



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Protokół nr 23/2017
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 12 czerwca 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. Andrzej Kokoszka
4. Agata Maciejczyk
5. Tomasz Pasierski – prowadził posiedzenie
6. Piotr Szymański
7. Andrzej Śliwczyński

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Paweł Grieb
2. Aleksandra Michowicz
3. Jakub Pawlikowski

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku RoActemra (tocilizumab) w ramach programu lekowego „Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10- M 05, M 06, M 08)”.
5. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program profilaktyki zdrowotnej na lata 2017-2018 w zakresie szczepień ochronnych przeciwko zakażeniom pneumokokowym wśród dzieci z terenu miasta Malborka urodzonych w 2015-2016 roku”,
 - 2) „Program profilaktyczny przeciwko zakażeniom pneumokokowym wśród dzieci urodzonych w 2015-2016 roku z terenu Gminy Przodkowo”,
 - 3) „Program zdrowotny w zakresie profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) w Gminie Tuchola na lata 2017-2021”,
 - 4) „Program szczepień ochronnych przeciwko grypie populacji z grupy szczególnego ryzyka tj. osób w wieku 65 lat na lata 2017-2021” (gm. Tuchola).



6. Przygotowanie opinii na temat oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego "Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)".
7. Przygotowanie opinii w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków zawierających substancje czynne:
 - 1) teriflunomidum,
 - 2) dimethylis fumaras,
 - 3) peginterferonum beta-1a,przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż w ChPL, tj. leczenie pacjentów w wieku od 12 lat.
8. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
9. Zamknięcie posiedzenia.

Ad 1. Posiedzenie o godzinie 10:05 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.4351.12.2017 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego RoActemra (tocilizumab) w ramach programu lekowego: »Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10 M 05, M 06, M 08)«”

Następnie swoją propozycję stanowiska przedstawił Lucjusz Jakubowski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu. Zaproponował pozytywne stanowisko, wychodząc przede wszystkim z założenia, że wniosek jest zgodny z opinią Rady z listopada 2014 r. i spełnia warunek, który wówczas Rada postawiła jako przyjęcie możliwości rozszerzenia programu lekowego o podawanie podskórne tego produktu leczniczego. Profil bezpieczeństwa jest zbliżony, korzyści kliniczne są zbliżone, albo nieco wyższe, wprowadzenie postaci podskórnej nie generuje wyższych kosztów dla płatnika publicznego. W stosunku do wniosku z 2014 r. i analizy z tamtego okresu podstawową różnicą jest włączenie do analizy obecnej badania SUMMACTA, które w 2014 roku nie było brane pod uwagę. Stwierdził, że z punktu widzenia poprzedniej opinii Rady i idącej w ślad za tym rekomendacji Prezesa AOTMiT, który wówczas przychylił się do opinii Rady, że forma podawania podskórnego tego preparatu jest w pełni uzasadniona pod warunkiem, że terapia nie będzie droższa od terapii dożylniej. Z przedstawionej analizy ekonomicznej wynika, że będą generowane nawet niewielkie oszczędności dla płatnika publicznego.

Piotr Szymański zgłosił uwagę odnoszącą się do projektu programu lekowego polegającą na konieczności modyfikacji kryterium wyłączenia z programu w zakresie dotyczącym sekwencyjnego leczenia inhibitorami TNF alfa i tocilizumabu poprzez zastąpienie zwrotu „albo” zwrotem „i/lub” umożliwiającym sekwencyjne stosowanie tocilizumabu – w pkt 4.1 kryteria wyłączenia z programu.

Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 5. 1) Projekt swojej opinii w sprawie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program profilaktyki zdrowotnej na lata 2017-2018 w zakresie szczepień ochronnych przeciwko zakażeniom pneumokokowym wśród dzieci z terenu miasta Malborka urodzonych w 2015-2016 roku” przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego

posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponowała opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady. Jej zdaniem projekt należy doprecyzować w zakresie opisu celów szczegółowych oraz mierników efektywności.

Wobec braku innych głosów prowadzący posiedzenie zarządził głosowanie. Rada 7 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 „Program profilaktyczny przeciwko zakażeniom pneumokokowym wśród dzieci urodzonych w 2015-2016 roku z terenu Gminy Przodkowo” przedstawił Andrzej Kokoszka, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponował opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady. Sprecyzowania wymagają cele szczegółowe, ponieważ zamiast celów opisane zostały działania. Przeformułowania wymagają mierniki efektywności oraz ocena zgłaszalności do programu

Wobec braku innych głosów prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 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 „Program zdrowotny w zakresie profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV)” przedstawiła Agata Maciejczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Mimo, że program nie jest dobrze przygotowany zaproponowała opinię pozytywną pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady, ponieważ interwencje i grupa docelowa opisane w projekcie programu są prawidłowe. Projekt zawiera również budżet. Wymaga on jednak wielu korekt, m.in. należy wyraźnie zaznaczyć, że edukacja powinna obejmować nie tylko dziewczynki, ale też chłopców; w opisie problemu zdrowotnego należy wymienić czynniki zwiększające ryzyko zakażeń HPV; należy przedstawić kryteria kwalifikacji dziewcząt do szczepień; cel główny i cele szczegółowe wymagają przeformułowania tak, by spełniały zasady S.M.A.R.T; należy uwzględnić sposób zakończenia w programie, a w budżecie uwzględnić wycenę działań informacyjno-edukacyjnych.

Wobec braku innych głosów prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 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 zdrowotny w zakresie profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV)” przedstawił Andrzej Śliwczyński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponował opinię pozytywną, pod warunkiem realizacji uwag Rady. Projekt należy doprecyzować w zakresie opisu celu głównego i celów szczegółowych, należy doprecyzować koszty jednostkowe poszczególnych działań oraz przedstawić zakres tematyczny akcji edukacyjnej.

Wobec braku innych głosów prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 6. Przystępując do omawiania zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego: „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)” Piotr Szymański, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii w tematach objętych tym i następnym punktem porządku obrad stwierdził, że propozycje tych zmian są propozycjami ogólnymi tzn.

dotyczącymi kwalifikacji pacjentów, działań niepożądanych i sposobu dawkowania leku. Następnie przystąpił do omawiania zaproponowanych zmian w opisie programu lekowego.

W przypadku 3 technologii medycznych: fumaranu dimetylu, peginterferonu beta-1a oraz treryflunomidu Wnioskodawca zaproponował rozszerzenie grupy pacjentów kwalifikujących się do leczenia w programie do pacjentów od 12. roku życia. Piotr Szymański zwrócił uwagę na brak dostępnych danych na temat bezpieczeństwa stosowania tych leków w tej populacji. Zgodnie z ChPL (Charakterystyka Produktu Leczniczego) Tecfidera, Plegridy i Aubagio leków tych nie należy stosować u dzieci, a EMA (Europejska Agencja Leków) zaleciła dla tych leków przeprowadzenie dodatkowych badań dot. bezpieczeństwa w populacji powyżej 10 r.ż. Zgodnie z polskimi wytycznymi klinicznymi leki te u pacjentów w wieku 16 – 18 lat mogą być podawane jak u dorosłych. Młodszy pacjenci powinni być leczeni pod opieką zespołu lekarskiego składającego się z neurologów i neurologów dziecięcych mających doświadczenie w leczeniu MS (łac. sclerosis multiplex).

W przypadku wszystkich 3 leków nie ma możliwości stosowania ich zgodnie z ChPL i to właśnie jest uzasadnieniem dla przygotowania opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających wymienione substancje czynne przy wskazaniach off-label powyżej 12 roku życia tzn. następnego punktu porządku obrad Rady. Jak zauważył Piotr Szymański jest to pierwsza grupa zmian w programie i ta grupa jest ściśle powiązana z off-labelami dla tych trzech leków.

Następne zmiany dotyczą Copaxonu i stosowania octanu glatirameru w dawkach 20 mg u dzieci i młodzieży. Tutaj jak stwierdził, sytuacja jest stosunkowo dobra tzn. w przypadku Copaxonu istnieje odpowiedni zapis w ChPL-, a ograniczone dane pozwalają ocenić bezpieczeństwo interwencji.

Następna zmiana dotyczyła wykreślenia z kryteriów, wykluczenia z programu ciąży, która zgodnie z proponowaną zmianą nie miałyby stanowić kryterium wykluczenia. Stosowanie Copaxonu jest możliwe i właściwy zapis znajduje się w ChPL wskazując na możliwość stosowania leku gdy korzyści przekraczają ryzyko. W przypadku Remuleru takiej informacji w ChPL brak. Do członków Rady należy decyzja, czy oba leki traktować w sposób równorzędny, czy też nie. Piotr Szymański zaproponował, żeby traktować je równorzędnie zakładając, że są to preparaty równoważne.

Kolejne zaproponowane zmiany dotyczyły zmiany kryterium wykluczenia ze względu na stan kliniczny chorego oceniany w trakcie badania kontrolnego w skali EDSS z powyżej 4,5 pkt do 5,0 czyli objęcia większej grupy chorych. Zdaniem Piotra Szymańskiego ta zmiana jest uzasadniona

Zmiana w stosunku do której, jak stwierdził Piotr Szymański, nie ma dowodów naukowych, dotyczyła wartości progowej limfopenii (poniżej 500/ μ l) jako kryterium przerwania terapii. Eksperti wypowiedzieli się pozytywnie za zmianą, choć przyznali, że dowody są bardzo ograniczone albo też ich brak.

Kontynuując Piotr Szymański oświadczył, że przygotował dwie propozycje opinii, jedną bardzo rygorystyczną uznającą, że ponieważ nie ma wytycznych klinicznych, nie ma dobrych dowodów, bezpieczeństwo nie jest określone, to Rada nie wyraża zgody na stosowanie tych leków w populacji pediatrycznej, oraz propozycję liberalną zakładającą, że pozytywna opinia eksperta jest wystarczająca w odniesieniu do dowodów naukowych. Uzasadnieniem dla tej drugiej jest to, że rekomendacje odnoszą się do de facto choroby rzadkiej i nie należy oczekiwać uzyskania satysfakcjonującego poziomu dowodów naukowych.

Zdaniem Piotra Szymańskiego, Rada może wydać decyzję, odrzucającą stosowanie tych leków w programie, a tym samym także wskazania off-label albo zaakceptować ich stosowanie biorąc pod uwagę, że jest to choroba rzadka. Konsekwentnie należałoby wówczas uznać za zasadną refundację off-label tych leków, ale w związku z brakiem dowodów naukowych należy wó10.czas zastrzec w opinii, że refundacja może dotyczyć stosowania tych leków wyłącznie w ramach programu lekowego.



Na koniec swojego wystąpienia przypomniał, że opinia ekspertów w stosunku do tych leków jest jednoznaczna. Uważają oni, że leki mają znaczenie dla przebiegu choroby w populacji pediatrycznej i uważają za stosowną możliwość ich stosowania.

Andrzej Śliwczyński wtrącił, że zgadza się z przedmówcą, że w omawianej populacji, nigdy nie będzie wystarczających dowodów naukowych.

Wojciech Wysoczański, Dyrektor Wydziału Oceny Technologii Medycznych AOTMiT stwierdził, że leki są już długo na rynku i należałoby oczekiwać, że dowody już powinny być. Jego zdaniem problem jest z ich skutecznością i aktualnie trwają dyskusje czy one w ogóle działają. Podejrzewa, że badania nie były specjalnie prowadzone, ponieważ bardzo niejasna jest ich skuteczność. Dyskwalifikuje je brak danych odnośnie bezpieczeństwa i ich bardzo wysoka cena.

Zdaniem Piotra Szymańskiego Rada może albo odmówić korzystając z takich argumentów jakie podał Wojciech Wysoczański albo wyrazić zgodę, ale pod proponowanymi przez niego warunkami tj. (i) leki będą stosowane off-label wyłącznie w programie (ii) leki będą stosowane wyłącznie pod opieką zespołów lekarskich składających się z neurologów i neurologów dziecięcych, mających doświadczenie w leczeniu SM, (iii) pacjenci będą poinformowani na piśmie o wątpliwościach dotyczących ich skuteczności i ryzyku. Chodzi o to, żeby lekarz miał obowiązek uzyskać świadomą zgodę, czyli akceptowany jest brak wiedzy na temat skuteczności leków, ale pod warunkiem, że eksperci którzy proponują ich wprowadzenie bezwzględnie informują pacjentów o tym braku.

Tomasz Pasierski zauważył, że eksperci nie mają w tym przypadku innej wiedzy niż członkowie Rady, wiedza jest jedna, ale mają sytuację psychologiczną, leczą te dzieci i chcą im zapewnić jakieś leczenie. Pozostaje zaufanie do ekspertów i wybór technologia czy nadzieja.

Podsumowując Piotr Szymański oświadczył, że nie mając żadnych osobistych doświadczeń, przy braku dowodów przyjął dwie opcje: zaufania do ekspertów lub odrzucenia ich opinii ze względu na poziom dowodów naukowych. Jego zdaniem, można skorzystać z pierwszej z możliwości pod następującymi warunkami - wymogu uzyskania pisemnej świadomej zgody od opiekuna/pacjenta i ograniczenia możliwości stosowania leków off-label wyłącznie do programu. W przypadku octanu glatirameru, nie ma wątpliwości, że Rada powinniśmy wyrazić zgodę, bowiem istnieje właściwy zapis ChPL, zgodny z wytycznymi klinicznymi i opinią ekspertów. W przypadku ciąży wątpliwość budzi równowaga dwóch preparatów (tego czy Rada uzna, że są równoważne). W przypadku uznania zasadności usunięcia jako przeciwwskazania stosowania leków w ciąży (sytuacji rzadkiej) pacjentka powinna być poinformowana, a lek powinien być stosowany jeśli korzyści przewyższają ryzyko. EDSS i zmiana z 4,5 na 5,0 pkt – właściwie nie ma dowodów naukowych, ale ponieważ ocena regresji i progresji choroby określona jest z rozdzielczością do jednego punktu, nie widzi powodu dla którego Rada nie miałaby skali poszerzyć do 5,0 pkt. Jeśli chodzi o limfopenię, nie ma żadnych danych, dlatego oparł się na opinii eksperta i tak naprawdę można się oprzeć wyłącznie na zaufaniu do ekspertów bądź odrzucić tę zmianę.

Łącznie obydwie decyzje przygotował w powiązany ze sobą sposób. Pierwsza, restrykcyjna oznacza de facto dopuszczenie tylko tych dwóch zmian w programie i odrzucenie pozostałych uznając, że w stosunku do tych są stosunkowo spójne dane. Pozostałe zmiany w programie są wówczas odrzucane i jeśli przyjąć taką optykę, to także cały następny punkt porządku obrad dotyczący off-label oznaczałby w konsekwencji negatywne decyzje dla obydwóch leków off-label.

Jeśli decyzja w programie jest wybiórczo pozytywna i to jest jego propozycja minimum, dotycząca w stosunku do dwóch proponowanych zmian, to w całości powinna być negatywna dla kolejnego punktu czyli opinii off-label.

Jeśli Rada oprze się na zaufaniu do doświadczenia klinicznego ekspertów i potwierdzi chęć wszystkich zmian w programie, wówczas powinna być wydana opinia pozytywna dla off-label w ChPL-u i wówczas proponuje ograniczyć zaufanie do ekspertów dwoma mechanizmami: (i) w przypadku poszczególnych punktów programu co do których jedynym wskazaniem do zmian są opinie ekspertów, a nie dowody naukowe, pacjent uczestnik programu powinien zostać o tym pisemnie poinformowany, (ii) ograniczeniem stosowania off-label wyłącznie do programu.

Kończąc Piotr Szymański stwierdził, że skłania się do opinii pozytywnej, motywując to faktem, że poziom dowodów naukowych możliwych do zebrania w populacji do 12 r.ż. ze stwardnieniem rozsianym oraz poziom dowodów naukowych możliwych do zebrania w przypadku ciąży nie będzie nigdy większy niż kilkadziesiąt przypadków. Traktuje tę sytuację tak, jakby była to sytuacja choroby rzadkiej.

Andrzej Kokoszka spytał o koszty leczenia.

W odpowiedzi Tomasz Pasiński zauważył, że z jego znajomości neurologii wynika, że gdyby te pieniądze można przeznaczyć na dobrą rehabilitację, na walkę ze spastycznością itp., to być może efekty nie byłyby dużo gorsze.

Lucjusz Jakubowski zaproponował, aby przy pozytywnej opinii uwzględniającej doświadczenie kliniczne ekspertów wprowadzić do zapisów programu zalecenie o konieczności monitorowania efektów klinicznych. W wielu programach są zespoły koordynujące, są systemy monitorowania to dlatego taki zapis nie mógłby zaistnieć z punktu widzenia formalnego w tym programie. System informatyczny Narodowego Funduszu Zdrowia pozwoli na analizę podstawowych danych.

Większość członków Rady opowiedziała się za pozytywną opinią.

Jak zauważył Tomasz Pasiński, nauka przegrała, miłosierdzie zwyciężyło, z jednej strony znalazły się argumenty naukowe z drugiej emocjonalne.

Andrzej Kokoszka dodał, że dla niego cała ta sprawa ma charakter eksperymentu medycznego.

Andrzej Śliwczyński stwierdził, że szczególnie trudna jest sytuacja kiedy sprawa dotyczy populacji dziecięcej. Zastanawiał się też, czy nie jest łatwiej wydać w tej chwili opinię negatywną, niż przy pozytywnej dać tak dużo warunków do spełnienia, które nie wiadomo czy będą możliwe do realizacji. Dodał też, że dawanie fałszywej nadziei jest bez sensu.

Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 4 głosami za projektem opinii Rady, przy 3 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 7. 1) Projekt swojej opinii w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leku Aubagio (teriflunomidum), w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w ChPL tj. leczenie pacjentów w wieku od 12 lat, przedstawił Piotr Szymański. Zaproponował opinię pozytywną pod warunkiem, że lek stosowany będzie wyłącznie w zmodyfikowanym programie lekowym „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35).”

Wobec braku innych głosów prowadzący zarządził głosowanie. Rada 4 głosami za projektem opinii Rady, przy 3 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

2) Projekt swojej opinii w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków zawierających substancję czynną dimethylis fumaras w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. leczenie pacjentów w wieku od 12 lat, przedstawił Piotr Szymański. Zaproponował opinię pozytywną pod

warunkiem, że lek stosowany będzie wyłącznie w zmodyfikowanym programie lekowym „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35).”

Wobec braku innych głosów prowadzący zarządził głosowanie. Rada 4 głosami za projektem opinii Rady, przy 3 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.


3) Projekt swojej opinii w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków zawierających substancję czynną peginterferonum beta-1a w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj.: leczenie pacjentów w wieku od 12 lat, przedstawił Piotr Szymański. Zaproponował opinię pozytywną pod warunkiem, że lek stosowany będzie wyłącznie w zmodyfikowanym programie lekowym „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35).”

Wobec braku innych głosów prowadzący zarządził głosowanie. Rada 4 głosami za projektem opinii Rady, przy 3 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 8. Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 10 lipca 2017 r.

Ad 9. Prowadzący posiedzenie Tomasz Pasierski zakończył posiedzenie Rady o godzinie 11:45.

Protokół sporządził Tomasz Pasierski
Przewodniczący Rady Przejrzystości

3A 2017 

(data i podpis)



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 59/2017 z dnia 12 czerwca 2017 roku

w sprawie oceny leku RoActembra (tocilizumab) kod EAN: 5902768001075, we wskazaniu: leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów (M 05, M 06), w ramach programu lekowego: „Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10 - M 05, M 06, M 08)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego RoActembra (tocilizumab), roztwór do wstrzykiwań, 162 mg, 4 ampułko-strzykawki, kod EAN: 5902768001075, we wskazaniu: leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów (M 05, M 06), w ramach programu lekowego: „Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10 - M 05, M 06, M 08)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka.

Rada zgłasza uwagi do projektu programu lekowego - konieczność modyfikacji wymagają kryteria wyłączenia z programu w zakresie dotyczącym sekwencyjnego leczenia inhibitorami TNF alfa i tocilizumabu (pkt 4.1 kryteria wyłączenia z programu – zastąpienie zwrotu „albo” zwrotem „i/lub” umożliwiającym sekwencyjne stosowanie tocilizumabu).

Uzasadnienie

Problem zdrowotny, którego dotyczy opinia, był wielokrotnie omawiany na posiedzeniach Rady Konsultacyjnej oraz Rady Przejrzystości. Wniosek o objęcie refundacją produktu leczniczego RoActembra (tocilizumab), roztwór do wstrzykiwań, 162 mg, 4 ampułko-strzykawki, kod EAN: 5902768001075 i udostępnianie go pacjentom bezpłatnie w ramach istniejącego programu lekowego: „Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10 M 05, M 06, M 08)” jest zgodny z wcześniejszymi sugestiami Rady. Wnioskowana technologia, z jej zastosowaniem w miejsce dożylniej postaci tocilizumabu ma być wprowadzana zgodnie z zapisami programu lekowego z zachowaniem



wymagań określonych w aktualnej Charakterystyce Produktu Leczniczego oraz pod nadzorem wykwalifikowanego personelu medycznego. Realizacja programu znajduje się pod nadzorem Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych. Profil bezpieczeństwa oraz korzyści kliniczne ze stosowania leku w postaci podskórnej są porównywalne jak w przypadku dożylnego stosowania wnioskowanego produktu. Podawanie podskórne leku jest łatwiejsze organizacyjnie, a tym samym korzystniejsze z punktu widzenia ponoszonych kosztów, dzięki czemu rozpatrywany wniosek nie będzie generował dodatkowych kosztów ze strony płatnika publicznego.

.....

Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasierski

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.12.2017 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego RoActemra (tocilizumab) w ramach programu lekowego: »Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10 M 05, M 06, M 08)«”. Data ukończenia: 2 czerwca 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 147/2017 z dnia 12 czerwca 2017 roku

o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej na lata 2017-2018 w zakresie szczepień ochronnych przeciwko zakażeniom pneumokokowym wśród dzieci z terenu miasta Malborka urodzonych w 2015-2016 roku”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej na lata 2017-2018 w zakresie szczepień ochronnych przeciwko zakażeniom pneumokokowym wśród dzieci z terenu miasta Malborka urodzonych w 2015-2016 roku”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Zgodnie z Programem Szczepień Ochronnych na 2017 rok szczepienia przeciwko pneumokokom należą do grupy szczepień obowiązkowych i wykonywane są u wszystkich nowonarodzonych dzieci począwszy od 1.01.2017 r. W powyższym programie populację docelową stanowią dzieci zameldowane na pobyt stały lub czasowy na terenie miasta Malborka, urodzone w 2015 - 2016 roku, które w dniu szczepienia ukończyły 2 r.ż., nieszczepione wcześniej szczepionką przeciw zakażeniom pneumokokowym.

*Oceniany projekt programu odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, jakim są zakażenia *Streptococcus pneumoniae*. W treści problemu zdrowotnego Wnioskodawca wymienił choroby wywołane przez ten patogen wraz z potencjalnymi powikłaniami. Wskazano również grupy osób, które szczególnie narażone są na choroby wywołane przez pneumokoki. Opiniowany projekt wpisuje się w następujące priorytety zdrowotne: „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom”, „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu przewlekłych chorób układu oddechowego” oraz „poprawa jakości i skuteczności opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3” należące do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. (Dz. U. 2009, Nr 137, poz. 1126).*

W ramach programu planowane jest przeprowadzenie akcji informacyjno-edukacyjnej dla rodziców dzieci z wybranej populacji oraz wszystkich



zainteresowanych szczepieniami przeciwko pneumokokom. Edukacja zdrowotna stanowi obecnie niezwykle istotny element polityki zdrowia publicznego oraz jedno z zadań samorządów lokalnych możliwych do realizacji przy niewielkim nakładzie finansowym. Wnioskodawca zaplanował szczepienie szczepionką 13-walentną, obecnie w większości krajów europejskich stosowana jest szczepionka 10-walentna lub 13-walentna. Z uwagi na ograniczoną ilość środków w budżecie Miasta Malborka, o zakwalifikowaniu się będzie decydować kolejność zgłoszeń. Warunkiem podania szczepionki jest podpisanie przez rodzica/opiekuna prawnego zgody na udział dziecka w programie. Na każdym etapie programu zarówno przy zgłoszeniu, jak i w trakcie, rodzice/opiekunowie prawni uzyskają pełną informację dotyczącą szczepień, także ewentualnych działań niepożądanych. W projekcie programu oszacowano koszty całkowite oraz jednostkowe (na 2-letni okres realizacji).

Uwagi Rady:

- Szczegółowe założenia projektu powinny przedstawiać stan, do jakiego zamierza dążyć Wnioskodawca poprzez realizację programu, a nie działania możliwe do podjęcia. W związku z powyższym cele odnoszące się m.in. do „objęcia programem możliwie wysokiej liczby dzieci”, „uzyskania możliwie najwyższej frekwencji”, czy też „przygotowania raportu programu według przygotowanego schematu” nie zostały sformułowane w sposób prawidłowy.
- Należy pamiętać, aby wartości wskaźników określone były przed i po realizacji programu. Dopiero uzyskana zmiana w zakresie tych wartości i jej wielkość stanowi o wadze uzyskanego efektu programu.
- Ocena efektywności programu przedstawiona przez Wnioskodawcę wymaga uzupełnienia (odnosi się jedynie do poziomu frekwencji), powinna uwzględniać m.in. mierniki efektywności programu.

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.104.2017 „Program polityki zdrowotnej na lata 2017 - 2018 w zakresie szczepień ochronnych przeciwko zakażeniom pneumokokowym wśród dzieci z terenu miasta Malborka urodzonych w 2015 - 2016 roku” realizowany przez: Miasto Malbork, Warszawa, czerwiec 2017 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki zakażeń pneumokokowych – wspólne podstawy oceny”, z marca 2014 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 148/2017 z dnia 12 czerwca 2017 roku

o projekcie programu „Program profilaktyczny przeciwko zakażeniom pneumokokowym wśród dzieci urodzonych w 2015-2016 roku z terenu Gminy Przodkowo”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyczny przeciwko zakażeniom pneumokokowym wśród dzieci urodzonych w 2015-2016 roku z terenu Gminy Przodkowo”.

Uzasadnienie

*Oceniany projekt programu odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego jakim są zakażenia *Streptococcus pneumoniae*. Główny cel - poprawa stanu zdrowia dzieci zamieszkałych na terenie Gminy Przodkowo poprzez przeprowadzenie skutecznych szczepień przeciwko zakażeniom pneumokokowym – został sformułowany prawidłowo. Natomiast cele szczegółowe wymagają sprecyzowania, ponieważ zamiast celów opisane zostały działania.*

Oczekiwane efekty przedstawione zostały w sposób prawidłowy. W przypadku ocenianego projektu zasadnym wydaje się uwzględnienie również m.in. liczby dzieci wykluczonych z udziału w szczepieniach w wyniku przeciwwskazań lekarskich, a także liczby zdarzeń niepożądanych (NOP). Ponadto, należy zaznaczyć, że miernik „raporty opracowane przez realizatorów programu wg przygotowanego schematu”, powinien zostać przeformułowany. Należy pamiętać, aby wartości wskaźników zapadalności na nieinwazyjne oraz zapadalności i umieralności na inwazyjne choroby pneumokokowe określone były przed i po realizacji programu. Wyniki na podstawie dokładnie opracowanych mierników efektywności mogłyby pomóc przy podjęciu decyzji o kontynuowaniu szczepień w latach kolejnych.

Zaznaczono, że zgłaszalność do programu zostanie oceniona na podstawie listy osób, które zakończyły cykl szczepień. Mając na uwadze treść projektu, ocena zgłaszalności powinna uwzględniać również liczbę dzieci kwalifikujących się zgodnie z przyjętymi kryteriami do szczepienia, czy też liczbę dzieci, które nie zostały zaszczepione z powodu przeciwwskazań lekarskich.



W ramach oceny zadowolenia uczestników sugeruje się również przeprowadzenie anonimowej ankiety satysfakcji z udziału w programie.

Ocena efektywności programu powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu i stanu po jego zakończeniu. Dodatkowo ewaluacja mogłaby uwzględniać porównanie częstości stosowania antybiotyków oraz liczby hospitalizacji spowodowanych zakażeniami pneumokokowymi, przed i po szczepieniach. Oprócz wymienionych wyżej wskaźników, istotne są również wskaźniki związane z poszczepiennymi działaniami niepożądanymi.

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.107.2017 „Program profilaktyczny przeciwko zakażeniom pneumokokowym wśród dzieci urodzonych w 2015-2016 roku z terenu Gminy Przodkowo” realizowany przez: Gminę Przodkowo, Warszawa, czerwiec 2017 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki zakażeń pneumokokowych – wspólne podstawy oceny”, z marca 2014 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 149/2017 z dnia 12 czerwca 2017 roku

o projekcie programu „Program zdrowotny w zakresie profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV)” (gm. Tuchola)

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program zdrowotny w zakresie profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV)” (gm. Tuchola), pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Wiele krajów włączyło szczepienia przeciw HPV młodych dziewcząt i chłopców do narodowych programów szczepień. Szczepienia z zakresu profilaktyki zakażeń wirusem HPV znajdują się w Polsce w wykazie szczepień zalecanych, niefinansowanych ze środków publicznych. Dotychczas przeprowadzone badania kliniczne wykazały wysoką skuteczność 2-walentnej i 4-walentnej szczepionki w zapobieganiu zmianom przedrakowym w populacji kobiet niezakażonych wirusem HPV, przy znacznie niższej skuteczności u kobiet zakażonych. W roku 2015 dopuszczona została do obrotu również szczepionka 9-walentna. W przypadku szczepionki 9-walentnej nie są dostępne, ze względu na krótki okres obecności w lecznictwie, przeglądy systematyczne i metaanalizy odnoszące się do jej skuteczności. Ponieważ szczepionki nie zapewniają ochrony przed wszystkimi onkogennymi typami wirusa HPV oraz z powodu braku wiedzy o ich długiej skuteczności, konieczne jest informowanie zaszczepionych osób o tym, że szczepienia nie zapewniają 100% ochrony przed rakiem szyjki macicy. Tym samym konieczne jest uczestnictwo kobiet w programie skryningowym opartym o cytologię od 21-25 r.ż. lub 3 lata od rozpoczęcia życia płciowego. Badania cytologiczne należy przeprowadzać regularnie co 3 lata.

W większości wytycznych praktyki klinicznej zaleca się przeprowadzenie szczepień podstawowych w grupie wiekowej 11-13 lat. Polskie Towarzystwo Ginekologiczne i Polskie Towarzystwo Pediatryczne zaleca dodatkowo szczepienia dziewcząt w wieku 13-18 lat, jeżeli nie zostały zaszczepione wcześniej. Podkreśla się, że najlepiej szczepić dziewczęta przed rozpoczęciem przez nie aktywności seksualnej oraz że preferowany program profilaktyki to schemat: matka - skryning cytologiczny, córka szczepienie przeciwko HPV i skryning cytologiczny.



Oceniany 5-letni program zakłada edukację młodzieży i ich rodziców/opiekunów prawnych oraz zaszczepienie 508 dziewczynek w wieku 12 lat. Zarówno proponowane interwencje, jak i grupa docelowa szczepionych osób zostały wybrane prawidłowo, w zgodzie z rekomendacjami.

Należy zwrócić uwagę, że program zakłada wykonanie szczepień w schemacie dwudawkowym. Ogranicza to wybór szczepionki do produktów Silgard (szczepionka czterowalentna) i Cervarix (szczepionka dwuwalentna).

Szczepionka dziewięciowalentna Gardasil 9 podawana jest w schemacie trzydawkowym.

Projekt zawiera część koniecznych elementów, wymaga jednak wielu korekt i uzupełnień:

- program zakłada m.in. edukację młodzieży. Należy wyraźnie zaznaczyć, że edukacja powinna obejmować nie tylko dziewczynki, ale też chłopców;
- w opisie problemu zdrowotnego należy wymienić czynniki zwiększające ryzyko zakażeń HPV;
- należy przedstawić kryteria kwalifikacji dziewcząt do szczepień. Zalecenia ekspertów wskazują, że warunkiem prawidłowego wykonania szczepienia jest przeprowadzenie kwalifikacji obejmującej wywiad, badanie przedmiotowe, a w rzadkich przypadkach badania dodatkowe. Informacja o przeprowadzonej kwalifikacji powinna zostać odnotowana w dokumentacji pacjenta. Program powinien zostać uzupełniony o taki wymóg, a także o podanie przeciwwskazań do wykonania szczepień (eksperci wymieniają wśród przeciwwskazań reakcję alergiczną na drożdże - w odniesieniu do szczepionki czterowalentnej, ciężkie choroby układowe, ciężę, stany podgorączkowe, trombocytopenię i inne skazy krwotoczne, które mogą być przyczyną powstania krwiaka w miejscu wkłucia);
- należy przedstawić sposób powiązania programu ze świadczeniami finansowanymi ze środków publicznych;
- należy odnieść się do możliwości zakończenia udziału w programie;
- w programie napisano, że szczepienia będą wykonane zgodnie z procedurami medycznymi, ale nie podano kompetencji osoby odpowiedzialnej za przeprowadzenie szczepień;
- cel główny: „zmniejszenie liczby zachorowań na raka szyjki macicy, sromu, pochwy, odbytu u kobiet poprzez przeprowadzenie edukacji zdrowotnej oraz wykonanie szczepień ochronnych szczepionką przeciw wirusowi brodawczaka ludzkiego w populacji 12-letnich dziewczynek...” wymaga przeformułowania. Efekt tak określonego celu można ocenić dopiero w perspektywie kilkudziesięciu lat. Należy podkreślić, że szczepienie chroni tylko przed niektórymi onkogennymi typami wirusa brodawczaka, a nie przed samym zachorowaniem na nowotwór. Cel powinien być wyraźnie zdefiniowany i precyzyjnie wytyczony;

- *cele szczegółowe programu wymagają przeformułowania tak, by spełniały zasady S.M.A.R.T. (cel powinien być sformułowany w sposób jednoznaczny i konkretny, powinien być istotny, możliwy do zmierzenia i do zrealizowania oraz określony w czasie) Dwa z celów szczegółowych opisują działania a nie cel;*
- *zgodnie z deklaracją zawartą w opisie, oczekiwane efekty mają być zbieżne z celami, ale nie zostały one wymienione. Przykładowymi efektami mogą być: zwiększenie poziomu wiedzy uczestników programu w zakresie ryzykownych zachowań, chorób przenoszonych drogą płciową, zwiększenie przekonania o zasadności wykonywania szczepień i badań profilaktycznych;*
- *nie przedstawiono mierników efektywności. Należy zadbać aby wartości wskaźników określane były przed i po realizacji programu, ponieważ dopiero uzyskana zmiana w ich zakresie stanowi o wadze uzyskanego efektu. Miernikiem efektywności może być np. liczba zachorowań na raka szyjki macicy – sprawdzana w długoletniej perspektywie i zwrócenie uwagi, czy chorujące kobiety były szczepione przeciw HPV czy też liczba kobiet zgłaszających się na badania cytologiczne;*
- *program powinien uwzględniać ocenę jakości świadczeń realizowanych w jego ramach np. przeprowadzenie ankiety wśród uczestników;*
- *przedstawiony budżet nie uwzględnia kosztów kampanii informacyjno-edukacyjnej;*
- *projekt powinien przewidywać ewaluację programu po jego zakończeniu. W rekomendacjach zwraca się uwagę na uwzględnienie w ewaluacji takich czynników jak: poziom wyszczepialności (monitowane w ramach programu), chorobowość i zapadalność na raka szyjki macicy i choroby związane z HPV, skuteczność i długość oporności, jaką zapewniają szczepienia, psychologiczne oddziaływanie szczepionek;*
- *należy skorygować tytuł programu (jest to program polityki zdrowotnej a nie program zdrowotny).*

.....
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 nr OT.441.105.2017 „Program zdrowotny w zakresie profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV)” realizowany przez: Gminę Tuchola, Warszawa, czerwiec 2017 oraz Aneksu „Programy przeciwdziałania zakażeniom wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) oraz rakowi szyjki macicy – wspólne podstawy oceny” z listopada 2015.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 150/2017 z dnia 12 czerwca 2017 roku

o projekcie programu „Program szczepień ochronnych przeciwko grypie populacji z grupy szczególnego ryzyka tj. osób w wieku 65 lat na lata 2017-2021” (gm. Tuchola)

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program szczepień ochronnych przeciwko grypie populacji z grupy szczególnego ryzyka tj. osób w wieku 65 lat na lata 2017-2021” (gm. Tuchola), pod warunkiem wprowadzenia zmian realizujących uwagi Rady.

Uzasadnienie

Projekt programu dotyczy ważnego problemu zdrowotnego, który wpisuje się w priorytet zdrowotny zawarty w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. ws. priorytetów zdrowotnych (Dz.U.2009 nr 137 poz.1126): „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom”. Wnioskodawca poprawnie wskazał w projekcie charakterystykę grypy, typy wirusa, przebieg choroby oraz jej profilaktykę. Wnioskodawca odnosi się zarówno do ogólnoswiatowych, krajowych oraz regionalnych danych dotyczących zachorowalności na grypę. Załączony projekt programu zawiera wykaz piśmiennictwa, na podstawie którego opracowano problem zdrowotny. Wnioskodawca określił również dokładne dane demograficzne Gminy Tuchola, natomiast liczebność populacji osób włączanych do programu została uśredniona. Nie jest jasne, w jakim celu nastąpiło uśrednienie powyższych danych. Zgodnie z danymi GUS w 2017-2018 r. liczebność populacji osób będzie niższa niż wskazana uśredniona wartość. Powoduje to nieścisłości związane z budżetem projektu.

W ramach programu planowane jest wykonanie szczepień przeciwko wirusowi grypy. Wybór szczepionki będzie dokonany przez realizatorów programu według najnowszej wiedzy medycznej i obowiązujących zaleceń. Ponadto, preparat szczepionkowy będzie posiadał rejestrację i dopuszczenie do obrotu na terenie Polski.

Przewidziane są także działania edukacyjne w ramach kampanii informacyjno-edukacyjnej, którą przeprowadzą realizatorzy. Brak jest jednak szczegółowych informacji jak ma przebiegać akcja informacyjna. Nie wskazano chociażby



kanatów dystrybucji informacji na temat programu. Dodatkowo należy zauważyć, że Wnioskodawca nie przedstawia zakresu tematycznego akcji edukacyjnej, jedynie jeden z celów szczegółowych zakłada „podniesienie poziomu wiedzy na temat szczepień przeciwko grypie i ich celowości”.

Wybór grupy docelowej szczepień tj. populacji w 65 r. ż., mieści się w przedziale zalecanym w wytycznych, jednak wytyczne zalecają również objęcie szczepieniami populacji młodszej - już od 50 r.ż. Biorąc pod uwagę wiek populacji włączanej do programu (jedynie osoby w wieku 65 lat) należy zakładać, że wnioskodawca wziął pod uwagę możliwość szczepienia jednego uczestnika w każdym roku trwania Programu. Zgodnie z zaleceniami WHO szczepienia ochronne przeciwko grypie powinny być oferowane, co sezon epidemiczny wszystkim osobom zainteresowanym. Wydaje się, że poprzez zaszczepienie osób jedynie w wieku 65 lat uzyskanie trwałego efektu zdrowotnego nie będzie możliwe (brak zachowania ciągłości szczepień).

Zwraca uwagę sformułowanie celu głównego, który powinien być przeformułowany. Wnioskodawca sformułował cel główny w sposób następujący: „zmniejszenie zachorowalności na grypę i infekcje grypopodobne”. Cel główny powinien być wyraźnie zdefiniowany, a jego osiągnięcie powinno stanowić potwierdzenie skuteczności zaplanowanych działań.

Wnioskodawca ponadto przedstawił 1 cel szczegółowy, który jednak należy również uściślić – określił jako cel szczegółowy podniesienie poziomu wiedzy na temat szczepień przeciwko grypie i ich celowości. Cele powinny zostać określone w czasie, tak żeby móc w pełni odnosić się do reguły SMART.

Wskazane w projekcie programu 2 mierniki efektywności odpowiadające celom programu zostały zaprojektowane w sposób prawidłowy, ale warto byłoby również odnieść mierniki efektywności do wiedzy i świadomości uczestników programu i porównać je ze stanem wiedzy przed wprowadzeniem działań. W projekcie programu zaproponowano dwa mierniki efektywności: „liczba osób uczestniczących w programie” oraz „liczba osób zaszczepionych w programie”, które są takie same. Należy pomyśleć o dodatkowych miernikach, np. dodatkowym miernikiem mogłaby być liczba zachorowań na grypę w populacji objętej programem w porównaniu do zachorowalności w populacji niezaszczepionej. Należy pamiętać, aby wartości wskaźników określane były przed i po realizacji programu. Dopiero uzyskana zmiana w zakresie tych wartości i jej wielkość stanowi o wadze uzyskanego efektu programu.

Wnioskodawca wymienia 2 etapy zaplanowane w ramach Programu, tj.: „akcję informacyjną o programie” oraz „wykonanie szczepienia, po uprzednim uzyskaniu zaświadczenia o braku przeciwwskazań do jego wykonania, wystawionego przez lekarza”. W projekcie brak jest informacji o działaniach związanych z akcją edukacyjną. Należy zatem uzupełnić dane dotyczące

powyższej kwestii. Wnioskodawca również nie wskazał szczegółów prowadzenia kampanii informacyjnej. Nie jest jasne w jaki sposób mieszkańcy Gminy Tuchola zostaną poinformowani o programie. Wnioskodawca nie sprecyzował również, czy wymagane będzie podpisanie świadomej zgody na uczestnictwo w programie.

Wnioskodawca przewidział również możliwość wykonywania szczepień w warunkach domowych, co wydaje się słusznym podejściem. Nie wskazano jednak w budżecie środków związanych chociażby z transportem personelu programu do uczestnika programu.

W zakresie zaplanowanego budżetu Wnioskodawca nie przedstawił kosztów jednostkowych kampanii informacyjno-edukacyjnej, preparatów szczepionkowych, badań lekarskich oraz wykonania szczepienia. Przewidywany koszt całkowity realizacji programu w latach 2017-2021 ma wynieść ponad 62 tys. zł. Wnioskodawca dodatkowo określił koszty całkowite programu z podziałem na poszczególne lata trwania programu. Przyjmując liczebności populacji zawarte w projekcie programu w pkt „Populacja podlegająca jednostce samorządu terytorialnego” można stwierdzić, że koszt jednostkowy będzie zmienny. W roku 2017 może on wynieść 54 zł, a już w latach 2018-2019 może on oscylować w granicach 40 zł. Nie jest jasne, czym podyktowane są różnice w kosztach całkowitych w poszczególnych latach trwania programu. Wnioskodawca również omyłkowo wskazał rok 2010 zamiast roku 2020 w zestawieniu dotyczącym kosztów całkowitych.

.....
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 nr OT.441.106.2017 „Program szczepień ochronnych przeciwko grypie populacji z grupy szczególnego ryzyka tj. osób w wieku 65 lat na lata 2017-2021” realizowany przez: Gminę Tuchola, Warszawa, czerwiec 2017 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktycznych szczepień przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka –wspólne podstawy oceny”, z listopada 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 151/2017 z dnia 12 czerwca 2017 roku
w sprawie oceny zasadności wprowadzenia zmian
w dotychczasowym opisie programu lekowego
„Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie zmian proponowanych przez Ministra Zdrowia w dotychczasowym opisie programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”, w szczególności w zakresie:

- *usunięcia z przeciwwskazań do stosowania octanu glatirameru pkt 3 – ciąża,*
- *zmiany brzmienia kryterium wykluczenia (pkt 3) na: stan kliniczny chorego oceniany w trakcie badania kontrolnego w skali EDSS powyżej 5,0 (w trakcie remisji),*
- *zmiana kryterium wykluczenia dla interferonu na limfopenia poniżej 500/ μ l.*
- *obniżenie wieku pacjentów, u których można stosować leki zawierające substancje czynne: teriflunomidum, dimethylis fumaras oraz peginterferonum beta-1a do 12 roku życia*

pod warunkiem:

- *wprowadzenia do programu obowiązku przekazania chorym kwalifikowanym do terapii pisemnej informacji na temat aktualnego stanu wiedzy na temat bezpieczeństwa i skuteczności stosowania octanu glatirameru u ciężarnych i uzyskania pisemnej świadomej zgody na jego zastosowanie;*
- *wprowadzenia do programu obowiązku stosowania leków zawierających substancje czynne: teriflunomidum, dimethylis fumaras oraz peginterferonum u chorych od 12 do 18 roku życia, wyłącznie w ośrodkach zapewniających leczenie pod opieką zespołów lekarskich składających się z neurologów i neurologów dziecięcych, mających doświadczenie w leczeniu SM, oraz pod warunkiem przekazania opiekunom chorych/chorym kwalifikowanym do terapii wyżej wymienionymi substancjami pisemnej informacji na temat aktualnego stanu wiedzy na temat bezpieczeństwa i skuteczności ich stosowania w tej grupie wiekowej oraz uzyskania pisemnej świadomej zgody na ich zastosowanie.*



Uzasadnienie

W charakterystyce produktu leczniczego dla octanu glatirameru wskazano na możliwość jego stosowania w ciąży w przypadkach, gdy korzyści przekraczają ryzyko. Bezpieczeństwo i skuteczność stosowania leku w tej grupie chorych potwierdzają ograniczonej jakości dowody naukowe – przede wszystkim badania obserwacyjne na małych grupach chorych. Lek nie jest rekomendowany w wytycznych klinicznych, jednak na korzyści wynikające z jego stosowania wskazują eksperci. Wobec ograniczonej ilości dowodów naukowych wskazane jest udzielenie pisemnej informacji ciężarnym na temat ograniczeń dotyczących wiedzy na temat bezpieczeństwa stosowania leku.

Brak jest dostatecznych dowodów naukowych pozwalających na uzasadnienie zmiany kryterium wykluczenia na stan kliniczny chorego oceniany w trakcie badania kontrolnego w skali EDSS powyżej 5,0 (w trakcie remisji), jednak zdaniem ekspertów podwyższenie punktacji uzasadnione jest ze względów klinicznych. Charakterystyki produktów leczniczych zawierających wymienione substancje czynne oraz rekomendacje kliniczne nie odnoszą się do punktacji w skali niepełnosprawności EDSS, wartość progową 5,0 uwzględniono jednak w niektórych rekomendacjach refundacyjnych, wartość ta jest również zgodna z proponowanym w programie punktowym systemem oceny i kwalifikacji do leczenia. Charakterystyki produktów leczniczych zawierających wymienione substancje czynne oraz rekomendacje kliniczne nie odnoszą się także do zmiany kryterium wykluczenia dla interferonu na: limfopenia poniżej 500/ μ l, zmiana ta jest jednak uzasadniona w opinii ekspertów stosujących lek. Nie określono bezpieczeństwa i skuteczności stosowania leków zawierających substancje czynne: teriflunomidum, dimethylis fumaras oraz peginterferonum beta-1a u dzieci od 12 roku życia, jednak niektóre krajowe towarzystwa neurologiczne uznają, że dzieci z SM w wieku <16 lat mogą być leczone wymienionymi wyżej substancjami, pod warunkiem wszakże, iż leczenie to będzie prowadzone w specjalnych klinikach pod opieką zespołu lekarskiego składającego się z neurologów i neurologów dziecięcych mających doświadczenie w leczeniu SM. Należy odnotować brak randomizowanych badań klinicznych dotyczących stosowania teryflunomidu, peginterferonu beta-1a i fumaranu dimetylu w populacji pediatrycznej. Dostępne dane pochodzą z nielicznych analiz retrospektywnych/badań obserwacyjnych/wczesnej fazy, jest więc niezwykle istotne, aby chorzy/ich opiekunowie mieli możliwość zapoznania się z aktualnym stanem wiedzy przed podjęciem decyzji o rozpoczęciu terapii. Konieczne jest także staranne monitorowanie programu lekowego w zakresie jego bezpieczeństwa i okresowe przygotowanie raportów w tym zakresie.

Przedmiot zlecenia

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), w nawiązaniu do zlecenia Ministra Zdrowia, zawartego w piśmie PLA.4604.431.2017.PB.2 z dnia 26.05.2017 r.

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 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 opracowania „Teryflunomid, fumaran dimetylu, interferon beta, peginterferon beta-1a, octan glatirameru w stwardnieniu rozsianym Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego: „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”, nr (OT.434.21.2017), Data ukończenia: 8 czerwca 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 152/2017 z dnia 12 czerwca 2017 roku

w sprawie objęcia refundacją leku Aubagio (teriflunomidum), przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie pacjentów w wieku od 12 lat

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leku Aubagio (teriflunomidum), tabl. powł., 14 mg 28 tabl., kod EAN: 5909991088170, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj.: leczenie pacjentów w wieku od 12 lat, pod warunkiem że lek stosowany będzie wyłącznie w zmodyfikowanym programie lekowym „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35).”

Uzasadnienie

Rada uznała za zasadne wprowadzenie zmian proponowanych przez Ministra Zdrowia w dotychczasowym opisie programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”, w szczególności w zakresie obniżenia wieku pacjentów, u których można stosować leki zawierające substancje czynne: teriflunomidum, dimethylis fumaras oraz peginterferonum beta-1a do 12 roku życia, pod warunkiem wprowadzenia do programu obowiązku stosowania leków zawierających substancje czynne: teriflunomidum, dimethylis fumaras oraz peginterferonum u chorych od 12 do 18 roku życia, wyłącznie w ośrodkach zapewniających leczenie pod opieką zespołów lekarskich składających się z neurologów i neurologów dziecięcych, mających doświadczenie w leczeniu SM, oraz pod warunkiem przekazania opiekunom chorych/chorym kwalifikowanym do terapii wyżej wymienionymi substancjami pisemnej informacji na temat aktualnego stanu wiedzy na temat bezpieczeństwa i skuteczności ich stosowania w tej grupie wiekowej oraz uzyskania pisemnej świadomej zgody na ich zastosowanie. W opinii dotyczącej modyfikacji programu Rada odnotowała, że nie określono wprawdzie bezpieczeństwa i skuteczności stosowania leków zawierających substancje czynne: teriflunomidum, dimethylis fumaras oraz peginterferonum beta-1a u dzieci od 12 roku życia, jednak niektóre krajowe



towarzystwa neurologiczne uznają, że dzieci z SM w wieku <16 lat mogą być leczone wymienionymi wyżej substancjami, pod warunkiem wszakże, iż leczenie to będzie prowadzone w specjalnych klinikach pod opieką zespołu lekarskiego składającego się z neurologów i neurologów dziecięcych mających doświadczenie w leczeniu MS. Należy odnotować brak randomizowanych badań klinicznych dotyczących stosowania teryflunomidu, peginterferonu beta-1a i fumaranu dimetylu w populacji pediatrycznej. Dostępne dane pochodzą z nielicznych analiz retrospektywnych/badań obserwacyjnych/wczesnej fazy, jest więc niezwykle istotne, aby chorzy/ich opiekunowie mieli możliwość zapoznania się z aktualnym stanem wiedzy przed podjęciem decyzji o rozpoczęciu terapii.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLA.4604.431.2017.PB.1 z dnia 25.05.2017 r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania lub sposobu podawania odmiennych niż w Charakterystyce Produktu Leczniczego w zakresie leków i wskazań wymienionych w tabeli poniżej.

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, kod EAN	Wskazanie
teriflunomidum	Aubagio, tabl. powł., 14 mg 28 tabl., kod EAN: 5909991088170	leczenie pacjentów w wieku od 12 lat
dimethylis fumaras	Tecfidera, kaps. dojel. twarde, 120 mg 14 kaps. kod EAN: 0646520415445	
	Tecfidera, kaps. dojel. twarde, 240 mg 56 kaps. kod EAN: 0646520415452	
peginterferonum beta-1a	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 63µg, 94 µg 2 wstrz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520437201	
	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 63µg, 94 µg 2 amp.-strz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520441970	
	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 125µg 2 wstrz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520442113	
	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 125 µg 2 amp.-strz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520442274	

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.) z uwzględnieniem opracowania „Teryflunomid, fumaran dimetylu, interferon beta, peginterferon beta-1a, octan glatirameru w stwardnieniu rozsianym Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego: „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”, nr (OT.434.21.2017), Data ukończenia: 8 czerwca 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 153/2017 z dnia 12 czerwca 2017 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną dimethylis fumaras, przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie pacjentów w wieku od 12 lat

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną dimethylis fumaras w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj.: leczenie pacjentów w wieku od 12 lat, pod warunkiem że lek stosowany będzie wyłącznie w zmodyfikowanym programie lekowym „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”.

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, kod EAN	Wskazanie
dimethylis fumaras	Tecfidera, kaps. dojel. twarde, 120 mg 14 kaps. kod EAN: 0646520415445	leczenie pacjentów w wieku od 12 lat
	Tecfidera, kaps. dojel. twarde, 240 mg 56 kaps. kod EAN: 0646520415452	

Uzasadnienie

Rada uznała za zasadne wprowadzenie zmian proponowanych przez Ministra Zdrowia w dotychczasowym opisie programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”, w szczególności w zakresie obniżenia wieku pacjentów, u których można stosować leki zawierające substancje czynne: teriflunomidum, dimethylis fumaras oraz peginterferonum beta-1a do 12 roku życia, pod warunkiem wprowadzenia do programu obowiązku stosowania leków zawierających substancje czynne: teriflunomidum, dimethylis fumaras oraz peginterferonum u chorych od 12 do 18 roku życia, wyłącznie w ośrodkach zapewniających leczenie pod opieką zespołów lekarskich składających się z neurologów i neurologów dziecięcych, mających doświadczenie w leczeniu SM, oraz pod warunkiem przekazania opiekunom chorych/chorym kwalifikowanym do terapii wyżej wymienionymi substancjami pisemnej informacji na temat aktualnego stanu wiedzy na temat bezpieczeństwa i skuteczności ich stosowania w tej grupie wiekowej oraz uzyskania pisemnej świadomej zgody na ich zastosowanie. W opinii dotyczącej modyfikacji programu Rada odnotowała,



że nie określono wprawdzie bezpieczeństwa i skuteczności stosowania leków zawierających substancje czynne: teriflunomidum, dimethylis fumaras oraz peginterferonum beta-1a u dzieci od 12 roku życia, jednak niektóre krajowe towarzystwa neurologiczne uznają, że dzieci z SM w wieku <16 lat mogą być leczone wymienionymi wyżej substancjami, pod warunkiem wszakże, iż leczenie to będzie prowadzone w specjalnych klinikach pod opieką zespołu lekarskiego składającego się z neurologów i neurologów dziecięcych mających doświadczenie w leczeniu MS. Należy odnotować brak randomizowanych badań klinicznych dotyczących stosowania teryflunomidu, peginterferonu beta-1a i fumaranu dimetylu w populacji pediatrycznej. Dostępne dane pochodzą z nielicznych analiz retrospektywnych/badań obserwacyjnych/wczesnej fazy, jest więc niezwykle istotne, aby chorzy/ich opiekunowie mieli możliwość zapoznania się z aktualnym stanem wiedzy przed podjęciem decyzji o rozpoczęciu terapii.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLA.4604.431.2017.PB.1 z dnia 25.05.2017 r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania lub sposobu podawania odmiennych niż w Charakterystyce Produktu Leczniczego w zakresie leków i wskazań wymienionych w tabeli poniżej.

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, kod EAN	Wskazanie
teriflunomidum	Aubagio, tabl. powł., 14 mg 28 tabl., kod EAN: 5909991088170	leczenie pacjentów w wieku od 12 lat
dimethylis fumaras	Tecfidera, kaps. dojel. twarde, 120 mg 14 kaps. kod EAN: 0646520415445	
	Tecfidera, kaps. dojel. twarde, 240 mg 56 kaps. kod EAN: 0646520415452	
peginterferonum beta-1a	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 63µg, 94 µg 2 wstrz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520437201	
	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 63µg, 94 µg 2 amp.-strz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520441970	
	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 125µg 2 wstrz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520442113	
	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 125 µg 2 amp.-strz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520442274	

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.) z uwzględnieniem opracowania „Teryflunomid, fumaran dimetylu, interferon beta, peginterferon beta-1a, octan glatirameru w stwardnieniu rozsianym Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian

w dotychczasowym opisie programu lekowego: „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”, nr (OT.434.21.2017), Data ukończenia: 8 czerwca 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 154/2017 z dnia 12 czerwca 2017 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną peginterferonum beta-1a, przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie pacjentów w wieku od 12 lat

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną peginterferonum beta-1a w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj.: leczenie pacjentów w wieku od 12 lat, pod warunkiem, że lek stosowany będzie wyłącznie w zmodyfikowanym programie lekowym „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”.

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, kod EAN	Wskazanie
peginterferonum beta-1a	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 63µg, 94 µg 2 wstrz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520437201	leczenie pacjentów w wieku od 12 lat
	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 63µg, 94 µg 2 amp.-strz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520441970	
	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 125µg 2 wstrz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520442113	
	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 125 µg 2 amp.-strz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520442274	

Uzasadnienie

Rada uznała za zasadne wprowadzenie zmian proponowanych przez Ministra Zdrowia w dotychczasowym opisie programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”, w szczególności w zakresie obniżenia wieku pacjentów, u których można stosować leki zawierające substancje czynne: teriflunomidum, dimethylis fumaras oraz peginterferonum beta-1a do 12 roku życia, pod warunkiem wprowadzenia do programu obowiązku stosowania leków zawierających substancje czynne: teriflunomidum, dimethylis fumaras oraz peginterferonum u chorych od 12 do 18 roku życia, wyłącznie w ośrodkach zapewniających leczenie pod opieką zespołów lekarskich składających się z neurologów i neurologów dziecięcych, mających doświadczenie w leczeniu SM, oraz pod warunkiem przekazania opiekunom chorych/chorym kwalifikowanym do terapii wyżej wymienionymi substancjami pisemnej informacji na temat



aktualnego stanu wiedzy na temat bezpieczeństwa i skuteczności ich stosowania w tej grupie wiekowej oraz uzyskania pisemnej świadomej zgody na ich zastosowanie. W opinii dotyczącej modyfikacji programu Rada odnotowała, że nie określono wprowadzie bezpieczeństwa i skuteczności stosowania leków zawierających substancje czynne: teriflunomidum, dimethylis fumaras oraz peginterferonum beta-1a u dzieci od 12 roku życia, jednak niektóre krajowe towarzystwa neurologiczne uznają, że dzieci z SM w wieku <16 lat mogą być leczone wymienionymi wyżej substancjami, pod warunkiem wszakże, iż leczenie to będzie prowadzone w specjalnych klinikach pod opieką zespołu lekarskiego składającego się z neurologów i neurologów dziecięcych mających doświadczenie w leczeniu MS. Należy odnotować brak randomizowanych badań klinicznych dotyczących stosowania teryflunomidu, peginterferonu beta-1a i fumaranu dimetylu w populacji pediatrycznej. Dostępne dane pochodzą z nielicznych analiz retrospektywnych/badań obserwacyjnych/wczesnej fazy, jest więc niezwykle istotne, aby chorzy/ich opiekunowie mieli możliwość zapoznania się z aktualnym stanem wiedzy przed podjęciem decyzji o rozpoczęciu terapii.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLA.4604.431.2017.PB.1 z dnia 25.05.2017 r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania lub sposobu podawania odmiennych niż w Charakterystyce Produktu Leczniczego w zakresie leków i wskazań wymienionych w tabeli poniżej.

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, kod EAN	Wskazanie
teriflunomidum	Aubagio, tabl. powł., 14 mg 28 tabl., kod EAN: 5909991088170	leczenie pacjentów w wieku od 12 lat
dimethylis fumaras	Tecfidera, kaps. dojel. twarde, 120 mg 14 kaps. kod EAN: 0646520415445	
	Tecfidera, kaps. dojel. twarde, 240 mg 56 kaps. kod EAN: 0646520415452	
peginterferonum beta-1a	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 63µg, 94 µg 2 wstrz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520437201	
	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 63µg, 94 µg 2 amp.-strz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520441970	
	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 125µg 2 wstrz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520442113	
	Plegridy, roztwór do wstrzykiwań, 125 µg 2 amp.-strz. po 0,5 ml, kod EAN: 0646520442274	

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

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.) z uwzględnieniem opracowania „Teryflunomid, fumaran dimetylu, interferon beta, peginterferon beta-1a, octan glatirameru w stwardnieniu rozсіяnym Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego: „Leczenie stwardnienia rozсіяnego (ICD-10 G 35)”, nr (OT.434.21.2017), Data ukończenia: 8 czerwca 2017 r.