współcześnie problematycznych kwestii wykrywania nowotworu gruczołu krokowego. Odnalezione rekomendacje są zgodne co do tego, że prowadzenie badań przesiewowych w kierunku raka gruczołu krokowego w populacji bezobjawowych mężczyzn nie ma uzasadnienia (PTOK 2013, UK NSC 2016, SEOM 2016, ESMO 2015, 2016, Prescrire 2013, 2012, 2009, Cancer Council Australia i NHMRC 2016, RACGP 2016, CTFPHC 2014, ACP 2013, NZGG 2013, USPSTF 2012, ICSI 2012, ACPM 2008). Największe wątpliwości budzi fakt, że wnioskodawca jako badanie przesiewowe traktuje tylko badanie per rectum, ponieważ to przed tym badaniem zamierza informować uczestników o potencjalnych korzyściach i ryzyku związanym z badaniem przesiewowym. Natomiast badanie PSA ma być wykonane przed konsultacją urologiczną, bez poinformowania pacjenta nt. korzyści i ryzyka związanego z tym badaniem. Jest to postępowanie niezgodne z rekomendacjami. W projekcie programu nie podano wartości granicznej wyniku PSA, dla której lekarz stwierdzi „niepokojący wynik” i wykona badanie per rectum oraz może wydać skierowanie do dalszej diagnostyki oceny gruczołu krokowego.

Liczebność grupy została oszacowana na 19 729 osób, natomiast z budżetu wynika, że rocznie programem zostanie objętych ok. 200 mężczyzn, czyli ok. 400 w całym 2-letnim okresie realizacji programu. Stanowi to (400 mężczyzn) ok. 2% populacji docelowej programu. Należy zwrócić uwagę, że badanie PSA, które jest głównym elementem diagnostyki w programie, oraz wstępna ocena gruczołu krokowego są świadczeniami dostępnymi w ramach POZ i AOS. Co istotne, wytyczne (ACS 2010, 2016, ACP 2013, AUA 2013, NHMRC 2016) oraz eksperci w przeszłych opiniach zwracają uwagę, że warto skoncentrować się na realizacji programów skryningu oportunistycznego. Wymaga to jednak



prowadzenia szeroko zakrojonego postępowania informacyjnego zwiększającego świadomość zdrowotną społeczeństwa.

W treści projektu programu przedstawiono koszt jednostkowy dla 1 uczestnika programu oraz koszt całkowity programu na 1 rok realizacji. Warto podkreślić, że wnioskodawca nie odniósł się do kosztów przewidzianej akcji informacyjno-edukacyjnej, monitorowania i ewaluacji ani nie wyszczególnił kosztu badania PSA, per rectum wraz z konsultacją urologa.

.....
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.441.270.2016 „Program polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki raka gruczołu krokowego na terenie Miasta Kalisza”, realizowany przez miasto Kalisz, styczeń 2017 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy wczesnego wykrywania raka gruczołu krokowego – wspólne podstawy oceny”, listopad 2016.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

Nr 25/2017 z dnia 30 stycznia 2017 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki boreliozy w powiecie słupeckim”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki boreliozy w powiecie słupeckim”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

W projekcie uwzględniono opis sytuacji epidemiologicznej boreliozy, uwzględniając dane krajowe i lokalne w zakresie liczby zachorowań i wskaźnika zapadalności na boreliozę. Zgodnie z informacjami zawartymi w projekcie, akcja edukacyjna ma być skierowana do szerokiego grona odbiorców, jakim są wszyscy mieszkańcy powiatu słupeckiego, bez względu na wiek, płeć czy stan zdrowia. Zgodnie z tym, co podaje wnioskodawca, ma ona dotyczyć informacji na temat unikania ekspozycji na kleszcze, najczęstszych miejsc ich bytowania, stosowania środków odstraszających, stosownego ubioru oraz odpowiedniego postępowania w przypadku ukąszenia. Powyższy zakres tematyczny edukacji jest zgodny z rekomendacjami/wytycznymi. Dowody naukowe wskazują, że stosowanie działań edukacyjno-promocyjnych ma wpływ na podniesienie poziomu wiedzy społeczeństwa nt. zagrożenia związanego z ukąszeniem kleszcza (Mowbray 2012). Wśród działań przewidzianych do realizacji w ramach programu znajdują się również badania laboratoryjne w kierunku boreliozy metodą ELISA w klasach IgG i IgM. Wnioskodawca zaznacza, że wykonanie badań będzie możliwe dla wszystkich mieszkańców powiatu, jednak grupą priorytetową będą osoby szczególnie narażone na ukąszenia przez kleszcze, czyli leśnicy, rolnicy i osoby przebywające na terenach bytowania pajęczaków, co jest zgodne z tym co zalecają eksperci kliniczni.

Uwagi Rady:

- Sugeruje się, aby planowane działania edukacyjne rozszerzyć tak, aby dotrzeć do całej grupy docelowej, a nie jedynie do osób korzystających ze świadczeń POZ.*



- *Doprecyzowanie populacji docelowej działań z zakresu edukacji jest zbyt ogólne, kierowane nawet do niemowląt, co nie jest działaniem zasadnym.*
- *Umieścić informację, że zgodnie z raportem NIZP-PZH woj. pomorskie zajmuje względem wskaźnika zapadalności na boreliozę w 2015 miejsce 8, a nie 7.*
- *Należy określić wzór ulotki, jaka ma być rozpowszechniana w ramach programu.*
- *Przeformułować cel główny, gdyż nie jest konkretny, a jego realizację w zakresie wczesnego rozpoznawania boreliozy ciężko będzie zmierzyć. Natomiast cele szczegółowe wydają się być przygotowane na zbyt dużym poziomie ogólności.*
- *Wnioskodawca nie przewidział w projekcie narzędzi do pomiaru poziomu świadomości społeczeństwa.*
- *Doprecyzowania wymagają kompetencje personelu, w tym również w zakresie kwalifikacji osoby dokonującej weryfikacji ankiety i rozmawiającej z pacjentem. Zasadne jest, aby ocena objawów klinicznych przeprowadzana była przez lekarza.*
- *Trzeci etap zakłada przeprowadzenie monitorowania i ewaluacji. Wnioskodawca planuje m.in. monitorowanie liczby stwierdzonych zakażeń w wyniku przeprowadzonych dalszych badań. Należy zaznaczyć, że wykonanie testów potwierdzających metodą Western blot nie będzie wykonywane w ramach przedmiotowego programu, lecz w ramach świadczeń POZ. Dlatego monitorowanie tego w ramach programu nie będzie możliwe.*
- *W ocenianym projekcie nie zawarto informacji na temat kryteriów wykluczenia z udziału w programie.*
- *W projekcie przedstawiono koszty jednostkowe i całkowite. Należy doprecyzować kwestie kosztów kampanii informacyjnej. Jak wskazano w programie, kampania informacyjna prowadzona będzie nieodpłatnie w radio i lokalnej prasie, natomiast w budżecie przeznaczono na ten cel kwotę 1 050 zł (dwie reklamy).*

.....
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.441.254.2016 „Program profilaktyki boreliozy w powiecie słupskim” realizowany przez powiat słupski, styczeń 2017 oraz Aneksem „Programy z zakresu profilaktyki i wczesnej diagnostyki boreliozy i innych chorób odkleszczowych – wspólne podstawy oceny” z listopada 2016.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

Nr 26/2017 z dnia 30 stycznia 2017 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki chorób odkleszczowych i eliminowanie skutków ich występowania w najbardziej zagrożonych grupach ryzyka województwa podlaskiego”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki chorób odkleszczowych i eliminowanie skutków ich występowania w najbardziej zagrożonych grupach ryzyka województwa podlaskiego”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Opisany w projekcie problem zdrowotny program polityki zdrowotnej wpisuje się w priorytety zdrowotne zawarte w rozporządzeniu MZ z dn. 21 sierpnia 2009 r. ws. priorytetów zdrowotnych (Dz.U.2009 nr 137 poz. 1126), mianowicie: „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom” oraz „ograniczenie skutków zdrowotnych spowodowanych czynnikami szkodliwymi w miejscu pracy i zamieszkania”.

Głównym celem ocenianego programu polityki zdrowotnej jest zmniejszenie liczby zachorowań na boreliozę z Lyme i kleszczowe zapalenie mózgu w województwie podlaskim poprzez profilaktykę pierwotną wyselekcjonowanej grupy ryzyka, tj. osób pracujących w sektorze rolnictwa, łowiectwa i rybactwa z terenu województwa podlaskiego. Cele szczegółowe programu to:

- Zwiększenie u co najmniej 80% włączonych do programu osób pracujących w sektorze rolnictwa, łowiectwa i rybactwa poziomu wiedzy na temat możliwości zapobiegania pokłuciom przez kleszcza;*
- Zwiększenie u co najmniej 80% włączonych do programu osób pracujących w sektorze rolnictwa, łowiectwa i rybactwa poziomu wiedzy na temat chorób przenoszonych przez kleszcze;*
- Zwiększenie dostępności populacji województwa podlaskiego do usług z zakresu profilaktyki pierwotnej boreliozy z Lyme i kleszczowego zapalenia mózgu poprzez włączenie 23 podmiotów sektora podstawowej opieki zdrowotnej do realizacji założeń programu;*



- *Zwiększenie dostępności populacji województwa podlaskiego do usług z zakresu profilaktyki pierwotnej boreliozy z Lyme i kleszczowego zapalenia mózgu poprzez szkolenie doskonalące wiedzę i umiejętności pracowników sektora podstawowej opieki zdrowotnej i służb medycyny pracy;*
- *Zapewnienie co najmniej 60% podmiotom gospodarczym sektora rolnictwa, łowiectwa i rybactwa możliwości współpracy z podmiotem sektora podstawowej opieki zdrowotnej włączonym do realizacji założeń programu;*
- *Poprawa dostępu do szczepień ochronnych przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu w powiatach o najwyższej zachorowalności, tj. hajnowskim, sejneńskim i sokólskim poprzez osiągnięcie wartości wskaźnika wyszczepialności 60% wśród populacji włączonych do programu osób pracujących w sektorze rolnictwa, łowiectwa i rybactwa w tych powiatach.*

Program składa się z trzech części: (1) działania informacyjno-edukacyjne, (2) szkolenie personelu medycznego oraz podmiotów gospodarczych oraz (3) akcja szczepień ochronnych przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu. Przewiduje się objęcie programem ok. 44 046 osób zatrudnionych w sektorze rolnictwa, łowiectwa i rybactwa w okresie od roku 2017 do 2020. Zakładany budżet programu wynosi 4 042 666 zł.

Program został skonstruowany jasno i przejrzysto i opiera się na wiarygodnych i sprawdzonych informacjach. Rada zwraca jednak uwagę na konieczność wyjaśnienia następujących kwestii:

- *Populacja. Program przewiduje objęcie akcją informacyjno-edukacyjną osób zatrudnionych w sektorze rolnictwa, łowiectwa i rybactwa z terenu województwa podlaskiego. Z programu wykluczona jest grupa osób zatrudnionych w leśnictwie. Podstawą tej decyzji jest ustawa z 5 grudnia 2008 r. o zapobieganiu oraz zwalczaniu zakażeń i chorób zakaźnych, na mocy której osoby zatrudnione w leśnictwie zostały objęte specjalnym programem informacyjno-edukacyjnym i szczepieniami ochronnymi. W ramach tego programu koszty szczepień ponosi pracodawca. Nie jest jednak oczywiste, czy i w jakim zakresie program ten jest rzeczywiście realizowany. AOTMiT nie oceniała do tej pory żadnego programu szczepień ochronnych przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu na terenie województwa podlaskiego. Nadto, wspomniana ustawa podaje wykaz prac narażających pracowników na działanie czynników biologicznych. Wszystkie wymienione w docelowej populacji grupy ryzyka są narażone na działanie takich czynników (kontakt z kleszczem). Liczebność populacji, która będzie mogła wziąć udział w programie oszacowana została w sposób niejasny i wymaga wyjaśnienia. Należy*

więc jednoznacznie i wiarygodnie wyjaśnić i usprawiedliwić wyłączenie z programu osób zatrudnionych w leśnictwie.

- Cele szczegółowe. Jednym z celów szczegółowych programu jest podniesienie poziomu wiedzy narażonych na kontakt z kleszczem lub zajmujących się działalnością edukacyjno-organizacyjną. Nie jest jasne, w jaki sposób wnioskodawca zamierza mierzyć stopień realizacji tego celu. Nie wiadomo, na czym ma polegać „Zapewnienie co najmniej 60% podmiotom gospodarczym sektora rolnictwa, łowiectwa i rybactwa możliwości współpracy z podmiotem sektora podstawowej opieki zdrowotnej” i na jakiej podstawie zostanie dokonana ocena stopnia realizacji tego celu.
- Części składowe, etapy i działania organizacyjne. Projekt programu zawiera opis jego organizacji składający się z 4 etapów. Harmonogram realizacji programu, a także sposób jego organizacji, przygotowane zostały w sposób niejasny i wymagają doprecyzowania i uzupełnienia. Etap organizacyjny zakłada wyłonienie realizatora/koordynatora programu. Wnioskodawca nie określa jednak sposobu jego wyboru. Zgodnie z projektem, na etapie organizacyjnym założono przeprowadzenie działań profilaktyczno-interwencyjnych w podmiotach gospodarczych zakwalifikowanych do programu oraz z wykorzystaniem sektora POZ. Wnioskodawca nie uściśla jednak, na czym mają one polegać. W 3 powiatach (powiat hajnowski, sejneński i sokólski), w których wskaźnik zapadalności na kleszczowe zapalenie mózgu jest najwyższy, zaplanowano objąć programem 60% populacji, czyli 12 833 osoby. Zapisy zawarte w projekcie sugerują, że powyższa wartość dotyczy działań edukacyjnych, jednak z celów programu można wnioskować, że wnioskodawca miał na myśli poziom wyszczepialności, gdyż we wspomnianych 3 powiatach zaplanowano przeprowadzenie szczepień ochronnych przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu (12 833 osoby – czyli 60% populacji kwalifikującej się do programu). Powyższy opis populacji, która objęta ma zostać działaniami z zakresu edukacji, jest niespójny z tym, co zawarte zostało w dalszej części programu, gdzie zaznaczono, że działania z zakresu prewencji pierwotnej adresowane będą do całej populacji możliwej do włączenia do programu (zgodnie z projektem 125 430 osób w wieku 18-64 lata pracujące w sekcji rolnictwo, łowiectwo, rybactwo). Kwestia populacji, do której skierowane mają być działania edukacyjne, wymaga wyjaśnienia.
- Akcja informacyjno-edukacyjna i szkolenia. Wnioskodawca założył włączenie do programu podmiotów gospodarczych, w których zatrudnione są osoby z populacji docelowej (tj. 3 042 podmioty z sekcji „Rolnictwo, leśnictwo, łowiectwo i rybactwo”), w których

prowadzone mają być działania z zakresu edukacji zdrowotnej. We wskazanych podmiotach gospodarczych, do których skierowany ma być program, znajdują się również podmioty działające w leśnictwie, które wyłączone zostały z udziału w programie. Ponadto, sposób realizacji szkoleń w tej grupie jest niejasny i wymaga doprecyzowania. Wnioskodawca zaplanował 23 takich szkoleń po 2 h dydaktyczne. Nie określił jednak sposobu przeprowadzenia szkoleń, kto ma je przeprowadzać, ani też ile osób ma w nich uczestniczyć. Nie wiadomo też, czy mają być one skierowane również do pracowników wspomnianych podmiotów, czy też tylko do pracodawców. Uzupelnienia wymaga kwestia kompetencji osoby prowadzącej szkolenia. Wnioskodawca zamieścił w projekcie zbiorcze zestawienie uczestników programu. Wśród nich wskazano również jednostki samorządu terytorialnego, podmioty gospodarcze, jednostki służby medycyny pracy oraz podmioty sektora POZ. Należy zaznaczyć, że instytucje te nie stanowią uczestników programu.

- Ankieta. Wnioskodawca zamierza przeprowadzić ankietę zarówno wśród pracowników podmiotów gospodarczych narażonych na pokłucie przez kleszcze, jak i kwalifikujących się do programu pacjentów podmiotów POZ współrealizujących program. Formularz ankiety załączony został do projektu. W projekcie nie uściślono jednak, jakie wyniki ankiety decydować będą o zakwalifikowaniu do grupy ryzyka, ani w jakich warunkach ma być ona przeprowadzana. Z treści projektu wynika, że potencjalni uczestnicy będą mogli dostarczać wypełnioną ankietę bezpośrednio do realizatora. Istotne wydaje się jednak, aby wypełniana była w obecności lekarza, który będzie miał możliwość zweryfikowania zgłaszanych przez pacjenta dolegliwości. Należy również podkreślić, że przeprowadzanie dokładnego wywiadu i uzyskanie informacji o możliwej ekspozycji na kleszcze jest wskazywane przez ekspertów klinicznych jako główny element kwalifikacji do programów wczesnej diagnostyki chorób odkleszczowych. Wnioskodawca podaje również, że w wyniku przeprowadzenia ankiety, możliwe będzie wyodrębnienie „kohorty wymagającej przeprowadzenia szybkiej interwencji” oraz że zorganizowana zostanie możliwość wizyty profilaktycznej dla pracowników wraz z „szybką interwencją”. Nie podaje jednak na czym wspomniana interwencja ma polegać. W przypadku pacjentów POZ wnioskodawca zaznacza, że na podstawie ankiety udzielana będzie porada „o charakterze profilaktycznym i edukacyjnym” oraz ewentualnie interwencja w postaci szczepienia przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu. Jest to niespójne z innymi zapisami programu, zgodnie z którymi szczepienia

przeprowadzane będą jedynie w trzech wybranych na podstawie wskaźnika zapadalności powiatach.

- Monitorowanie i ewaluacja. Wnioskodawca w projekcie stosuje zamiennie pojęcia monitorowania i ewaluacji. Należy pamiętać, że monitorowanie jest procesem zbierania danych o realizacji programu i służy kontrolowaniu jego przebiegu i postępu, ewaluacja natomiast jest analizą danych, realizowaną w celu oceny efektów prowadzonych działań i powinna się rozpocząć po zakończeniu trwania programu. Są to istotne elementy programu, które umożliwiają bieżącą ocenę jego przebiegu oraz określenie wpływu programu na sytuację społeczną i zdrowotną w perspektywie wieloletniej.
- Koszty. W projekcie przedstawiono koszty jednostkowe i całkowite. Koszt całkowity programu oszacowano na 4 042 666 zł. Wnioskodawca przedstawił koszty w rozbiciu na poszczególne etapy i działania przewidziane w ramach programu. Przedstawiony kosztorys zawiera jednak szereg nieścisłości, dotyczący przede wszystkim kosztów i liczby szkoleń oraz kosztów szczepionki. Wnioskodawca zakłada pokrycie przez uczestników programu kosztów iniekcji ($3 \times 10 = 30$). Jest to, jak się wydaje nierealistyczne założenie. Można bowiem zasadnie przypuszczać, że wielu uczestników programu mając do wyboru opłacenie iniekcji i kupno paczki papierosów zdecyduje się mimo wszystko na papierosy.
- Zmiana tytułu. Ponieważ oceniany program dotyczy głównie profilaktyki boreliozy z Lyme i chorób odkleszczowych i całkowicie pomija sprawę „eliminowania skutków ich występowania w najbardziej zagrożonych grupach ryzyka województwa podlaskiego na terenie województwa podlaskiego”, Rada sugeruje zmianę tytułu programu na bardziej adekwatną w stosunku zawartych w nim celów i sposobów ich osiągnięcia.

Biorąc pod uwagę przewidywane zmiany klimatu (ocieplenie), Rada zwraca uwagę, że należy się liczyć z bardzo dynamicznym wzrostem zapadalności na boreliozę i choroby odkleszczowe (borelioza jest obecnie jedną z najszybciej rozprzestrzeniających się chorób w Stanach Zjednoczonych). Rada postuluje więc kontynuowanie rozpoczętego programu po jego formalnym zakończeniu w roku 2020.

.....
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.441.261.2016 „Program profilaktyki chorób odkleszczowych i eliminowanie skutków ich występowania w najbardziej zagrożonych grupach ryzyka województwa podlaskiego”, realizowany przez Województwo Podlaskie, styczeń 2017 oraz Aneksem „Programy z zakresu profilaktyki i wczesnej diagnostyki boreliozy i innych chorób odkleszczowych – wspólne podstawy oceny” z listopada 2016.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

Nr 27/2017 z dnia 30 stycznia 2017 roku

o projekcie programu „Program wykrywania zakażeń *Borrelia burgdorferi* wśród mieszkańców województwa lubelskiego ze szczególnym uwzględnieniem grup ryzyka, jako profilaktyka boreliozy z Lyme na lata 2017-2019”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program wykrywania zakażeń *Borrelia burgdorferi* wśród mieszkańców województwa lubelskiego ze szczególnym uwzględnieniem grup ryzyka, jako profilaktyka boreliozy z Lyme na lata 2017-2019”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.*

Uzasadnienie

Problem zdrowotny opisany w projekcie programu polityki zdrowotnej wpisuje się w priorytety zdrowotne. Cel główny programu jest konkretny, istotny oraz osiągalny, a jego realizację można monitorować i mierzyć. Cele szczegółowe zostały przygotowane zgodnie z regułą S.M.A.R.T., a oczekiwane efekty odwołują się do założonych celów. Dotyczą one wzrostu poziomu wiedzy, zwiększenia poziomu wykrywalności boreliozy oraz podjęcia leczenia u osób z już rozpoznaną boreliozą.

Przeprowadzanie edukacji z zakresu chorób odkleszczowych jest zgodne z zaleceniami ekspertów, którzy podkreślają istotne znaczenie podnoszenia świadomości społecznej w zakresie boreliozy i jej potencjalnych czynników ryzyka. Odnalezione dowody naukowe wskazują, że stosowanie działań edukacyjno-promocyjnych ma wpływ na podniesienie poziomu wiedzy społeczeństwa nt. zagrożenia związanego z ukąszeniem kleszcza (Mowbray 2012). Wnioskodawca zaplanował również przeprowadzenie diagnostyki serologicznej w kierunku boreliozy przy użyciu dwuetapowego protokołu diagnostycznego polegającego na wykrywaniu swoistych przeciwciał testem ELISA oraz w przypadku dodatniego bądź wątpliwie dodatniego wyniku potwierdzenie badania metodą Western blot, co jest postępowaniem powszechnie zalecanym zarówno przez ekspertów klinicznych, jak i w rekomendacjach/wytycznych (PTEiLChZ 2015, CDC 2015, KIDL 2014, AAFP 2012, AAD 2011, EUCALB 2008). Działania zawarte w programie są zgodne



z rekomendacjami i opiniami ekspertów, które wskazują, że podstawą wczesnego rozpoznania boreliozy są: historia pokłucia przez kleszcze oraz objawy kliniczne, szczególnie wystąpienie rumienia wędrującego (PTEiLChZ 2015, KIDL 2014, CDC 2015, AAFP 2012, EUCALB 2008, ILADS 2004), a obecność samych przeciwciał, bez obecności konkretnych objawów zakażenia, nie jest wystarczająca do postawienia diagnozy (CDC 2015, KIDL 2014, DBG 2010, CPHLN 2007, IDSA 2006, ILADS 2004). Również dowody naukowe potwierdzają, że wyniki testów serologicznych mogą być jedynie wsparciem dla postawionej diagnozy z uwzględnieniem potencjalnych objawów klinicznych boreliozy (Leeflang 2016, ECDC 2016, IDSA 2006).

Badania w kierunku boreliozy znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, jednak wnioskodawca wskazuje, że powyższe świadczenia nie obejmują działań edukacyjnych. Można zatem stwierdzić, że działania w ramach programu będą wpływały na poprawę dostępności świadczeń, a edukacja z zakresu boreliozy będzie stanowiła wartość dodaną.

Uwagi Rady:

- Doprecyzowania wymaga zakres tematyczny prowadzonych działań edukacyjnych. Rekomendacje/wytyczne w zakresie profilaktyki chorób odkleszczowych skupiają się głównie na nieswoistych metodach, takich jak przede wszystkim unikanie obszarów częstego występowania kleszczy, a jeżeli nie jest to możliwe, zastosowanie odpowiednich środków ostrożności, tj. noszenie odpowiedniego ubioru (jasne kolory, długie rękawy i nogawki), stosowanie produktów odstrasżających owady (zawierających DEET, tzw. repelenty), a także impregnowanie ubrań permetryną (AGDoH 2015, CPS 2014, AAFP 2012, AAD 2011).*
- Wskazanie, jakie wyniki ankiety przeprowadzanej wśród osób zgłaszających się decydować będą o zakwalifikowaniu do udziału w programie.*
- Uszczegółowienie zasady organizacji wsparcia w zakresie dojazdu uczestników programu w celu realizacji usługi zdrowotnej oraz zapewnienia opieki nad osobami niesamodzielnymi, którymi opiekuje się uczestnik programu.*
- Uzupelnienie mierników efektywności programu o wskaźniki umożliwiające obiektywną i precyzyjną ocenę stopnia realizacji wszystkich celów programu.*
- Uzupelnienie oceny zgłaszalności o przyczyny braku uczestnictwa/rezygnacji pacjentów z udziału w programie.*
- Doprecyzowanie wieku populacji, do której skierowany jest program.*
- Modyfikację sposobu przeprowadzania pomiaru poziomu wiedzy uczestników programu.*

- *Doszczegółowienie wymagań względem realizatora programu.*
- *Doszczegółowienie kosztorysu programu w szczególności w odniesieniu do kosztów związanych z zapewnieniem dojazdów niezbędnych do realizacji usługi zdrowotnej oraz kosztów związanych z opieką nad osobą niesamodzielną, którą opiekuje się osoba biorąca udział w programie.*
- *Doprecyzowanie oraz uzupełnienie informacji dotyczących kosztów jednostkowych.*
- *Weryfikację i uaktualnienie kosztów badań laboratoryjnych w kierunku boreliozy.*

.....
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.441.273.2016, „Program wykrywania zakażeń *Borrelia burgdorferi* wśród mieszkańców województwa lubelskiego ze szczególnym uwzględnieniem grup ryzyka, jako profilaktyka boreliozy z Lyme na lata 2017-2019” realizowany przez województwo lubelskie, styczeń 2017 oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki i wczesnej diagnostyki boreliozy i innych chorób odkleszczowych – wspólne podstawy oceny” z listopada 2016.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 28/2017 z dnia 30 stycznia 2017 roku

w sprawie efektywności oraz przygotowania danych do rankingu produktów leczniczych w populacji osób powyżej 75 roku życia

Odnośząc się do zlecenia Ministra Zdrowia przekazanego pismami wymienionymi w „Przedmiocie zlecenia” poniżej, Rada przedstawia dane do rankingu – dotyczące produktów zawierających substancje czynne ezetimibum+atorvastatinum, levodopum + benserazidum, levodopum + carbidopum, selegilinum – wymienione w tabeli poniżej.

L.p.			Punktacja Rady		
	Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, kod EAN lub inny kod odpowiadający kodowi EAN	Kat. A	Kat. B	Kat. C
1	ezetimibum + atorvastatinum	Atozet, tabl. powl., 10+40 mg, 30 szt., EAN 5909991226633	0,19	0,12	0,11
2	ezetimibum + atorvastatinum	Atozet, tabl. powl., 10+80 mg, 30 szt. EAN 5909991226725	0,19	0,12	0,11
3	Levodopum + Benserazidum	Madopar, kaps., 200+50 mg, 100 szt. EAN 5909990095216	0,65	0,94	0,01
4	Levodopum + Benserazidum	Madopar 125 mg, kaps., 100+25 mg, 100 szt. EAN 5909990095018	0,65	0,94	0,01
5	Levodopum + Benserazidum	Madopar 125 mg, tabl. do sporządzania zawiesiny doustnej, 100+25 mg, 100 szt. EAN 5909990748723	0,65	0,94	0,01
6	Levodopum + Benserazidum	Madopar 250 mg, tabl., 200+50 mg, 100 szt. EAN 5909990095117	0,65	0,94	0,01
7	Levodopum + Benserazidum	Madopar 62,5 mg, kaps., 50+12,5 mg, 100 szt. EAN 5909990094912	0,65	0,94	0,04
8	Levodopum + Benserazidum	Madopar 62,5 mg, tabl. do sporządzania zawiesiny doustnej, 50+12,5 mg, 100 szt. EAN 5909990748624	0,65	0,94	0,04
9	Levodopum + Benserazidum	Madopar HBS, kaps., 100+25 mg, 100 szt. EAN 5909990377510	0,65	0,94	0,01
10	Levodopum + Carbidopum	Nakom, tabl., 250+25 mg, 100 szt. EAN 5909990175215	0,68	0,94	0,01



11	Levodopum + Carbidopum	Nakom Mite, tabl., 100+25 mg, 100 szt. EAN 5909990175314	0,65	0,94	0,01
12	Levodopum + Carbidopum	Sinemet CR 200/50, tabl. o zmodyfikowanym uwalnianiu, 200+50 mg, 100 szt. EAN 5909990020416	0,65	0,94	0,01
13	Selegilinum	Segan, tabl., 5 mg, 60 szt. EAN 5909990746026	0,65	0,76	0,01
14	Selegilinum	Selgres, tabl. powl., 5 mg, 50 szt. EAN 5909990404315	0,65	0,76	0,01

Uzasadnienie

Ranking określa:

A. *znaczenie jednostki chorobowej w ramach potrzeb zdrowotnych pacjentów ustalone w oparciu o: fachową literaturę medyczną, dane o jednostce chorobowej (obciążenie chorobą) oraz jej wpływ na stan zdrowia danego pacjenta;*

Znaczenie hipercholesterolemii z populacji powyżej 75 r.ż., bez jej zróżnicowania na osoby bez czynników ryzyka/chorób układu sercowo-naczyniowego (prewencja pierwotna) i osoby z wysokim ryzykiem/chorobami układu sercowo-naczyniowego i/lub cukrzycą, jest trudne do jednoznacznego określenia. W piśmiennictwie nie odnaleziono współczynnika obciążenia jednostką chorobową bezpośrednio dla hipercholesterolemii w populacji ogólnej. Uwzględniając dane zawarte w raporcie Agencji, w tym m.in. współczynniki obciążenia jednostką chorobową dla, między innymi, duszniczy bolesnej (0,124) i ostrego zawału serca (0,439), a także bezobjawowy przebieg hipercholesterolemii u osób bez chorób układu sercowo-naczyniowego (w prewencji pierwotnej), liczne choroby współistniejące w populacji geriatrycznej kompetycyjnie wpływające na jakość i przewidywany dalszy czas życia (w 2015 roku w Polsce przeciętne dalsze trwanie życia 75-letniego mężczyzny oszacowano na 10.0 lat, a kobiety na 12.5 roku).

B. *skuteczność i bezpieczeństwo oraz siła zaleceń dotyczących stosowania leku na podstawie najnowszych rekomendacji klinicznych;*

Skuteczność statyn w prewencji wtórnej u osób starszych nie budzi wątpliwości. Brak jest dowodów na utratę ich skuteczności powyżej 75 roku życia. Należy jednak odnotować, że dowody na ich korzystny wpływ na rokowanie powyżej 80 roku życia są bardzo ograniczone. W jednym z najnowszych badań nie wykazano również aby rezygnacja z ich stosowania u starszych osób z przewidywanym krótkim okresem dalszego życia (<1 roku) wpływała niekorzystnie na rokowanie. Na efektywność kosztową stosowania statyn w populacji geriatrycznej wpływają potencjalnie częstsze w tej populacji działania niepożądane, w tym objawy miopatii. Dane dotyczące stosowania

statyn w prewencji pierwotnej w populacji geriatrycznej są niejednoznaczne, zwłaszcza w odniesieniu do ich wpływu na śmiertelność. Istnieją przesłanki, aby sądzić, że otrzymujące statyny osoby starsze wykazują mniejszą aktywność fizyczną w porównaniu z osobami nie otrzymującymi leków obniżających poziom cholesterolu, po uwzględnieniu w analizie innych przyjmowanych leków oraz chorób współistniejących. Uwzględniając ryzyko działań niepożądanych zespół ekspertów (International Lipid Expert Panel) zaleca u osób starszych stosowanie w pierwszej kolejności statyn hydrofilowych w umiarkowanych dawkach. Należy odnotować, że atorwastatyna w ocenianym połączeniu z ezetymibem nie jest statyną hydrofilową i stosowana jest w dawkach wysokich. Brak jest przekonujących dowodów na istotną przewagę kliniczną intensywnej nad umiarkowaną terapią statynami w prewencji wtórnej w znaczącej liczebnie grupie u osób powyżej 75 roku życia. Nie wiadomo także, czy intensyfikacja terapii statyną poprzez dołączenie ezetymibu wpływa korzystnie na rokowanie w prewencji pierwotnej. W badaniu IMPROVE-IT, w którym stosowano połączenie ezetymibu z atorwastatyną u chorych z niedawno przeżytym ostrym incydentem wieńcowym, dołączenie ezetymibu do simwastatyny spowodowało zmniejszenie częstości występowania złożonego punktu końcowego o 2% (spadek ryzyka bezwzględnego). Liczba chorych, których trzeba było leczyć (NNT) w tak określonej populacji określono na 50, przy górnej granicy przedziału ufności sięgającej 288. Obie wartości odnosiły się do 7-letniego okresu leczenia. Dodatkowe analizy wskazywały na istotne statystycznie korzyści w podgrupie chorych z cukrzycą oraz brak takich korzyści u osób bez cukrzycy a także trend w kierunku większych korzyści u osób starszych. NNT dla 7-letniej terapii połączeniem ezetymibu z atorwastatyną w ogólnej populacji mieszkańców Polski powyżej 75 roku życia z hipercholesterolemią jest trudna do określenia. W najnowszym stanowisku American College of Cardiology/National Lipid Association (2016 ACC Expert Consensus Decision Pathway on the Role of Non-Statin Therapies for LDL-Cholesterol Lowering in the Management of Atherosclerotic Cardiovascular Disease Risk) zaleceniami dotyczącymi stosowania terapii nie-statynowych objęto populację chorych do 75 roku życia. Lewodopa jest najbardziej efektywnym lekiem stosowanym rutynowo w leczeniu objawów choroby Parkinsona. W postaci farmaceutycznej łączona jest z inhibitorami obwodowej dekarboksylazy aminokwasów aromatycznych, karbidopą lub benserazydem, w celu zmniejszenia częstości zdarzeń niepożądanych. W aktualnych rekomendacjach klinicznych zalecana jest jako lek pierwszego rzutu w początkowych etapach choroby Parkinsona, jak również w przypadkach zaawansowanych, w mono- i politerapii. Wyniki badań klinicznych jednoznacznie wskazują na wysoką skuteczność L-DOPA w zwalczaniu objawów choroby. Brak jest jednak bezpośrednich dowodów na skuteczność L-DOPA w grupach zróżnicowanych pod względem wieku, dostępne

dane pochodzą z badań przeprowadzonych z udziałem pacjentów w różnym wieku, w tym także u osób po 75 roku życia. Wytyczne kliniczne nie ograniczają użycia L-DOPA u pacjentów w starszym wieku, wskazując jedynie na nieco podwyższone ryzyko niektórych działań niepożądanych, jak na przykład skłonność do hipotensji.

Dowody na skuteczność L-DOPA w leczeniu zespołów parkinsonowskich towarzyszących chorobom, takim jak zanik wieloukładowy czy otępienie z ciałami Lewy`ego, nie jest tak jednoznaczna, jak w przypadku choroby Parkinsona, niemniej jednak w praktyce klinicznej podejmuje się próbę leczenia przy użyciu L-DOPA, mimo zmiennej skuteczności w tych jednostkach chorobowych. Wyjątek stanowi dystonia wrażliwa na L-DOPA (dystonia Segawy), gdzie dobra odpowiedź na niewielkie dawki L-DOPA jest cechą charakterystyczną choroby. Podobnie jak w przypadku zastosowania L-DOPA w leczeniu choroby Parkinsona, także w tych przypadkach brak jest danych na temat jej skuteczności w populacji osób po 75 roku życia.

Selegilina jest przedstawicielem inhibitorów MAO-B, również stosowanych w leczeniu objawów choroby Parkinsona. Zalecana jest w przypadkach pacjentów ze świeżo rozpoznaną chorobą Parkinsona, a także w politerapii w przypadkach bardziej zaawansowanych. Względna skuteczność leku jest niższa niż w przypadku L-DOPA, jednakże jej stosowanie pozwala na opóźnienie rozpoczęcia terapii L-DOPA. Jej stosowanie obarczone jest także niższym ryzykiem wystąpienia fluktuacji ruchowych w porównaniu z L-DOPA. Brak jest danych pochodzących z badań klinicznych na temat skuteczności selegiliny w populacji osób po 75 roku życia, dostępne dane dotyczą populacji ogólnej.

C. aktualna dostępność wskazanych terapii dla świadczeniobiorców w oparciu o wielkość dopłat do wymienionych leków.

W pkt. C Rada korzystała ze wzoru (gdzie K - koszt produktu leczniczego dla świadczeniobiorcy, K_{min} - koszt minimalny produktu leczniczego dla świadczeniobiorcy, K_{max} - koszt maksymalny produktu leczniczego dla świadczeniobiorcy, spośród wszystkich ocenianych leków):

$$Ocena = \frac{K - K_{min}}{K_{max} - K_{min}}$$

W kategorii C, im niższa wartość rankingu, tym aktualna dostępność dla pacjenta jest mniejsza.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, na podstawie pisma Ministra Zdrowia PLO.461.15.2017.1.BRB, PLO.461.15.2017.2.BRB, PLO.461.15.2017.3.BRB z dnia 25.01.2017r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie efektywności wskazanych w załącznikach produktów leczniczych, wydawanych za odpłatnością 30% lub ryczałtową,

z uwzględnieniem ich limitu finansowania, w populacji osób powyżej 75 roku życia oraz przygotowania danych do rankingu wskazanych leków z uwzględnieniem:

- A. znaczenia jednostki chorobowej w ramach potrzeb zdrowotnych pacjentów z populacji powyżej 75 r.ż. na podstawie podręczników medycznych, danych o chorobie, obciążeniu pacjenta chorobą, tj. wpływem choroby podstawowej na stan pacjenta – w skali od 0 do 1;
- B. skuteczności i bezpieczeństwa oraz siły zaleceń dotyczących stosowania leku na podstawie najnowszych rekomendacji klinicznych – w skali od 0 do 1;
- C. aktualnej dostępności dla świadczeniobiorców do wskazanych terapii w oparciu o wielkość dopłat do wymienionych leków – w skali od 0 do 1.

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r. poz. 1793 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr OT.434.4.2017 „Opracowanie w sprawie oceny efektywności produktów leczniczych w populacji osób powyżej 75 roku życia”. Data ukończenia: 25 stycznia 2017.