



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Protokół nr 16/2017**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 24 kwietnia 2017 roku**  
**w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT)**

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

1. Marzanna Bieńkowska
2. Lucjusz Jakubowski
3. Marlena Jankowiak
4. Agata Maciejczyk
5. Konrad Maruszczyk
6. Michał Myśliwiec
7. Tomasz Pasierski – prowadził posiedzenie
8. Jerzy Stelmachów
9. Piotr Szymański
10. Zbigniew Szawarski

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku RIXUBIS (nonakog gamma) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku ENSTILAR (calcipotriolum+ betamethasonum) we wskazaniu: leczenie miejscowe łuszczycy zwyczajnej u dorosłych.
6. (Art. 31s ust. 6 pkt 4) Przygotowanie opinii w zakresie zasadności dalszej refundacji, braku podstaw dalszej refundacji lub zmiany zakresu refundacji leków:
  - 1) SOMATULINE PR, SOMATULINE AUTOGEL (lanreotyd) we wskazaniach opisanych kodami ICD-10, które są ujęte w załączniku C.37.a. do obwieszczenia MZ z dnia 28 grudnia 2016 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych - w ramach katalogu chemioterapii;
  - 2) SANDOSTATIN, SANDOSTATIN LAR (oktreotyd) we wskazaniach opisanych kodami ICD-10, które są ujęte w załączniku C.45.a. do obwieszczenia MZ z dnia 28 grudnia 2016 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych - w ramach katalogu chemioterapii.



7. Przygotowanie opinii na temat projektu programu polityki zdrowotnej współfinansowanego ze środków UE w ramach EFS: „Zmiany przeciążeniowe narządu ruchu pracowników zakładów przemysłowych Wielkopolski – patobiomechanizm, profilaktyka, ergonomia stanowiska pracy”.
8. Przygotowanie opinii na temat projektów programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
  - 1) „Profilaktyka nietrzymania moczu dla mieszkańców powyżej 50 roku życia z terenu Gminy Miejskiej Legionowo”,
  - 2) „Profilaktyka raka prostaty dla mężczyzn powyżej 40 roku życia z terenu Gminy Miejskiej Legionowo”,
  - 3) „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy Darłowo”,
  - 4) „Program profilaktyki wczesnego wykrywania wad i schorzeń narządu wzroku dzieci wśród dzieci w Gminie Wieluń na lata 2017-2022”.
9. Losowanie składów Zespołów na kolejne posiedzenia Rady.
10. Zamknięcie posiedzenia.

**Ad 1.** Posiedzenie o godzinie 10:00 otworzył Przewodniczący Rady Tomasz Pasierski.

**Ad 2.** Rada przyjęła jednogłośnie 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 analizy weryfikacyjnej Nr: OT.4351.5.2017 „Wnioski o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktów leczniczych Rixubis (nonacog gamma) w ramach programu lekowego: »Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D 67)«”.

Następnie swoją propozycję stanowiska przedstawił Lucjusz Jakubowski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska. Stwierdził, że zadanie, wobec braku danych porównawczych, nie było proste. Zaproponował stanowisko pozytywne, ponieważ jest to czynnik rekombinowany konkurencyjnej firmy w stosunku do tego, co już jest objęte możliwością refundowania w ramach istniejącego programu lekowego. Z badań pośrednich czy porównań pośrednich wynika, że skuteczność tego czynnika rekombinowanego jest porównywalna ze stosowanym obecnie Benefixem. Zauważył też, że wszystkie badania dotyczące Rixubisu i Benefixu obejmują populacje niejednorodną, nie tylko dzieci do 18 roku życia, ale także osoby starsze. Z badań wynika porównywalna skuteczność kliniczna, porównywalny profil bezpieczeństwa, a jednocześnie z rozliczeń w cenach zbytu netto całych opakowań w kolejnych stężeniach, że cena jednostki międzynarodowej w stosunku do Benefixu jest o ułamek procenta niższa. W porównaniu z Benefixem jest to efektywność kosztowa porównywalna i pozwalająca na generowanie niewielkich oszczędności, rzędu [redacted], czy [redacted] w skali roku, [redacted]. Ewidentnie w ramach tej samej grupy limitowej i istniejącego programu lekowego będzie to czynnik konkurencyjności tych 2 preparatów. Nie zgłosił żadnych uwag do programu lekowego dlatego – skoro to nie jest nowy program lekowy, ale funkcjonujący od lat, to nie jest zadaniem Rady wypowiedzenie się w tym momencie na temat istniejącego już programu. Uwagi mogą być zgłoszone do programu lekowego na wniosek organizacji, czy instytucji zajmujących się opieką nad dziećmi z hemofilią i jeśli zostaną wprowadzone zmiany, mogą one ewentualnie zostać ocenione przez Radę. Nie ma też uwag do instrumentu dzielenia ryzyka, skoro

tego instrumentu wnioskodawca nie zaproponował. Wobec wymowy faktów ekonomicznych przedstawionych we wniosku, do których analitycy AOTMiT nie mieli zastrzeżeń, zaproponowano stanowisko pozytywne. Nie wykazano różnic merytorycznych w działaniu tych preparatów i nie wykazano, aby terapia była znacząco droższa. W porównaniu z Benefixem wydaje się, że jest to propozycja efektywna kosztowo. Nie stwierdzono przeciwwskazań, aby w ramach tej samej grupy limitowej nie wprowadzić tego preparatu do programu lekowego.

Marlena Jankowiak, odnosząc się do uwag dotyczących programu lekowego, które zgłosili eksperci, stwierdziła, że program funkcjonuje w niezmiennym kształcie od lat, ale uwagi wniesione przez zespół kwalifikujący i weryfikujący leczenie hemofilii A i B przy Narodowym Funduszu Zdrowia (NFZ), zostały zgłoszone do centrali NFZ, NFZ jednakże prezes NFZ nie ma kompetencji do zmiany programu lekowego. Odnosząc się do ceny czynników krzepnięcia stwierdziła, że jest to specyficzny program lekowy, w którym ceny koncentratów czynników krzepnięcia, kształtuje fakt, że zakup jest dokonywany centralnie przez jednostkę koordynującą, którą w tym przypadku jest Instytut Matki i Dziecka. Dokonuje on zakupu wspólnego dla świadczeniodawców, którzy realizują program. Nie zdradzając tajników RSS, w kwestii programu zapobiegania krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B, należy zwracać uwagę na cenę jednostkową czynników krzepnięcia, ponieważ wynika ona z postępowań przetargowych. Cena, którą analitycy AOTMiT brali pod uwagę jako cenę komparatora, czyli Benefixu, jest ceną efektywną jednostki międzynarodowej czynnika IX rekombinowanego.

Analityk potwierdził, że odnaleziono informacje na temat przetargu, który jeszcze nie został rozstrzygnięty, ale oferty już zostały otwarte i te ceny są zgodne z uwzględnionymi w analizie. Z tych cen wynika, że Benefix jest droższy.

Wojciech Wysoczański, Dyrektor Wydziału Oceny Technologii Medycznych w AOTMiT zauważył, że cena może sprzyjać przetargom. Jeśli w stanowisku byłoby zaznaczone, że kuracja, jako całość, jest nieefektywna przy koszcie 300 tys. zł na rok za kurację, zastosowanie komparatora będzie efektywne, ponieważ jest on tańszy. Zauważył, że porównanie z osoczymi czynnikami krzepnięcia jest ważne, gdyż w planach rodzimych istnieje projekt budowania frakcjonowanego osocza. Nie ma badań wskazujących, że te czynniki są lepsze. Jest to stosunkowo nowa technologia produkcji, badania są nieliczne i obejmują małe grupy nie pozwalające na stwierdzenie, czy występują rzadkie działania niepożądane. Ta technologia oparta jest na komórkach nowotworowych, które zostały zmodyfikowane genetycznie, i jeśli przedostaną się do preparatu, mogą go zakażać.

Tomasz Pasierski stwierdził, że komórki nie są podawane. Czynnikiem jest ekstraktem.

Wojciech Wysoczański zauważył, że jeżeli w czasie produkcji do przenoszenia genów zostały użyte wirusy, to mogą one tak samo przedostać się w przypadku izolacji z osocza, jak i z tych preparatów.

W odpowiedzi Tomasz Pasierski wskazał, że Polska ma doświadczenie w stosowaniu czynnika VIII, też rekombinowanego, który jest wykorzystywany od wielu lat, i nie stwierdzono powikłań. Ta niepewność jest niewielka. Od lat Rada zmagają się z tym problemem, ponieważ chciano wprowadzać wszystkie czynniki rekombinowane ponieważ są bezpieczniejsze. Na początku były one jednak dużo droższe i dlatego Rada dzielnie się temu opierała uznając, że nie ma dowodów wskazujących na ich przewagę. Jeśli kosztują one tyle samo, to zaczyna się normalny kapitalizm i wolna gra rynkowa.

Lucjusz Jakubowski zauważył, że dyskusja miałaby inny charakter, gdyby w programie nie występował Benefix, i gdyby było to pierwsze podejście do oceny tego programu. Jednym z podstawowych argumentów branych na świecie pod uwagę przy stosowaniu czynników

rekombinowanych jest potencjalna ochrona pacjentów przed zakażeniami wirusowymi. Podnosi się fakt coraz lepszych technologii, jeśli chodzi o inaktywację znanych wirusów, nie wiadomo jednak na ile ta technologia jest efektywna w stosunku do potencjalnie nieznanymi zakażeń. Jest to zasadniczy argument wysuwany przy wprowadzaniu czynników rekombinowanych. Nie ma innych równie ważkich argumentów poza ochroną pacjentów przed potencjalnym zakażeniem czynnikami pochodzenia osoczowego.

Piotr Szymański wskazał, że różnica w cenie obu substancji wynosi mniej [REDAKTOWANE], a technologia ma charakter „technologii nic nowego” jeśli chodzi o punkty kliniczne. Zachodzi więc pytanie, czy Rada przyjmuje taką generalną zasadę, że „technologia nic nowego” ma kosztować co najmniej tyle samo, czy też ma być istotnie niższa, przy czym wówczas należałoby zawrzeć tę informację w stanowisku Rady.

Lucjusz Jakubowski stwierdził, że jest to sprawa negocjacji ceny przez Ministerstwo Zdrowia.

Piotr Szymański przypomniał, że dotychczas w przypadku „technologii nic nowego” Rada wprowadzała warunek niższej ceny.

Michał Myśliwiec stwierdził, że w stanowisku należy zaznaczyć, iż technologia jest nieefektywna kosztowo. Jest tańsza niż obecna na rynku, ale jednak jest niezmiernie droga.

Tomasz Pasiński zauważył, że sama hemofilia jest nieefektywna kosztowo i progi efektywności kosztowej w hemofilii są bardzo wysokie. Jeśli wnioskodawca chce wprowadzić na rynek lek w „technologii nic nowego”, to powinien on być tańszy.

Rada postanowiła jednogłośnie, że przyjmie pięć stanowisk dla Rixubis jedną uchwałą. Po ostatecznym sformułowaniu treści stanowisk, prowadzący zarządził głosowanie. W wyniku głosowania, 10 głosami za projektem uchwały, przy 0 głosów przeciw, Rada przyjęła uchwałę, która stanowi załącznik do protokołu, ws. przyjęcia następujących stanowisk:

- 1) Rixubis, nonacog gamma, rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 250 j.m., kod EAN: 5909991210090;
- 2) Rixubis, nonacog gamma, rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 500 j.m., kod EAN: 5909991210106;
- 3) Rixubis, nonacog gamma, rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 1000 j.m., kod EAN: 5909991210120;
- 4) Rixubis, nonacog gamma, rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 2000 j.m., kod EAN: 5909991210137;
- 5) Rixubis, nonacog gamma, rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 3000 j.m., kod EAN: 5909991210144.

**Ad 5.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: OT.4350.4.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Enstilar (calcipotriolum + betamethasonum) we wskazaniu: leczenie miejscowe łuszczyca zwyczajnej u dorosłych”.

Następnie swoją propozycję stanowiska przedstawił Konrad Maruszczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska. Oświadczył, że na podstawie analizy klinicznej nie znajduje przesłanek do stwierdzenia, aby oceniana interwencja generowała inkrementalny efekt zdrowotny w porównaniu do leku już refundowanego w postaci żelu. Są to interwencje o porównywalnej skuteczności. Powinna być zastosowana analiza minimalizacji kosztów, co się w tej sytuacji nie stało. Nawet gdyby przyjąć, że występuje inkrementalny efekt zdrowotny, to wnioskodawca nie przedstawił probabilistycznej analizy wrażliwości, która jest istotna i pozwala na testowanie ICUR-u przy jednoczesnej zmianie wielu

parametrów, a jednokierunkowa analiza wrażliwości została zaprezentowana w ograniczonym stopniu. Ocena efektywności kosztowej nigdy nie powinna się ograniczać tylko do ceny jednego parametru, jakim jest ICUR czy ICER. Analiza wrażliwości została potraktowana po macoszemu. Nie była testowana skuteczność leku w innych horyzontach czasowych, nie były testowane górne i dolne granice przedziałów ufności dla skuteczności, dlatego trudno całościowo ocenić efektywność kosztową leku. Zaproponował, aby stanowisko Rady zawierało pozytywną opinię co do refundacji tego preparatu w ramach obecnej grupy limitowej, z obniżeniem ceny do takiej, która umożliwi porównywalne koszty terapii zarówno dla preparatów w postaci piany, jak i żelu.

Prowadzący, po ostatecznym sformułowaniu stanowiska, zarządził głosowanie. Rada 10 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad. 9.** Przewodniczący Tomasz Pasierski zarządził losowanie członków Rady na posiedzenie w dniu 22 maja br.

**Ad 6. 1)** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.434.5.2017 „Lanreotyd w leczeniu nowotworów neuroendokrynych na potrzeby oceny zasadności dalszej refundacji, braku podstaw do dalszej refundacji, bądź zmiany zakresu refundacji”.

Następnie swoją propozycję opinii przedstawił Jerzy Stelmachów, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponował pozytywną opinię. Przypomniał, że Rada na ten temat obradowała 14 marca 2016 r. i wydała wówczas pozytywną opinię. Prezes AOTMiT też wydał taką opinię. Lanreotyd, zdaniem ekspertów i organizacji naukowych, jest jednym z podstawowych środków farmaceutycznych, zwłaszcza w leczeniu skojarzonym, ponieważ leczenie chirurgiczne ma w tym przypadku wątpliwą radykalność i jest uzupełniane farmaceutycznie. Lek jest refundowany w większości krajów europejskich. Eksperci również wydali opinie pozytywne.

Michał Myśliwiec zapytał o wskazania poza nowotworami neuroendokrynymi, gdyż one też wchodzi w zasadzie w decyzję Rady.

Jerzy Stelmachów zauważył, że zdaniem ekspertów te wskazania pokrywają się tylko częściowo, wobec czego należałoby oczekiwać wypowiedzi na ten temat ze strony Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej, ponieważ nie można podejmować decyzji przy tak różnych wskazaniach.

Wojciech Wysoczański zauważył, że problem polega na tym, iż przedstawiona klasyfikacja nowotworów nie pasuje do nowotworów neuroendokrynych, jest to klasyfikacja lokalizacyjna, a nie histopatologiczna. Lokalizacja nie zawsze pokrywa się z histopatologią.

Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 10 głosami za projektem opinii Rady, 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.434.6.2017 „Oktreotyd w leczeniu nowotworów neuroendokrynych Sandostatin, roztwór do wstrzykiwań, 50 µg/ml, 5 amp. po 1 ml, EAN 5909990042715”.

Swoją propozycję pozytywnej opinii przedstawił Michał Myśliwiec, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Stwierdził, że jest to lek tak samo działający i powinien być w tej samej grupie limitowej. Poprzednia opinia Prezesa AOTMiT wskazywała, że lek był w innej grupie.

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

**Ad 7.** Analitik AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.67.2017 „Zmiany przeciążeniowe narządu ruchu pracowników zakładów przemysłowych Wielkopolski – patobiomechanizm, profilaktyka, ergonomia stanowiska pracy”.

Następnie swoją negatywną propozycję opinii przedstawił Piotr Szymański, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Stwierdził, że omawiany program nie powinien już wrócić do Rady w żadnej postaci. W takiej postaci, w jakiej został sformułowany, zarówno jeśli chodzi o cele, bo podstawowym celem nie jest poprawa stanu badanej próbki reprezentatywnej 10 tys. osób, ale poszerzenie wiedzy na temat rehabilitacji i sposobów rehabilitacji, jak i częściowo kuriozalnych metod, także w odniesieniu do tej próbki naukowej 300-osobowej, jest to program całkowicie nie do zaakceptowania. Jedyną fascynującą sprawą, którą można uznać za nowatorską, mogącą spowodować ogromne oszczędności w badaniach naukowych, jest określenie próbki reprezentatywnej dla próbki reprezentatywnej.

Jerzy Stelmachów zauważył, że trochę szkoda pieniędzy, które mogłyby wpłynąć do Polski, ponieważ w około 80% program jest finansowany przez Unię Europejską. Dostępny jest schemat tworzenia projektu programu polityki zdrowotnej dla jst, z którego podmiot nie skorzystał. Zapytał, czy nie byłoby celowe stworzenie schematu dla programów unijnych.

W odpowiedzi Analitik AOTMiT wskazał, że programy finansowane ze środków unijnych mają tylko inny sposób finansowania, natomiast cały schemat jest taki sam. AOTMiT do analizy wymaga od wnioskodawcy, który stara się o środki unijne, takich samych danych jak przy dobrze zaprojektowanym programie polityki zdrowotnej, bez względu na to, czy wnioskodawcą byłaby mała gmina, czy województwo.

Piotr Szymański zwrócił uwagę na budzą wątpliwości zapisy budżetu, dotyczące wysokości kosztów tomografii, a w konsekwencji całego budżetu. Wreszcie, mówiąc o projekcie badawczym zaplanowanym w taki sposób, próbka do tego projektu musi być reprezentatywna. Jeśli jest reprezentatywna dla próbki reprezentatywnej, to milion złotych wydany na taki program badawczy jest milionem bezpowrotnie straconym. Projekt budzi podstawowe zastrzeżenia w postaci wielkości próbki, nieprawidłowej zgody i informacji dla pacjenta oraz, braku sformułowania celu tego projektu badawczego, krótko mówiąc, ten „podcel”, którym jest projekt badawczy wykorzystujący tomografię komputerową, budzi duże wątpliwości, zwłaszcza, że budżet określono na ponad milion złotych.

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

**Ad 8. 1)** Projekt swojej negatywnej opinii w sprawie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program zdrowotny profilaktyka nietrzymania moczu (NTM) dla mieszkank powyżej 50 roku życia z terenu gminy miejskiej Legionowo” przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Podkreśliła, że populacja kobiet, które kwalifikowałyby się do tego programu, wynosi około 11 200 osób, natomiast program przewidziany jest dla 45 kobiet, czyli 0,4% całej populacji. Praktycznie rzecz biorąc jest to projekt dla pacjentek wybranych, tych wskazanych, które mają mu podlegać. Poza tym wnioskodawca nie wyjaśnia, czy nietrzymanie moczu wśród mieszkank gminy miejskiej Legionowo jest istotnym problemem, bo jeśli dotyczy 45 kobiet, trudno powiedzieć czy jest istotnym. Dalej stwierdziła, że nie jest wymagana kwalifikacja lekarska. Ważna jest tylko kolejność zgłaszania się pacjentek, biorąc pod uwagę te 45. Oprócz tego, jeżeli chodzi

o ćwiczenia, bo w tym programie przewidziano serię ćwiczeń dla kobiet, które będą się odbywały średnio jeden do dwóch zajęć w miesiącu przez około 8 miesięcy, czyli bardzo rzadko, ciężko mówić o jakiegokolwiek korzyści dla tych pacjentek i jakimś efekcie zdrowotnym. Oprócz tego mówimy tu czasami o budżecie milionowym, a ten projekt ma budżet oszacowany na 4 tys. zł. W programie źle wyliczono również budżet jednostkowy na jedną uczestniczkę. Dlatego ten projekt należy całkowicie odrzucić.

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

**2)** Projekt swojej opinii w sprawie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Profilaktyka raka prostaty dla mężczyzn powyżej 40 roku życia z terenu Gminy Miejskiej Legionowo” przedstawiła Agata Maciejczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Program oceniła negatywnie, zgodnie z dotychczasowymi opiniami Rady w sprawie podobnych projektów. Program dotyczy pacjentów powyżej 40 roku życia, więc młodych. Nie ma też zaznaczonego górnego wieku. W projekcie proponuje się interwencje nieprawidłowe, ponieważ oprócz oznaczenia PSA interwencją ma być USG, a nie jest to narzędzie przesiewowe. Program zakłada objęcie 0,7% populacji, co też w przypadku programu przesiewowego budzi poważne zastrzeżenia. Zastrzeżenia ogólnie budzi sama konstrukcja programu, poza tym, że interwencja jest niepotrzebna. Jest to program, który należy zaopiniować jednoznacznie negatywnie.

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

**3)** Projekt swojej opinii w sprawie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy Darłowo” przedstawiła Agata Maciejczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Omawiany projekt zakłada, że pacjenci, którzy dostaną skierowanie od lekarza na zabiegi fizyko- i kinezyterapii, będą mieli przeprowadzone takie zabiegi. Oszacowano, że około 5% populacji weźmie udział w tym programie. Każdy pacjent otrzyma średnio 20 zabiegów. Proponowane zabiegi normalnie wykonywane są w ramach NFZ, dlatego nie budzą zastrzeżeń, a dodatkowo na terenie gminy Darłowo, której ten projekt dotyczy, nie działa żaden podmiot, który świadczyłby zabiegi rehabilitacyjno-lecznicze finansowane przez NFZ, więc faktycznie program ten zastępuje państwową służbę zdrowia.

Tomasz Pasierski poprawił, że nie zastępuje, ale wypełnia lukę.

Agata Maciejczyk przyznała, że uzupełnia. Podkreśliła jednak, że dostęp do świadczeń w tej gminie jest bardzo trudny. Natomiast sama konstrukcja programu ma wady. Jednym z głównych zastrzeżeń jest określenie budżetu, ale bez podania kosztów jednostkowych. Oprócz tego brakuje informacji czy programem będą objęte dzieci. Projekt ma również inne mankamenty, takie jak nieprawidłowe sformułowanie celu i mierników. Według niej należałoby rozważyć zorganizowanie transportu dla osób ciężko chorych, bo może to stanowić barierę w otrzymywaniu tego świadczenia przez pacjentów. Biorąc pod uwagę, że świadczenia są prawidłowe, budżet jest wskazany, wykonawca będzie wybrany w ramach konkursu, uważa, że pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady można byłoby ten program zaakceptować.

Lucjusz Jakubowski zauważył, że padło zdanie stwierdzające, że na tym terenie nie ma żadnej placówki, która by w ramach umowy z NFZ realizowała te świadczenia, a więc czy w ogóle instytucjonalnie są tam pomieszczenia do realizacji takiego programu? Jest to pewien problem, gdyż musi być jakieś miejsce, w którym świadczenia byłyby w ramach programu udzielane.

Wojciech Wysoczański zapytał, czy wnioskodawcy chcą zakupić te świadczenia, wówczas Rada byłaby niepotrzebna, a jeśli program ma być zdrowotny, to może zakłada wybudowanie takiego centrum rehabilitacji i wtedy zupełnie inaczej powinno to wyglądać. Czy program polega na tym, że tworzą własny ośrodek, czy na zakupieniu świadczeń zgodnych z programem.

Agata Maciejczyk odpowiedziała, że tego w projekcie nie podano, natomiast wydaje się, że mogą to być świadczenia, które są komercyjne. Jest powiedziane, że ten, kto się zgłosi, aby wykonać to świadczenie, musi zapewnić wszystkie dodatkowe usługi.

Tomasz Pasierski dodał, że gmina Darłowo ma w tej chwili liczne spa, więc są miejsca, w których można takie zabiegi przeprowadzić, można też wykupić je prywatnie.

Agata Maciejczyk zauważyła, że część tych usług można byłoby wykonać nawet w domu pacjenta, gdyby ktoś do tego pacjenta dojechał. W programie jest sporo takich znaków zapytania. Wydaje się jednak, że powinno się tę rehabilitację zaopiniować pozytywnie, ponieważ pacjenci nie mają takich usług w odpowiednim zakresie zapewnionych w ramach NFZ.

Michał Myśliwiec poparł opinię Agaty Maciejczyk, gdyż dostępność świadczenia rehabilitacyjnych w Polsce jest zbyt uboga w stosunku do ich wielkiej wartości.

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

**4)** Projekt swojej opinii w sprawie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program profilaktyki wczesnego wykrywania wad i schorzeń narządu wzroku wśród dzieci w Gminie Wieluń na lata 2017-2022” przedstawił Zbigniew Szawarski, członek Rady wyznaczony przez prowadzące posiedzenie do przygotowania projektu opinii.

Zbigniew Szawarski przedstawił negatywną ocenę projektu programu. Głównym argumentem na rzecz tej oceny jest brak rekomendacji światowych towarzystw i instytucji, które zajmują się okulistyką pediatryczną, aby tego typu badania przeprowadzać w wieku 8 lat. Wszystkie rekomendacje dotyczą wieku do lat 5, jedna do 6. Zakłada się, że w późniejszym wieku większość wad nie poddaje się korekcji, jest już utrwalona i jest zbyt późno na rehabilitację. wobec powyższego lepiej wykorzystać te fundusze w odniesieniu do dzieci do 6 r.ż. , kiedy istnieje rzeczywiście szansa na zdiagnozowanie i leczenie oraz rehabilitację danej wady. Odkrycie zezów czy innych podobnych wad w 8 r.ż. nie daje żadnej szansy na jego skuteczne skorygowanie, , a poza tym, niezależnie istnieje program rządowy, ministerialny regularnych badań dzieci i młodzieży aż do 18 r.ż. i to wystarcza, aby przynajmniej stwierdzić nadwzroczność czy krótkowzroczność, czy rekomendować zmiany okularów. To jest złe wykorzystanie bardzo skromnego budżetu, wynoszącego 6 tys. rocznie.

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

**Ad 10.** Prowadzący posiedzenie Tomasz Pasierski zakończył posiedzenie Rady o godzinie 12.15.

Protokół sporządził Tomasz Pasierski  
Przewodniczący Rady Przejrzystości

.....  
(data i podpis)



## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Baxalta Poland Sp. z o. o.

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Baxalta Poland Sp. z o. o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

**Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Baxalta Poland Sp. z o. o.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Uchwała Rady Przejrzystości  
nr 16/130/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 r.  
w sprawie stanowisk w sprawie oceny leku Rixubis  
(nonacog gamma) we wskazaniu: zapobieganie krwawieniom  
u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)**

*Rada przyjmuje treść stanowisk w sprawie zasadności finansowania produktów leczniczych:*

- *Rixubis, nonacog gamma, rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 250 j.m., kod EAN: 5909991210090;*
- *Rixubis, nonacog gamma, rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 500 j.m., kod EAN: 5909991210106;*
- *Rixubis, nonacog gamma, rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 1000 j.m., kod EAN: 5909991210120;*
- *Rixubis, nonacog gamma, rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 2000 j.m., kod EAN: 5909991210137;*
- *Rixubis, nonacog gamma, rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 3000 j.m., kod EAN: 5909991210144,*

*jak w załączeniu.*

.....  
Przewodniczący Rady Przejrzystości  
Prof. Tomasz Pasierski





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 37/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 roku

w sprawie oceny leku Rixubis (nonacog gamma) kod EAN:  
5909991210090, we wskazaniu: zapobieganie krwawieniom u dzieci  
z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Rixubis (nonacog gamma), rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 250 j.m., kod EAN: 5909991210090, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)”, w ramach grupy limitowej 1091.1, jako leku dostępnego w ramach programu lekowego i wydawanie go bezpłatnie.*

*Wnioskodawca nie zaproponował instrumentu dzielenia ryzyka.*

#### Uzasadnienie

*Wniosek dotyczy stosowania wnioskowanej technologii w ramach istniejącego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D 67)” (B.15), realizowanego na podstawie kolejnych Obwieszczeń Ministra Zdrowia, dotyczących leków refundowanych.*

*Problem zdrowotny jest znany i dobrze zdefiniowany. Populacja chorych oraz liczba wykonywanych u nich świadczeń w ramach wspomnianego programu lekowego jest dokładnie określona na podstawie danych sprawozdawczych posiadanych przez płatnika publicznego oraz dzięki rejestracji Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. Program lekowy wpisuje się w założenia „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne” w Polsce. W dostępnych doniesieniach naukowych oraz w opiniach ekspertów dominuje pogląd o koniecznym zindywidualizowaniu dawkowania czynników krzepnięcia zależnie od wieku, masy ciała, indywidualnej farmakokinetyki działania podanych czynników, cech charakterologicznych dziecka i związanego z tym trybem życia. Pacjenci wymagają stałej obserwacji i indywidualnego dostosowywania dawek zależnie od potrzeb.*

*Rixubis (nonacog gamma) jest rekombinowanym ludzkim czynnikiem krzepnięcia IX (rDNA) stosowanym celem leczenia oraz zapobiegania*



krwawieniom u dzieci i dorosłych z hemofilią typu B we wszystkich przedziałach wiekowych. Populacja wnioskowana do objęcia refundacją jest węższa od wskazania rejestracyjnego leku w związku z kryteriami kwalifikacji do programu lekowego w ramach którego lek ma być stosowany. Preparaty rekombinowane są zalecane w leczeniu hemofilii, ze względu na mniejsze ryzyko przeniesienia przez nie czynników zakaźnych (także dotąd nie opisanych), w porównaniu z koncentratami osoczopochodnymi. Dotyczy to wszystkich pacjentów niezależnie od wieku, a zwłaszcza tych, którzy nie są zakażeni wirusami HCV, HBV i HIV.

Nie odnaleziono wyników badań naukowych będących rezultatem bezpośredniego porównania działania koncentratów Rixubis z rekombinowanym komparatorem, refundowanym i udostępnianym obecnie w ramach programu lekowego B.15. Na podstawie porównań pośrednich można wnioskować, że efekt terapeutyczny obu technologii jest zbliżony, podobnie jak profil bezpieczeństwa ich stosowania. W badaniach dotyczących Rixubisu nie stwierdzano również ciężkich reakcji alergicznych, zdarzeń zakrzepowo-zatorowych, wystąpienia inhibitora przeciw FIX, przeciwciał dla białka CHO lub rFuryny. W obu przypadkach – Rixubisu i komparatora, nie raportowano zgonu któregokolwiek z pacjentów. Należy zaznaczyć, że dla obu technologii brak jest badań dotyczących przeżycia całkowitego, a jakość życia była analizowana jako drugorzędowy punkt końcowy. Podkreślenia wymaga również fakt, że przegląd systematyczny badań pierwotnych nie spełnia kryterium zgodności kryterium selekcji dla populacji z populacją docelową wskazaną we wniosku. Populacja wskazana w opisie programu lekowego obejmuje nowozdiagnozowanych, nieleczonych wcześniej czynnikami osoczopochodnymi pacjentów, podczas gdy do analizy klinicznej włączono badania obejmujące pacjentów leczonych wcześniej czynnikami osoczopochodnymi, a ponadto w części badań uwzględniono pacjentów dorosłych. Przegląd systematyczny badań pierwotnych nie spełnia także kryterium zgodności kryterium selekcji dla interwencji ocenianej z technologią wnioskowaną. Dawkowanie rekombinowanego czynnika IX zgodnie z zapisami programu lekowego wynosi 30-60 j.m./kg m.c., 1-2 razy w tygodniu, z zastrzeżeniem, że podawanie raz w tygodniu dotyczy dzieci dotychczas leczonych z dobrym efektem, podczas gdy w badaniach włączonych do analizy klinicznej dawkowanie wynosiło 40-80 j.m./kg m.c., 2 razy w tygodniu.

Z punktu widzenia analizy kosztów stosowanie interwencji wnioskowanej w miejsce komparatora jest tańsze w rocznym horyzoncie czasowym, a objęcie refundacją preparatu Rixubis (nonacog gamma) z perspektywy płatnika publicznego spowoduje wygenerowanie nieznacznych oszczędności

*w pierwszym i kolejnych latach od ewentualnego podjęcia decyzji refundacyjnej.*

*Rada zwraca uwagę na wciąż bardzo wysokie koszty obu porównywanych technologii.*

.....  
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 OT.4351.5.2017, „Wnioski o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktów leczniczych Rixubis (nonacog gamma) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D 67)”. Data ukończenia: 14 kwietnia 2017 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 38/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 roku  
w sprawie oceny leku Rixubis (nonacog gamma) kod EAN:  
5909991210106, we wskazaniu: zapobieganie krwawieniom u dzieci  
z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)**

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Rixubis (nonacog gamma), rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 500 j.m., kod EAN: 5909991210106, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)”, w ramach grupy limitowej 1091.1, jako leku dostępnego w ramach programu lekowego i wydawanie go bezpłatnie.*

*Wnioskodawca nie zaproponował instrumentu dzielenia ryzyka.*

### **Uzasadnienie**

*Wniosek dotyczy stosowania wnioskowanej technologii w ramach istniejącego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D 67)” (B.15), realizowanego na podstawie kolejnych Obwieszczeń Ministra Zdrowia, dotyczących leków refundowanych.*

*Problem zdrowotny jest znany i dobrze zdefiniowany. Populacja chorych oraz liczba wykonywanych u nich świadczeń w ramach wspomnianego programu lekowego jest dokładnie określona na podstawie danych sprawozdawczych posiadanych przez płatnika publicznego oraz dzięki rejestracji Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. Program lekowy wpisuje się w założenia „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne” w Polsce. W dostępnych doniesieniach naukowych oraz w opiniach ekspertów dominuje pogląd o koniecznym zindywidualizowaniu dawkowania czynników krzepnięcia zależnie od wieku, masy ciała, indywidualnej farmakokinetyki działania podanych czynników, cech charakterologicznych dziecka i związanego z tym trybem życia. Pacjenci wymagają stałej obserwacji i indywidualnego dostosowywania dawek zależnie od potrzeb.*

*Rixubis (nonacog gamma) jest rekombinowanym ludzkim czynnikiem krzepnięcia IX (rDNA) stosowanym celem leczenia oraz zapobiegania*



krwawieniom u dzieci i dorosłych z hemofilią typu B we wszystkich przedziałach wiekowych. Populacja wnioskowana do objęcia refundacją jest węższa od wskazania rejestracyjnego leku w związku z kryteriami kwalifikacji do programu lekowego w ramach którego lek ma być stosowany. Preparaty rekombinowane są zalecane w leczeniu hemofilii, ze względu na mniejsze ryzyko przeniesienia przez nie czynników zakaźnych (także dotąd nie opisanych), w porównaniu z koncentratami osoczopochodnymi. Dotyczy to wszystkich pacjentów niezależnie od wieku, a zwłaszcza tych, którzy nie są zakażeni wirusami HCV, HBV i HIV.

Nie odnaleziono wyników badań naukowych będących rezultatem bezpośredniego porównania działania koncentratów Rixubis z rekombinowanym komparatorem, refundowanym i udostępnianym obecnie w ramach programu lekowego B.15. Na podstawie porównań pośrednich można wnioskować, że efekt terapeutyczny obu technologii jest zbliżony, podobnie jak profil bezpieczeństwa ich stosowania. W badaniach dotyczących Rixubisu nie stwierdzano również ciężkich reakcji alergicznych, zdarzeń zakrzepowo-zatorowych, wystąpienia inhibitora przeciw FIX, przeciwciał dla białka CHO lub rFuryny. W obu przypadkach – Rixubisu i komparatora, nie raportowano zgonu któregokolwiek z pacjentów. Należy zaznaczyć, że dla obu technologii brak jest badań dotyczących przeżycia całkowitego, a jakość życia była analizowana jako drugorzędowy punkt końcowy. Podkreślenia wymaga również fakt, że przegląd systematyczny badań pierwotnych nie spełnia kryterium zgodności kryterium selekcji dla populacji z populacją docelową wskazaną we wniosku. Populacja wskazana w opisie programu lekowego obejmuje nowozdiagnozowanych, nieleczonych wcześniej czynnikami osoczopochodnymi pacjentów, podczas gdy do analizy klinicznej włączono badania obejmujące pacjentów leczonych wcześniej czynnikami osoczopochodnymi, a ponadto w części badań uwzględniono pacjentów dorosłych. Przegląd systematyczny badań pierwotnych nie spełnia także kryterium zgodności kryterium selekcji dla interwencji ocenianej z technologią wnioskowaną. Dawkowanie rekombinowanego czynnika IX zgodnie z zapisami programu lekowego wynosi 30-60 j.m./kg m.c., 1-2 razy w tygodniu, z zastrzeżeniem, że podawanie raz w tygodniu dotyczy dzieci dotychczas leczonych z dobrym efektem, podczas gdy w badaniach włączonych do analizy klinicznej dawkowanie wynosiło 40-80 j.m./kg m.c., 2 razy w tygodniu.

Z punktu widzenia analizy kosztów stosowanie interwencji wnioskowanej w miejsce komparatora jest tańsze w rocznym horyzoncie czasowym, a objęcie refundacją preparatu Rixubis (nonacog gamma) z perspektywy płatnika publicznego spowoduje wygenerowanie nieznacznych oszczędności

*w pierwszym i kolejnych latach od ewentualnego podjęcia decyzji refundacyjnej.*

*Rada zwraca uwagę na wciąż bardzo wysokie koszty obu porównywanych technologii.*

.....  
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 OT.4351.5.2017, „Wnioski o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktów leczniczych Rixubis (nonacog gamma) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D 67)”. Data ukończenia: 14 kwietnia 2017 r.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 39/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 roku

w sprawie oceny leku Rixubis (nonacog gamma) kod EAN:  
5909991210120, we wskazaniu: zapobieganie krwawieniom u dzieci  
z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Rixubis (nonacog gamma), rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 1000 j.m., kod EAN: 5909991210120, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)”, w ramach grupy limitowej 1091.1, jako leku dostępnego w ramach programu lekowego i wydawanie go bezpłatnie.*

*Wnioskodawca nie zaproponował instrumentu dzielenia ryzyka.*

#### Uzasadnienie

*Wniosek dotyczy stosowania wnioskowanej technologii w ramach istniejącego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D 67)” (B.15), realizowanego na podstawie kolejnych Obwieszczeń Ministra Zdrowia, dotyczących leków refundowanych.*

*Problem zdrowotny jest znany i dobrze zdefiniowany. Populacja chorych oraz liczba wykonywanych u nich świadczeń w ramach wspomnianego programu lekowego jest dokładnie określona na podstawie danych sprawozdawczych posiadanych przez płatnika publicznego oraz dzięki rejestracji Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. Program lekowy wpisuje się w założenia „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne” w Polsce. W dostępnych doniesieniach naukowych oraz w opiniach ekspertów dominuje pogląd o koniecznym zindywidualizowaniu dawkowania czynników krzepnięcia zależnie od wieku, masy ciała, indywidualnej farmakokinetyki działania podanych czynników, cech charakterologicznych dziecka i związanego z tym trybem życia. Pacjenci wymagają stałej obserwacji i indywidualnego dostosowywania dawek zależnie od potrzeb.*

*Rixubis (nonacog gamma) jest rekombinowanym ludzkim czynnikiem krzepnięcia IX (rDNA) stosowanym celem leczenia oraz zapobiegania*



krwawieniom u dzieci i dorosłych z hemofilią typu B we wszystkich przedziałach wiekowych. Populacja wnioskowana do objęcia refundacją jest węższa od wskazania rejestracyjnego leku w związku z kryteriami kwalifikacji do programu lekowego w ramach którego lek ma być stosowany. Preparaty rekombinowane są zalecane w leczeniu hemofilii, ze względu na mniejsze ryzyko przeniesienia przez nie czynników zakaźnych (także dotąd nie opisanych), w porównaniu z koncentratami osoczo pochodnymi. Dotyczy to wszystkich pacjentów niezależnie od wieku, a zwłaszcza tych, którzy nie są zakażeni wirusami HCV, HBV i HIV.

Nie odnaleziono wyników badań naukowych będących rezultatem bezpośredniego porównania działania koncentratów Rixubis z rekombinowanym komparatorem, refundowanym i udostępnianym obecnie w ramach programu lekowego B.15. Na podstawie porównań pośrednich można wnioskować, że efekt terapeutyczny obu technologii jest zbliżony, podobnie jak profil bezpieczeństwa ich stosowania. W badaniach dotyczących Rixubisu nie stwierdzano również ciężkich reakcji alergicznych, zdarzeń zakrzepowo-zatorowych, wystąpienia inhibitora przeciw FIX, przeciwciał dla białka CHO lub rFuryny. W obu przypadkach – Rixubisu i komparatora, nie raportowano zgonu któregokolwiek z pacjentów. Należy zaznaczyć, że dla obu technologii brak jest badań dotyczących przeżycia całkowitego, a jakość życia była analizowana jako drugorzędowy punkt końcowy. Podkreślenia wymaga również fakt, że przegląd systematyczny badań pierwotnych nie spełnia kryterium zgodności kryterium selekcji dla populacji z populacją docelową wskazaną we wniosku. Populacja wskazana w opisie programu lekowego obejmuje nowozdiagnozowanych, nieleczonych wcześniej czynnikami osoczo pochodnymi pacjentów, podczas gdy do analizy klinicznej włączono badania obejmujące pacjentów leczonych wcześniej czynnikami osoczo pochodnymi, a ponadto w części badań uwzględniono pacjentów dorosłych. Przegląd systematyczny badań pierwotnych nie spełnia także kryterium zgodności kryterium selekcji dla interwencji ocenianej z technologią wnioskowaną. Dawkowanie rekombinowanego czynnika IX zgodnie z zapisami programu lekowego wynosi 30-60 j.m./kg m.c., 1-2 razy w tygodniu, z zastrzeżeniem, że podawanie raz w tygodniu dotyczy dzieci dotychczas leczonych z dobrym efektem, podczas gdy w badaniach włączonych do analizy klinicznej dawkowanie wynosiło 40-80 j.m./kg m.c., 2 razy w tygodniu.

Z punktu widzenia analizy kosztów stosowanie interwencji wnioskowanej w miejsce komparatora jest tańsze w rocznym horyzoncie czasowym, a objęcie refundacją preparatu Rixubis (nonacog gamma) z perspektywy płatnika publicznego spowoduje wygenerowanie nieznacznych oszczędności

*w pierwszym i kolejnych latach od ewentualnego podjęcia decyzji refundacyjnej.*

*Rada zwraca uwagę na wciąż bardzo wysokie koszty obu porównywanych technologii.*

.....  
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 OT.4351.5.2017, „Wnioski o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktów leczniczych Rixubis (nonacog gamma) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D 67)”. Data ukończenia: 14 kwietnia 2017 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 40/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 roku

w sprawie oceny leku Rixubis (nonacog gamma) kod EAN:  
5909991210137, we wskazaniu: zapobieganie krwawieniom u dzieci  
z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Rixubis (nonacog gamma), rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 2000 j.m., kod EAN: 5909991210137, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)”, w ramach grupy limitowej 1091.1, jako leku dostępnego w ramach programu lekowego i wydawanie go bezpłatnie.*

*Wnioskodawca nie zaproponował instrumentu dzielenia ryzyka.*

#### Uzasadnienie

*Wniosek dotyczy stosowania wnioskowanej technologii w ramach istniejącego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D 67)” (B.15), realizowanego na podstawie kolejnych Obwieszczeń Ministra Zdrowia, dotyczących leków refundowanych.*

*Problem zdrowotny jest znany i dobrze zdefiniowany. Populacja chorych oraz liczba wykonywanych u nich świadczeń w ramach wspomnianego programu lekowego jest dokładnie określona na podstawie danych sprawozdawczych posiadanych przez płatnika publicznego oraz dzięki rejestracji Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. Program lekowy wpisuje się w założenia „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne” w Polsce. W dostępnych doniesieniach naukowych oraz w opiniach ekspertów dominuje pogląd o koniecznym zindywidualizowaniu dawkowania czynników krzepnięcia zależnie od wieku, masy ciała, indywidualnej farmakokinetyki działania podanych czynników, cech charakterologicznych dziecka i związanego z tym trybem życia. Pacjenci wymagają stałej obserwacji i indywidualnego dostosowywania dawek zależnie od potrzeb.*

*Rixubis (nonacog gamma) jest rekombinowanym ludzkim czynnikiem krzepnięcia IX (rDNA) stosowanym celem leczenia oraz zapobiegania*



krwawieniom u dzieci i dorosłych z hemofilią typu B we wszystkich przedziałach wiekowych. Populacja wnioskowana do objęcia refundacją jest węższa od wskazania rejestracyjnego leku w związku z kryteriami kwalifikacji do programu lekowego w ramach którego lek ma być stosowany. Preparaty rekombinowane są zalecane w leczeniu hemofilii, ze względu na mniejsze ryzyko przeniesienia przez nie czynników zakaźnych (także dotąd nie opisanych), w porównaniu z koncentratami osoczopochodnymi. Dotyczy to wszystkich pacjentów niezależnie od wieku, a zwłaszcza tych, którzy nie są zakażeni wirusami HCV, HBV i HIV.

Nie odnaleziono wyników badań naukowych będących rezultatem bezpośredniego porównania działania koncentratów Rixubis z rekombinowanym komparatorem, refundowanym i udostępnianym obecnie w ramach programu lekowego B.15. Na podstawie porównań pośrednich można wnioskować, że efekt terapeutyczny obu technologii jest zbliżony, podobnie jak profil bezpieczeństwa ich stosowania. W badaniach dotyczących Rixubisu nie stwierdzano również ciężkich reakcji alergicznych, zdarzeń zakrzepowo-zatorowych, wystąpienia inhibitora przeciw FIX, przeciwciał dla białka CHO lub rFuryny. W obu przypadkach – Rixubisu i komparatora, nie raportowano zgonu któregokolwiek z pacjentów. Należy zaznaczyć, że dla obu technologii brak jest badań dotyczących przeżycia całkowitego, a jakość życia była analizowana jako drugorzędowy punkt końcowy. Podkreślenia wymaga również fakt, że przegląd systematyczny badań pierwotnych nie spełnia kryterium zgodności kryterium selekcji dla populacji z populacją docelową wskazaną we wniosku. Populacja wskazana w opisie programu lekowego obejmuje nowozdiagnozowanych, nieleczonych wcześniej czynnikami osoczopochodnymi pacjentów, podczas gdy do analizy klinicznej włączono badania obejmujące pacjentów leczonych wcześniej czynnikami osoczopochodnymi, a ponadto w części badań uwzględniono pacjentów dorosłych. Przegląd systematyczny badań pierwotnych nie spełnia także kryterium zgodności kryterium selekcji dla interwencji ocenianej z technologią wnioskowaną. Dawkowanie rekombinowanego czynnika IX zgodnie z zapisami programu lekowego wynosi 30-60 j.m./kg m.c., 1-2 razy w tygodniu, z zastrzeżeniem, że podawanie raz w tygodniu dotyczy dzieci dotychczas leczonych z dobrym efektem, podczas gdy w badaniach włączonych do analizy klinicznej dawkowanie wynosiło 40-80 j.m./kg m.c., 2 razy w tygodniu.

Z punktu widzenia analizy kosztów stosowanie interwencji wnioskowanej w miejsce komparatora jest tańsze w rocznym horyzoncie czasowym, a objęcie refundacją preparatu Rixubis (nonacog gamma) z perspektywy płatnika publicznego spowoduje wygenerowanie nieznaczących oszczędności

*w pierwszym i kolejnych latach od ewentualnego podjęcia decyzji refundacyjnej.*

*Rada zwraca uwagę na wciąż bardzo wysokie koszty obu porównywanych technologii.*

.....  
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 OT.4351.5.2017, „Wnioski o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktów leczniczych Rixubis (nonacog gamma) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D 67)”. Data ukończenia: 14 kwietnia 2017 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 41/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 roku

w sprawie oceny leku Rixubis (nonacog gamma) kod EAN:  
5909991210144, we wskazaniu: zapobieganie krwawieniom u dzieci  
z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Rixubis (nonacog gamma), rekombinowany ludzki czynnik krzepnięcia IX (rDNA), 3000 j.m., kod EAN: 5909991210144, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)”, w ramach grupy limitowej 1091.1, jako leku dostępnego w ramach programu lekowego i wydawanie go bezpłatnie.*

*Wnioskodawca nie zaproponował instrumentu dzielenia ryzyka.*

#### Uzasadnienie

*Wniosek dotyczy stosowania wnioskowanej technologii w ramach istniejącego programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D 67)” (B.15), realizowanego na podstawie kolejnych Obwieszczeń Ministra Zdrowia, dotyczących leków refundowanych.*

*Problem zdrowotny jest znany i dobrze zdefiniowany. Populacja chorych oraz liczba wykonywanych u nich świadczeń w ramach wspomnianego programu lekowego jest dokładnie określona na podstawie danych sprawozdawczych posiadanych przez płatnika publicznego oraz dzięki rejestracji Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. Program lekowy wpisuje się w założenia „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne” w Polsce. W dostępnych doniesieniach naukowych oraz w opiniach ekspertów dominuje pogląd o koniecznym zindywidualizowaniu dawkowania czynników krzepnięcia zależnie od wieku, masy ciała, indywidualnej farmakokinetyki działania podanych czynników, cech charakterologicznych dziecka i związanego z tym trybem życia. Pacjenci wymagają stałej obserwacji i indywidualnego dostosowywania dawek zależnie od potrzeb.*

*Rixubis (nonacog gamma) jest rekombinowanym ludzkim czynnikiem krzepnięcia IX (rDNA) stosowanym celem leczenia oraz zapobiegania*



krwawieniom u dzieci i dorosłych z hemofilią typu B we wszystkich przedziałach wiekowych. Populacja wnioskowana do objęcia refundacją jest węższa od wskazania rejestracyjnego leku w związku z kryteriami kwalifikacji do programu lekowego w ramach którego lek ma być stosowany. Preparaty rekombinowane są zalecane w leczeniu hemofilii, ze względu na mniejsze ryzyko przeniesienia przez nie czynników zakaźnych (także dotąd nie opisanych), w porównaniu z koncentratami osoczopochodnymi. Dotyczy to wszystkich pacjentów niezależnie od wieku, a zwłaszcza tych, którzy nie są zakażeni wirusami HCV, HBV i HIV.

Nie odnaleziono wyników badań naukowych będących rezultatem bezpośredniego porównania działania koncentratów Rixubis z rekombinowanym komparatorem, refundowanym i udostępnianym obecnie w ramach programu lekowego B.15. Na podstawie porównań pośrednich można wnioskować, że efekt terapeutyczny obu technologii jest zbliżony, podobnie jak profil bezpieczeństwa ich stosowania. W badaniach dotyczących Rixubisu nie stwierdzano również ciężkich reakcji alergicznych, zdarzeń zakrzepowo-zatorowych, wystąpienia inhibitora przeciw FIX, przeciwciał dla białka CHO lub rFuryny. W obu przypadkach – Rixubisu i komparatora, nie raportowano zgonu któregokolwiek z pacjentów. Należy zaznaczyć, że dla obu technologii brak jest badań dotyczących przeżycia całkowitego, a jakość życia była analizowana jako drugorzędowy punkt końcowy. Podkreślenia wymaga również fakt, że przegląd systematyczny badań pierwotnych nie spełnia kryterium zgodności kryterium selekcji dla populacji z populacją docelową wskazaną we wniosku. Populacja wskazana w opisie programu lekowego obejmuje nowozdiagnozowanych, nieleczonych wcześniej czynnikami osoczopochodnymi pacjentów, podczas gdy do analizy klinicznej włączono badania obejmujące pacjentów leczonych wcześniej czynnikami osoczopochodnymi, a ponadto w części badań uwzględniono pacjentów dorosłych. Przegląd systematyczny badań pierwotnych nie spełnia także kryterium zgodności kryterium selekcji dla interwencji ocenianej z technologią wnioskowaną. Dawkowanie rekombinowanego czynnika IX zgodnie z zapisami programu lekowego wynosi 30-60 j.m./kg m.c., 1-2 razy w tygodniu, z zastrzeżeniem, że podawanie raz w tygodniu dotyczy dzieci dotychczas leczonych z dobrym efektem, podczas gdy w badaniach włączonych do analizy klinicznej dawkowanie wynosiło 40-80 j.m./kg m.c., 2 razy w tygodniu.

Z punktu widzenia analizy kosztów stosowanie interwencji wnioskowanej w miejsce komparatora jest tańsze w rocznym horyzoncie czasowym, a objęcie refundacją preparatu Rixubis (nonacog gamma) z perspektywy płatnika publicznego spowoduje wygenerowanie nieznacznych oszczędności



*w pierwszym i kolejnych latach od ewentualnego podjęcia decyzji refundacyjnej.*

*Rada zwraca uwagę na wciąż bardzo wysokie koszty obu porównywanych technologii.*

.....  
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 OT.4351.5.2017, „Wnioski o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktów leczniczych Rixubis (nonacog gamma) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D 67)”. Data ukończenia: 14 kwietnia 2017 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 42/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 roku

w sprawie oceny leku Enstilar (calcipotriolum + betamethasonum)

kod EAN: 5909991283599, we wskazaniu: leczenie miejscowe

łuszczycy zwyczajnej u dorosłych

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Enstilar (calcipotriolum + betamethasonum), 50µg +0,5mg/g, piana na skórę 60 g, kod EAN: 5909991283599, we wskazaniu: leczenie miejscowe łuszczycy zwyczajnej u dorosłych, w ramach grupy limitowej 18.3 Witamina D i jej analogi - kalcypotriol w połączeniach z kortykosteroidami do stosowania na skórę, jako leku dostępnego w aptece na receptę i wydawanie go za odpłatnością w wysokości 30%, pod warunkiem obniżenia kosztów leczenia wnioskowanym lekiem do kosztów leczenia preparatem w formie żelu.*

#### Uzasadnienie

*Dowody naukowe potwierdzają porównywalną skuteczność preparatów zawierających calcipotriolum + betamethasonum w formie żelu i piany w leczeniu miejscowym łuszczycy zwyczajnej u dorosłych.*

*Szansa uzyskania powodzenia na leczenie w ocenie badacza nie różniła się istotnie statystycznie pomiędzy badanymi grupami (CAL/BDM piana vs CAL/BDM żel, jak również CAL/BDM piana vs CAL/BDM maść), a punkt ten był pierwszorzędnym punktem końcowym w obu badaniach randomizowanych włączonych do analizy klinicznej.*

*Wykazano również brak istotnych statystycznie różnic pomiędzy CAL/BDM w postaci piany a preparatami złożonymi w postaci żelu i maści w zakresie zmiany wyników kwestionariuszy służących do oceny jakości życia (DLQI, EQ-5D Index, EQ VAS, PQoL-12). Nie było również różnicy między grupą piany i żelu w zakresie szansy uzyskania istotnej klinicznie poprawy kwestionariusza DLQI.*

*Jedynie w przypadku szansy uzyskania odpowiedzi na leczenie w ocenie pacjenta wynik był istotnie statystycznie lepszy w grupie piany niż w grupie żelu po 12 tygodniach leczenia. Ponadto, w badaniu PSO-ABLE wykazano istotnie statystycznie większą szansę uzyskania 50- i 75-procentowej redukcji wskaźnika mPASI po 12 tygodniach leczenia w grupie piany w porównaniu do żelu (choć*



*zmiana wyniku kwestionariusza mierzona za pomocą zmiennej ciągłej nie różniła się istotnie statystycznie między grupami).*

*Brak jest dobrze udokumentowanych cech szczególnych, które w sposób przekonujący uzasadniałyby utworzenie odrębnej grupy limitowej dla preparatu zawierającego calcypotriol + betametazon w formie piany.*

.....  
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 OT.4350.4.2017, „Wniosek o objęcie refundacją leku Enstilar (calcipotriolum + betamethasonum) we wskazaniu: leczenie miejscowe łuszczycy zwyczajnej u dorosłych”. Data ukończenia: 13 kwietnia 2017



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 97/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 roku

w sprawie zasadności dalszej refundacji lanreotydu w leczeniu nowotworów neuroendokrynnych, braku podstaw do dalszej refundacji, bądź zmiany zakresu refundacji

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadną dalszą refundację produktów leczniczych zawierających substancję czynną lanreotidum, jako leków stosowanych w ramach chemioterapii we wskazaniach opisanych kodami ICD-10, które są ujęte w załączniku C.37a, wydawanych pacjentom w ramach istniejącej grupy limitowej: 1026.0 analogi somatostatyny.*

*Jednocześnie Rada Przejrzystości zwraca uwagę, że w grupie tej znajdują się wskazania, które nie dotyczą nowotworów neuroendokrynnych t.j.:*

- *kod E 34.3 karłowatość, gdzie indziej niesklasyfikowana,*
- *kod E 34.4 konstytucjonalny wysoki wzrost,*
- *kod E 34.5 Zespół oporności androgennej,*
- *kod E 34.8 inne określone zaburzenia wewnątrzwydzielnicze (zab. czynności szyszynki, progeria),*

*w których to analogi somatostatyny nie znajdują zastosowania.*

#### **Uzasadnienie**

*Lantreotyd zdaniem powołanych ekspertów, jak i w opiniach towarzystw naukowych, jest jednym z podstawowych środków farmaceutycznych stosowanych w leczeniu objawów hipersekcji towarzyszącej nowotworom neuroendokrynnym oraz u chorych z guzami żołądkowo-jelitowo-trzustkowymi. Omawiany produkt leczniczy, w połączeniu z zabiegami chirurgicznymi, jest obecnie najskuteczniejszą metodą terapii. Eksperci podkreślają brak innych procedur postępowania mogących zastąpić stosowanie lantreotydu. Korzyści i bezpieczeństwo ze stosowania analogów somatostatyny poparte zostało dowodami naukowymi dostatecznej jakości oraz wynikami wieloletniej praktyki lekarskiej. Lek ten jest refundowany w większości krajów Unii Europejskiej.*

#### **Przedmiot zlecenia**

Zlecenie Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, na podstawie pisma Ministra Zdrowia PLA.4600.24.2017.DJ IK:823617 z dnia 10.01.2017r dotyczyło m.in. wydania opinii Rady Przejrzystości w zakresie zasadności dalszej refundacji leków:



- Somatuline Autogel (lanreotidum), roztwór do wstrzykiwań, 60 mg, 1 amp.-strz. po 0,5 ml z automatycznym systemem zabezpieczającym + igła, EAN 5909991094416,
- Somatuline Autogel (lanreotidum), roztwór do wstrzykiwań, 90 mg, 1 amp.-strz. po 0,5 ml z automatycznym systemem zabezpieczającym + igła, EAN 5909991094515,
- Somatuline Autogel (lanreotidum), roztwór do wstrzykiwań, 120 mg, 1 amp.-strz. po 0,5 ml z automatycznym systemem zabezpieczającym + igła, EAN 5909991094614,
- Somatuline PR (lanreotidum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia zawiesiny do wstrzykiwań, 30 mg, 1 fiol. + 1 amp. po 2 ml + 1 strz. po 3 ml + 2 igły, EAN 5909990420711,

we wskazaniach określonych w załączniku C.37.a do katalogu chemioterapii, braku podstaw do dalszej refundacji, bądź zmiany zakresu refundacji, z uwzględnieniem:

1. skuteczności klinicznej i praktycznej,
2. bezpieczeństwa stosowania,
3. wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych.

.....  
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 opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszej refundacji, braku podstaw do dalszej refundacji, bądź zmiany zakresu refundacji nr OT.434.5.2017 „Lanreotyd w leczeniu nowotworów neuroendokrynych”. Data ukończenia: Data ukończenia: 18.04.2017 r.



---

**Opinia Rady Przejrzystości**  
nr 98/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 roku  
w sprawie zasadności dalszej refundacji oktreotydu w leczeniu  
nowotworów neuroendokrynych, braku podstaw do dalszej  
refundacji, bądź zmiany zakresu refundacji

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadną dalszą refundację produktów leczniczych zawierających substancję czynną oktreotydu, jako leków stosowanych w ramach chemioterapii we wskazaniach opisanych kodami ICD-10, które są ujęte w załączniku C.45.a., wydawanych pacjentom w ramach istniejącej grupy limitowej: 1026.0 analogi somatostatyny.*

*Jednocześnie Rada Przejrzystości zwraca uwagę, że w grupie tej znajdują się wskazania, które nie dotyczą nowotworów neuroendokrynych t.j.:*

- *kod E 34.3 karłowatość, gdzie indziej niesklasyfikowana,*
- *kod E 34.4 konstytucjonalny wysoki wzrost,*
- *kod E 34.5 Zespół oporności androgennej,*
- *kod E 34.8 inne określone zaburzenia wewnątrzwydzielnicze (zab. czynności szyszynki, progeria),*

*w których to analogi somatostatyny nie znajdują zastosowania.*

**Uzasadnienie**

*Oktreotydu hamuje zwiększone wydzielanie hormonu wzrostu, serotoniny i peptydów wytwarzanych przez żołądkowo-jelitowo-trzustkowy układ wewnątrzwydzielniczy, łagodząc w sposób istotny objawy związane z nadmierną sekrecją tych hormonów w nowotworach neuroendokrynych. Ponadto, lek działa antyproliferacyjnie i hamuje angiogenezę, dzięki czemu hamuje progresję nowotworów.*

*Dostępne doniesienia naukowe, w tym 3 RCT oraz opinie ekspertów klinicznych pozwalają stwierdzić, że lek zmniejsza objawy choroby oraz wzrost nowotworu, istotnie wydłużając czas bez progresji guza.*

*Oktreotydu jest skuteczny klinicznie i praktycznie w przypadkach, gdy leczenie chirurgiczne jest nieskuteczne lub niemożliwe. Jest w tych przypadkach lekiem pierwszego wyboru. Lek jest bezpieczny i dobrze tolerowany.*



*Większość zidentyfikowanych wytycznych klinicznych oraz międzynarodowych organizacji rekomenduje stosowanie oktreotydu we wnioskowanym wskazaniu. Lek jest refundowany w większości krajów europejskich o PKB podobnym do Polski.*

*Wydatki NFZ na refundację oktreotydu, stosowanego w ramach chemioterapii, wyniosły w 2016 roku 19,90 mln zł, z czego większość na leczenie akromegalii. Można przypuszczać, że wydatki w rozpatrywanym wskazaniu stanowią niewielki odsetek tej kwoty.*

#### **Przedmiot zlecenia**

Zlecenie Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, na podstawie pisma Ministra Zdrowia PLA.4600.25.2017.DJ IK:823732 z dnia 10.01.2017r dotyczyło m.in. wydania opinii Rady Przejrzystości w zakresie zasadności dalszej refundacji leków:

- Sandostatin (octreotidum), roztwór do wstrzykiwań, 50 µg/ml, 5 amp. po 1 ml, EAN 5909990042715,
- Sandostatin (octreotidum), roztwór do wstrzykiwań, 100 µg/ml, 5 amp. po 1 ml, EAN 5909990042913,
- Sandostatin LAR (octreotidum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania zawiesiny do wstrzykiwań, 30 mg, 1 fiol. + 1 amp.-strz. z rozp. 2 ml, EAN 5909990459513,
- Sandostatin LAR (octreotidum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania zawiesiny do wstrzykiwań, 20 mg, 1 fiol. + 1 amp.-strz. z rozp. 2 ml, EAN 5909990459612,
- Sandostatin LAR (octreotidum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania zawiesiny do wstrzykiwań, 10 mg, 1 fiol. + 1 amp.-strz. z rozp. 2 ml, EAN 5909990459711,

we wskazaniach określonych w załączniku C.45.a do katalogu chemioterapii, braku podstaw do dalszej refundacji, bądź zmiany zakresu refundacji, z uwzględnieniem:

1. skuteczności klinicznej i praktycznej,
2. bezpieczeństwa stosowania,
3. wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych.

.....  
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 na potrzeby oceny zasadności dalszej refundacji, braku podstaw do dalszej refundacji, bądź zmiany zakresu refundacji nr OT.434.6.2017 „Oktreotydu w leczeniu nowotworów neuroendokrynych”. Data ukończenia: 18.04.2017 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Opinia Rady Przejrzystości  
nr 99/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 roku  
o projekcie programu „Zmiany przeciążeniowe narządu ruchu  
pracowników zakładów przemysłowych Wielkopolski –  
patobiomechanizm, profilaktyka, ergonomia stanowiska pracy”  
(woj. wielkopolskiego)**

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Zmiany przeciążeniowe narządu ruchu pracowników zakładów przemysłowych Wielkopolski – patobiomechanizm, profilaktyka, ergonomia stanowiska pracy” (woj. wielkopolskiego).*

### **Uzasadnienie**

*Przedstawiony program był już poprzednio negatywnie oceniony przez Radę i negatywnie zaopiniowany przez Prezesa Agencji. Zdaniem Rady, pomimo dokonanych poprawek, program nadal budzi istotne wątpliwości wynikające m.in. z niejasnych zapisów dotyczących budżetu oraz z niewłaściwie zaplanowanych i uzasadnionych interwencji. Uwagi zawarte w poprzedniej opinii Prezesa Agencji uwzględniono tylko częściowo lub też całkowicie nie zostały uwzględnione. Cele szczegółowe nadal nie spełniają w pełni założeń dobrze sformułowanych celów, zgodnie z regułą S.M.A.R.T. Zgodnie z opiniami ekspertów nadal wątpliwości budzi możliwość osiągnięcia celu głównego programu jakim jest zwiększenie prawidłowych nawyków ruchowych. Przedstawiony sposób realizacji programu i podejmowane w trakcie jego trwania zadania są ukierunkowane głównie na zebranie informacji o stanie zdrowia pracowników, poprzez wykonywanie bardzo wielu badań diagnostycznych dla jednej osoby. Sama ocena stanu pacjenta i prowadzenie działań edukacyjnych (broszury i filmy dotyczące zalecanych ćwiczeń) nie spowodują zmiany nawyków (stylu życia). Działania z zakresu edukacji i doboru ćwiczeń są opisane nazbyt lakonicznie i nie pozwalają na pozytywną ocenę.*

*Cel dotyczący podnoszenia wiedzy personelu medycznego i lekarzy POZ poprzez opracowanie materiałów w formie broszur łączy się z celem głównym tylko pośrednio. Osiągnięcia w tym zakresie nie muszą przekładać się na wytwarzanie prawidłowych nawyków wykonywania ćwiczeń u uczestników programu. Dodatkowo wnioskodawca przedstawił w sposób pobieżny kryteria i sposób*





*kwalifikacji uczestników. Rada ma wątpliwości odnośnie do możliwości praktycznej realizacji programu w zakładanych ramach czasowych. Wnioskodawca nie określił składu, wielkości oraz liczby zespołów badawczych, które miałyby realizować poszczególne zadania. Duże wątpliwości wzbudza wykonywanie tomografii komputerowej w sposób zaplanowany przez realizatorów programu - w swojej znaczącej części projekt ma znamiona projektu badawczego, przy czym załączony formularz informacji dla pacjenta nie zawiera istotnych dla niego informacji o charakterze i ryzyku planowanych interwencji. Nadal nie jest jasne zatem co należy rozumieć pod pojęciem „badania okresowego” pracownika. Wnioskodawca nie odniósł się do mierników, które miałyby określać poziom wiedzy przed i po wprowadzeniu programu u pracowników, pracodawców oraz pozostałych grup uczestników programu. Przedstawiony budżet nadal wzbudza szereg zastrzeżeń – przykładowo, zaplanowany koszt tomografii komputerowej kręgosłupa odcinka lędźwiowego jest o ponad połowę wyższy od komercyjnej ceny tej usługi. Precyzyjnie zaplanowany kosztorys jest sprawą szczególnie ważną w programie, którego preliminowane koszty są wysokie.*

.....

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.441.67.2017, „Zmiany przeciążeniowe narządu ruchu pracowników zakładów przemysłowych Wielkopolski – patobiomechanizm, profilaktyka, ergonomia stanowiska pracy” realizowany przez: Województwo Wielkopolskie, Warszawa, kwiecień 2017 oraz Aneksu: „Programy w zakresie zapobiegania chorobom mięśniowo-szkieletowym oraz fizjoprofilaktyki dotyczącej ergonomii pracy –wspólne podstawy oceny” z wrzesień 2016 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 100/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 roku o projekcie programu „Program zdrowotny profilaktyka nietrzymania moczu (NTM) dla mieszkank powyżej 50 roku życia z terenu gminy miejskiej Legionowo”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program zdrowotny profilaktyka nietrzymania moczu (NTM) dla mieszkank powyżej 50 roku życia z terenu gminy miejskiej Legionowo”.*

#### Uzasadnienie

*W treści projektu wnioskodawca odnosi się do niewłaściwego terminu „programu zdrowotnego”, od stycznia 2015 r., zgodnie z obowiązkiem ustawowym, opinii Agencji poddawane są programy polityki zdrowotnej. Opis problemu zdrowotnego został przedstawiony w sposób zdawkowy. Wnioskodawca nie wyjaśnia czy problematyka nietrzymania moczu wśród mieszkańców gminy miejskiej Legionowo jest istotnym problemem na terenie danej jednostki samorządu terytorialnego. Nie uzasadniono potrzeby wdrożenia danego programu. Zgodnie z danymi przedstawionymi przez GUS w 2015 r., kobiety powyżej 50 roku życia to 11 193, jak wskazano w programie liczba potencjalnych uczestników to 45 kobiet, co stanowić będzie ok. 0,4% wszystkich kobiet powyżej 50 roku życia zamieszkujących gminę miejską Legionowo i jak wynika z projektu, uczestnictwo w programie zależy od kolejności zgłoszenia się osoby, dlatego też nasuwa się pytanie, czy program nie jest przeznaczony tylko dla grupy wybranej. Program dotyczyć będzie przede wszystkim wysiłkowego nietrzymania moczu u kobiet po 50 roku życia. Problem nietrzymania moczu u kobiet po 50 roku życia może częściowo wpisywać się w jeden z priorytetów zdrowotnych Ministerstwa Zdrowia jakim jest: poprawa jakości i skuteczności opieki geriatrycznej nad pacjentem w wieku podeszłym. Jednak należy wskazać, że zgodnie z definicją Światowej Organizacji Zdrowia wiek podeszły rozpoczyna się dopiero od 60 roku. Wnioskodawca w programie nie określa jednoznacznie z jakim rodzajem rozpoznania nietrzymania moczu kwalifikowane będą mieszkanki Legionowa (czy tylko wysiłkowym, czy może jednak mieszanym, pilnym lub funkcjonalnym), ciężko jest zatem określić zasadność zaplanowanych interwencji i ich zgodność z rekomendacjami. W programie nie odniesiono się do kwestii ewentualnej kwalifikacji lekarskiej i wykluczenia przeciwwskazań*



zdrowotnych do uczestnictwa w programie. Program nie zawiera szczegółowego harmonogramu zajęć ćwiczeniowych. Zajęcia będą odbywać się w formie cyklu 10 spotkań (prawdopodobnie dla każdej z uczestniczek) po 55 minut. Zgodnie z zestawieniem kosztów całkowitych programu, wspomniany cykl spotkań został przewidziany na cały okres realizacji programu, tj. ok. 8 miesięcy (czyli średnio ok. 1-2 zajęć w miesiącu). Biorąc powyższe pod uwagę, zajęcia te będą odbywać się stosunkowo rzadko, więc ciężko mówić o jakiegokolwiek systematyczności, czy też intensywności działań.

Poza tym program nie zawiera referencji bibliograficznych, stosownego wykazu piśmiennictwa. W projekcie nie odniesiono się do obecnego postępowania w zakresie schorzeń układu moczowego u kobiet. W projekcie przedstawiono cztery jego założenia główne, ale są one jednak zbyt ogólne i nie spełniają podstawowych kryteriów S.M.A.R.T. Ponadto, wątpliwości budzi kwestia poprawy sprawności psychicznej uczestniczek programu. W projekcie nie ma odniesienia do stosowanych działań w danym kierunku. Projekt nie zawiera odniesienia do celów szczegółowych, które powinny stanowić uzupełnienie głównego założenia programu, nie wskazano oczekiwanych efektów i mierników efektywności. Nie określono kompetencji potencjalnego realizatora oraz szczegółowych i niezbędnych wymagań w ramach realizacji programu. W programie planowane jest przeprowadzenie ankiety wśród uczestniczek, nie dołączono jednak wzorów kwestionariuszy.

W projekcie oszacowano jego koszty całkowite na kwotę 4 000 zł oraz przedstawiono szacunkowy koszt cyklu 10 spotkań dla jednego uczestnika programu, tj. 8 zł. Oszacowany koszt jednostkowy wydaje się być zbyt niski, biorąc pod uwagę cały cykl zaplanowanych interwencji. Biorąc pod uwagę wartość kosztu całkowitego oraz przewidywaną liczbę potencjalnych uczestników programu szacować można, że na jedną osobę zostanie wydana kwota ok. 88,9 zł, a nie 8 zł jak wskazuje wnioskodawca.

.....  
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.441.61.2017, „Program zdrowotny profilaktyka nietrzymania moczu (NTM) dla mieszkanki powyżej 50 roku życia z terenu gminy miejskiej Legionowo” realizowany przez: Miasto Legionowo, Warszawa, kwiecień 2017 oraz Aneksem „Programy z zakresu profilaktyki geriatrycznej - wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2015 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 101/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 roku o projekcie programu „Profilaktyka raka prostaty dla mężczyzn powyżej 40 roku życia z terenu Gminy Miejskiej Legionowo”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Profilaktyka raka prostaty dla mężczyzn powyżej 40 roku życia z terenu Gminy Miejskiej Legionowo”.*

#### **Uzasadnienie**

*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).*

*Populacyjne badania przesiewowe w kierunku raka gruczołu krokowego oparte na PSA (z ang. prostate-specific antygen - swoisty antygen sterczowy), redukują śmiertelność z powodu tego nowotworu, jednak kosztem nadwykrywalności i niepotrzebnego leczenia, przez co nie są zlecane (ESMO 2015, 2016). Dowody naukowe wskazują na korzyści z prowadzenia przesiewu w zmniejszeniu liczby zgonów z powodu raka prostaty o 21%, jednakże główne szkody leczenia mężczyzn, na podstawie fałszywie pozytywnego wyniku badania PSA, nadal przewyższają korzyści (UK NSC 2016).*

*Odnalezione rekomendacje nie wskazują na zasadność obejmowania badaniami przesiewowymi mężczyzn bezobjawowych od 40 r.ż. (wykonywanie takich badań nie jest rekomendowane u mężczyzn poniżej 55 r.ż. – CTFPHC 2014).*

*Eksperci są zgodni co do tego, że w zakresie wykrywania raka gruczołu krokowego można prowadzić skryning oportunistyczny w wybranej grupie mężczyzn. Badaniem powinni zostać objęci mężczyźni z grupy ryzyka: rodzinne występowanie raka prostaty; jeśli PSA w 40 r.ż. wyniosło powyżej 1,0; jeżeli PSA w 60 r.ż. wyniosło powyżej 2,0. Kluczową rolę w postępowaniu powinien odgrywać lekarz-urolog.*

*Pacjenci o podwyższonym ryzyku zachorowania na raka prostaty (w warunkach polskich przede wszystkim pokrewieństwo pierwszego stopnia z mężczyzną,*



u którego raka prostaty zdiagnozowano przed 65 r.ż) powinni otrzymać informację o możliwości przeprowadzenia badań w kierunku wykrycia raka gruczołu krokowego w wieku 45 lat (ACS 2010, 2016, NHMRC 2016), a pacjenci o znacznym ryzyku choroby (rodziny w przypadku których u wielu najbliższych np. ojca i dwóch braci został zdiagnozowany rak prostaty przed 65 r.ż.) powinni otrzymać tę informację w wieku 40 lat (ACS 2010, 2016, NHMRC 2016).

Programy wczesnego wykrywania należy stosować wyłącznie w sposób świadomy ze strony lekarza i chorego, po omówieniu argumentów przemawiających za i przeciw oraz określeniu celu i sposobu postępowania oraz uzyskania świadomej zgody ze strony pacjenta.

Proces podejmowania świadomej decyzji przez pacjenta powinien składać się ze zrozumienia podstawowych informacji na temat raka prostaty, roli badania przesiewowego, zrozumienia niepewności, ryzyka i potencjalnych korzyści związanych zarówno z wykonaniem, jak i niewykonaniem badania diagnostycznego, rozważenie własnych preferencji, ustalenia stopnia udziału w podejmowaniu decyzji (wspólnie z lekarzem) oraz podjęcia lub odroczenia decyzji na podstawie własnych preferencji (ACS 2010, 2016).

Zasadne jest prowadzenie interwencji edukacyjnych – promocji zdrowia obejmujących samobadanie jąder, zwrócenie uwagi na ewentualne występowanie krwimoczu. Edukacja powinna podkreślać, że PSA < 4,0 nie wyklucza występowania raka oraz że nie wszystkie rozpoznane przy pomocy biopsji raki prostaty wymagają leczenia, 1/3 chorych z rakiem gruczołu krokowego nie odniesie korzyści z jakiegokolwiek leczenia. Oceny ryzyka lekarz prowadzący dokona na podstawie kilku parametrów m.in. wieku, objętości gruczołu krokowego, wywiadu.

Brak uzasadnienia do oznaczania PSA (i biopsji) u mężczyzn z negatywnym DRE (ang. digital rectal examination - badanie per rectum) po 75 roku życia.

Badania USG nie powinno się traktować jako narzędzia przesiewowego. Służy ono do określenia stopnia zaawansowania choroby. Badanie to znajduje się wykazie świadczeń gwarantowanych.

Program ma objąć 85 mężczyzn po 40 roku życia z terenu gminy miejskiej Legionowo. Liczba osób, która może uczestniczyć w programie stanowi 0,73% populacji docelowej. Planowane interwencje to badanie ultrasonograficzne gruczołu krokowego, oznaczenie PSA, konsultacje z lekarzem urologiem dla pacjentów, u których wykryto nieprawidłowości.

Planowane interwencje nie znajdują odzwierciedlenia w rekomendacjach opisanych powyżej. Oprócz tego zasadniczego zastrzeżenia projekt nie został przygotowany prawidłowo:

- *nie wskazano na konieczność wyrażenia przez pacjenta świadomej zgody na udział w badaniu. Nie odniesiono się do konieczności omówienia spodziewanych korzyści i ryzyka związanego z uczestnictwem w badaniu. Tylko w przypadku, gdy mężczyzna po otrzymaniu wyczerpujących rzetelnych informacji, nadal będzie chciał poddać się badaniu oznaczenia PSA jest ono akceptowalnym testem (RACGP 2016);*
- *w projekcie zbyt pobieżnie przedstawiono opis raka gruczołu krokowego i czynniki ryzyka jego wystąpienia. Między innymi nie uwzględniono rekomendacji na temat zasadności przeprowadzenia skryningu oportunistycznego u mężczyzn z czynnikiem ryzyka, jakim jest rodzinne występowanie raka prostaty;*
- *w opisie błędnie podano, że częstość zachorowań wzrasta istotnie po 40 roku życia, gdy w rzeczywistości dotyczy to mężczyzn po 50 r.ż.;*
- *nie określono górnej granicy wieku dla uczestników programu;*
- *nie podano wartości granicznej wyniku PSA, który byłby podstawą do skierowania uczestnika do lekarza urologa, decydującego o dalszym postępowaniu;*
- *nie zaproponowano żadnych działań edukacyjnych. Nie odniesiono się do konieczności przekazania pacjentowi niezbędnych informacji dotyczących przygotowania do badania.*
- *Wytyczne NHMRC (2016) wskazują, że badania PSA nie powinno się wykonywać w przypadku aktywnego zakażenia dróg moczowych, ejakulacji, intensywnej ćwiczeń w ciągu ostatnich 48 godzin bądź badania per rectum wykonanego w ciągu ostatniego tygodnia lub biopsji prostaty wykonanej w ciągu ostatnich 6 tygodni;*
- *cele programu powinny zostać przedstawione (zgodnie z zasadami SMART) w taki sposób, by mówiły o rezultatach, nie o planowanych działaniach oraz by były mierzalne;*
- *w treści projektu nie przedstawiono oczekiwanych efektów i nie odniesiono się do mierników efektywności;*
- *monitorowanie i ewaluacja nie zostały przedstawione w prawidłowy sposób;*
- *w przypadku oceny zgłaszalności należałoby określić wskaźniki pozwalające na oszacowanie poziomu zgłaszalności uczestników do programu. Zasadnym byłoby monitorowanie liczby mężczyzn, którzy po uzyskaniu rzetelnych informacji nt. korzyści i ryzyka związanego z badaniami nie wyrazili na nie zgody;*
- *celowe byłoby przygotowanie ankiety ewaluacyjnej dla pacjenta, w której będzie możliwość oceny jakości programu;*

- *nie odniesiono się od kosztów akcji informacyjnej i kosztów monitorowania i ewaluacji;*
- *nie podano wykazu piśmiennictwa i referencji biograficznych, na podstawie których opracowano projekt.*

.....  
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.441.65.2017, „Profilaktyka raka prostaty dla mężczyzn powyżej 40 roku życia z terenu Gminy Miejskiej Legionowo” realizowany przez: Miasto Legionowo, Warszawa, kwiecień 2017 oraz Aneksem „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 102/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 roku o projekcie programu „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy Darłowo”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy Darłowo”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.*

#### **Uzasadnienie**

*Niepełnosprawność jest poważnym problemem społecznym, poprawa stanu pacjenta założona w postępowaniu rehabilitacyjnym stanowi najważniejszy element opieki nad pacjentem.*

*W celu uzyskania optymalnych wyników zwiększona intensywność rehabilitacji w połączeniu z wczesną interwencją, powinna być wykonywana przez interdyscyplinarny zespół specjalistów (SIGN 2013).*

*Programy polityki zdrowotnej poświęcone działaniom zapobiegającym wystąpieniu lub pogłębieniu niepełnosprawności nie mają zwykle ściśle zdefiniowanego problemu zdrowotnego i precyzyjnie określonej populacji. Wynika to ze specyfiki niepełnosprawności, która odnosi się do zróżnicowanych populacji o odmiennych wymaganiach terapeutycznych, edukacyjnych i społecznych. W związku z tym programy te mogą obejmować szeroki zakres interwencji możliwych do zastosowania.*

*Na terenie gminy Darłowo nie działa żaden podmiot świadczący zabiegi z zakresu rehabilitacji leczniczej, które są finansowane ze środków NFZ. Można zatem uznać, że celem programu ma być zwiększenie dostępu do świadczeń rehabilitacyjnych.*

*Wszystkie planowane interwencje wymienione są w katalogu świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej (Rozporządzenie Ministra Zdrowia z 6 listopada 2013 r.- Dz. U. 2013, poz. 1522), z wyjątkiem metody McKenziego, której użyteczność została jednak naukowo udowodniona w przypadku leczenia pacjentów z bólem dolnej części pleców.*

*Program wpisuje się w priorytety zdrowotne wymienione w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z 21 sierpnia 2009 r. (Dz. U. 2009, Nr 137, poz. 1126).*





Omawiany program zakłada objęcie zabiegami z zakresu fizyko - i kinezyterapii każdego mieszkańca gminy Darłowo, który uzyska skierowanie od lekarza rodzinnego, lekarza specjalisty lub lekarza w trakcie specjalizacji w ramach zagwarantowanych zabiegów. Oszacowano udział ok. 5% populacji t. ok. 1212 osób podczas 3 lat (2017-2019). Przyjęto założenie, że każdy pacjent otrzyma średnio 20 zabiegów.

Program zawiera większość elementów, wymaga jednak uzupełnień i korekt:

- opis problemu zdrowotnego należałoby uzupełnić o zagadnienie niepełnosprawności;
- obok kosztu całkowitego należy podać koszty jednostkowe poszczególnych zabiegów. Dodatkowo, nie wszystkie zabiegi wymienione w części dotyczącej kosztów pokrywają się z zabiegami wymienionymi wśród planowanych interwencji;
- projekt należy uzupełnić o podanie kryteriów zastosowania poszczególnych procedur u uczestnika programu;
- program skierowany jest do wszystkich mieszkańców gminy Darłowo, a nie ma w nim odniesienia do dzieci i młodzieży. W przypadku udziału nieletnich zgodę na uczestnictwo w programie powinni wyrazić rodzice;
- oszacowanie liczby zabiegów dla jednego uczestnika powinno być poparte odniesieniem do liczby osób niepełnosprawnych zamieszkałych na terenie Gminy oraz porównane z populacją, którą wnioskodawca zamierza włączyć do programu;
- cel główny i cele szczegółowe należy sformułować w taki sposób, by nie przedstawiały działań, a ich rezultaty i były mierzalne;
- aby mierniki efektywności odpowiadały wszystkim celom programu zasadnym byłoby określenie m.in. rodzaju wykonywanych zabiegów, czy też wzrostu poziomu aktywności fizycznej uczestników;
- zasadne byłoby określenie ścieżki postępowania dla uczestników programu po jego zakończeniu, by zachować ciągłość leczenia;
- warto rozważyć zaproponowanie uczestnikom programu transportu do ośrodka, w którym będzie prowadzony program, by umożliwić wzięcie udziału w programie osobom ze złym stanem zdrowia lub stopniem niepełnosprawności uniemożliwiającym samodzielnie dotarcie do ośrodka;
- należy podać informację o dacie rozpoczęcia programu, czasie wyboru realizatora oraz czasie trwania zajęć dla pacjentów;
- w związku z brakiem precyzyjnych informacji na temat zakresu oraz dokładnej liczby stosowanych poszczególnych rodzajów interwencji nie jest możliwe do zweryfikowania, czy pacjenci faktycznie otrzymają adekwatną ilość świadczeń terapeutycznych;

- *przy ocenie efektywności programu można uwzględnić stopień wykorzystania środków pieniężnych pochodzących z gminnego programu polityki zdrowotnej, czy liczby udzielonych świadczeń zdrowotnych ze wskazaniem na ich rodzaj;*
- *stosowane w opisie sformułowanie „program zdrowotny” należy zamienić na „program polityki zdrowotnej”;*
- *należy podać źródła piśmiennictwa.*

.....  
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.441.68.2017, „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy Darłowo” realizowany przez: Gminę Darłowo, Warszawa, kwiecień 2017 oraz Aneksam „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży”, z sierpnia 2016 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 103/2017 z dnia 24 kwietnia 2017 roku o projekcie programu „Program profilaktyki wczesnego wykrywania wad i schorzeń narządu wzroku wśród dzieci w Gminie Wieluń na lata 2017-2022”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki wczesnego wykrywania wad i schorzeń narządu wzroku wśród dzieci w Gminie Wieluń na lata 2017-2022”.*

#### Uzasadnienie

*Oceniany program zakłada populacyjne badania przesiewowe w kierunku wczesnego wykrycia wad wzroku u ok. 1648 dzieci w wieku 8 lat (II klasa szkoły podstawowej). Badania te mają być prowadzone przez 6 lat – od roku 2017 do 2022. Koszty realizacji programu w części edukacyjnej oraz finansowanie kosztów pierwszego badania ponosi gmina Wieluń. Koszt leczenia i rehabilitacji stwierdzonych w trakcie badań przesiewowych wad ponosi NFZ. Zaplanowany na pierwszy rok realizacji badań budżet wynosi 6 060 zł.*

*Negatywna decyzja Rady opiera się na następujących przesłankach:*

- prawie wszystkie międzynarodowe rekomendacje kliniczne zgodnie zalecają badania w kierunku wczesnego wykrycia niektórych wad wzroku u dzieci do 5 roku życia. Im wcześniej wykryta jest wada, tym większe są możliwości jej skorygowania i skutecznej rehabilitacji. W pewnym jednak momencie rozwoju dochodzi do nieodwracalnych zmian w układzie wzrokowym i żadne leczenie i rehabilitacja nie prowadzi do poprawy. Brak jest jednoznacznych zaleceń dotyczących prowadzenia badań przesiewowych w wielu późniejszym i nie udowodniono korzyści rutynowego badania oczu u zdrowych dzieci bez czynnika ryzyka (Canadian Paediatric Society 2016). Fakt, że American Association for Pediatric Ophthalmology and Strabismus u dzieci powyżej 5 roku życia zaleca powtarzanie badań oczu co 1-2 lata (AAPOS 2014B) można tłumaczyć systemem leczenia i opieki zdrowotnej w Stanach Zjednoczonych oraz profesjonalnymi interesami tej grupy lekarzy. We wnioskach z przeglądu systematycznego (Jonas 2017) wskazano, że na podstawie odnalezionych publikacji niemożliwe było stwierdzenie, czy przeprowadzanie badań przesiewowych w przedszkolach jest lepsze*



od jego braku. Dowody pośrednie wskazują, że przeprowadzenie kilku testów przesiewowych jest użyteczne w identyfikacji dzieci w wieku przedszkolnym z czynnikami ryzyka amblyopii lub innych wad wzroku. Większość badań wskazuje, że nieprawidłowy wynik badania przesiewowego w sposób umiarkowany zwiększa prawdopodobieństwo wykrycia wady. Dowody na niekorzystne skutki badań przesiewowych wskazują na wysoki odsetek wyników fałszywie pozytywnych w populacji dzieci o niskim ryzyku występowania wad wzroku. Wnioskodawca w opisie problemu zdrowotnego przedstawił najczęściej występujące zaburzenia wzroku wśród dzieci wskazując, że są to wady refrakcji, zez, zaburzenia widzenia barw oraz amblyopia. Osiem lat wydaje się zbyt późnym wiekiem na rozpoznawanie i leczenie zezu lub amblyopii. Nie jest więc wcale oczywiste, czy planowane przez gminę Wieluń badania przesiewowe wad wzroku u 8-letnich dzieci przyniosą więcej pożytku czy szkody. Byłoby o wiele lepiej, gdyby przeznaczony na politykę zdrowotną budżet Gminy Wieluń wykorzystano na przeprowadzenie badań przesiewowych u dzieci do 6 roku życia.

- projekt, choć dotyczy istotnego problemu zdrowotnego, został przygotowany niefrasobliwie i w sposób ogólnikowy. Prawie każdy punkt programu wymaga dalszych wyjaśnień, uzupełnień oraz interpretacji. Głównym założeniem programu jest „zwiększenie liczby wykrytych wad i schorzeń narządu wzroku u dzieci Gminy Wieluń poprzez wczesne ich diagnozowanie oraz działania informacyjno-edukacyjne skierowane do uczniów i ich rodziców/opiekunów prawnych”. Tak zdefiniowany cel nie bierze jednak pod uwagę sprawy oczywistej, jaką jest istnienie rozpoznania fałszywie negatywnego, bądź fałszywie pozytywnego. Paradoksalnie, im więcej uzyskuje się rozpoznań fałszywie pozytywnych, tym większy sukces realizacji tego programu. Podobne zastrzeżenia interpretacyjne budzi część dotycząca edukacji oraz budżetu.

.....  
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.441.66.2017, „Program profilaktyki wczesnego wykrywania wad i schorzeń narządu wzroku wśród dzieci w Gminie Wieluń na lata 2017-2022” realizowany przez: Gminę Wieluń, Warszawa, kwiecień 2017 oraz Aneksem „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci” ze stycznia 2012.