



## Rada Przejrzystości

dzielająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Protokół nr 29/2017**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 24 lipca 2017 roku**  
**w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT)**

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

1. Marzanna Bieńkowska
2. Paweł Grieb
3. Andrzej Kokoszka
4. Agata Maciejczyk
5. Michał Myśliwiec – prowadził posiedzenie
6. Tomasz Pasierski
7. Jakub Pawlikowski
8. Zbigniew Szawarski
9. Janusz Szyndler
10. Andrzej Śliwczyński

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku ENTYVIO (wedolizumab) w ramach programu lekowego „Wedolizumab w leczeniu wrzodziejącego zapalenia jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku HUMIRA (adalimumab) w ramach programu lekowego „Leczenie zapalenia błony naczyniowej oka- część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa oka (ICD-10 H20.0, H30.0)”.
6. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego, współfinansowanych ze środków UE w ramach EFS:
  - 1) „Program wykrywania zakażeń WZW B i C wraz ze szczepieniem przeciwko wirusowemu zapaleniu wątroby typu B na lata 2018-2020” (woj. wielkopolskie),
  - 2) „Program profilaktyki nowotworów skóry w Aglomeracji Kalisko-Ostrowskiej na lata 2018-2020” (woj. wielkopolskie),
  - 3) „Program badań przesiewowych słuchu oraz mowy dla uczniów pierwszych klas szkół podstawowych z terenu województwa łódzkiego na lata 2018-2020” (woj. łódzkie).
7. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:



- 1) „Program profilaktycznych szczepień przeciwko grypie skierowany do osób po 65 roku życia mieszkańców Gminy Gołdap w latach 2017-2020”,
  - 2) „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Skierniewice w wieku 65 lat i więcej”,
  - 3) „Program profilaktycznych szczepień przeciw grypie dla mieszkańców Rawy Mazowieckiej w latach 2017-2019”,
  - 4) „Program rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Chocień na lata 2017-2019”,
  - 5) „Program profilaktyki wad postawy dla uczniów klas I-IV szkół podstawowych z terenu Gminy Garbatka-Letnisko”,
  - 6) „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Lubiszyn na lata 2017-2021”,
  - 7) „Program profilaktyki chorób odkleszczowych na lata 2017-2020” (gmina Gietrzwałd).
8. Przygotowanie opinii w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leku Cortiment<sup>MMX</sup> (budesonidum), tabl. o przedł. uwalnianiu, 9 mg, 30 szt., kod EAN: 5909991205966, przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż w ChPL, tj.:
- indukcja remisji u pacjentów pediatrycznych z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią wrzodziejącego zapalenia jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające,
  - indukcja remisji u pacjentów z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią choroby Leśniowskiego-Crohna z zajęciem jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające.
9. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w schemacie dawkowania leku ADCETRIS (brentuximabum vedotin) w programie lekowym: „Leczenie opornych i nawrotowych postaci chłoniaków CD30 (C81 choroba Hodgkina, C84.5 inne i nieokreślone chłoniaki T)” poprzez zróżnicowanie opisu dawkowania w zależności od wieku pacjentów.
10. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
11. Zamknięcie posiedzenia.

**Ad 1.** Posiedzenie o godzinie 10:00 otworzył Wiceprzewodniczący Rady Michał Myśliwiec.

**Ad 2.** Rada przyjęła jednogłośnie propozycję porządku obrad przedstawioną przez Michała Myśliwca.

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

**Ad 4.** W oczekiwaniu na prezentację analityczną, swoją propozycję stanowiska Rady w sprawie oceny leku ENTYVIO (wedolizumab) w ramach programu lekowego „Wedolizumab w leczeniu wrzodziejącego zapalenia jelita grubego (WZIG) (ICD-10 K51)” przedstawił Paweł Grieb. Stwierdził, że jest to unikatowy, biologiczny lek, który jest przeciwciałem monoklonalnym skierowanym przeciwko jelitowo-specyficznej integrynie alfa4-beta7. Blokuje wchodzenie limfocytów i dlatego wydaje się lepszy od inhibitorów biologicznych TNFalfa i ma mniej skutków ubocznych, ponieważ działa lokalnie. Jest pierwszym tego typu lekiem, jest pod patentem i jest kosztowny. Jego skuteczność w przypadkach średnio i ciężko nasilonego wrzodziejącego zapalenia jelita grubego leczonych uprzednio terapią standardową bądź inhibitorami TNFalfa została wykazana w wysokiej jakości randomizowanych badaniach klinicznych. Nie przeprowadzono jednak bezpośredniego porównania skuteczności leku z infliximabem bądź innym przeciwciałem monoklonalnym przeciwko TNFalfa.

Jego zdaniem lek należy finansować pod dwoma warunkami. Zgodnie z wnioskiem lek ma być podawany w ramach programu lekowego dorosłym pacjentom z czynnym wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, którzy nie reagują wystarczająco, przestali reagować na leczenie lub nie tolerują leczenia konwencjonalnego lub antagonistami czynnika martwicy nowotworów-alfa (TNFalfa). Uważa, że lek w ciężkiej postaci WZJG może być stosowany jako druga linia leczenia, czyli w przypadkach nieskuteczności leczenia anty-TNFalfa. U pacjentów z umiarkowanym nasileniem choroby powinien jednak być stosowany jako trzecia linia leczenia, to jest po stwierdzeniu nieadekwatnej odpowiedzi zarówno na leczenie konwencjonalne, jak i na terapię biologiczną antagonistami TNFalfa. Drugi warunek dotyczy obniżenia ceny leku, który nie jest kosztowo efektywny i przekracza limity ustawowe. Zauważył, że zarówno wśród opinii ekspertów jak i w literaturze zwraca się uwagę, że należy unikać przewlekłej sterydoterapii u tych pacjentów. Istnieje pewne ryzyko, że w przypadku wydania przez Radę opinii pozytywnej, lek może być w postaci mniej ciężkiej choroby nadużywany.

Następnie Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: OT.4351.10.2017 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Entyvio (wedolizumab) w ramach programu lekowego: „Wedolizumab w leczeniu wrzodziejącego zapalenia jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)”.

W dalszej kolejności członkowie Rady wysłuchali zaproszonej na posiedzenie dr hab. Małgorzaty Mossakowskiej, reprezentującej Polskie Towarzystwo Wspierania Osób z Nieswoistymi Zapaleniami Jelita „J-elita”. Przedstawicielka pacjentów powiedziała między innymi:

Jestem założycielką stowarzyszenia, matką chorej dziewczyny i prezesem honorowym tego stowarzyszenia. To jest bardzo ciężka choroba i nie polega na zwykłych biegunkach. Osoby które nie reagują na leczenie standardowe są w bardzo trudnej sytuacji. Biegunki są uporczywe, długotrwałe, wyniszczające i w zasadzie wykluczające chorego z normalnego życia. To się odbija na wykształceniu, na życiu rodzinnym, na karierze zawodowej. Stowarzyszenie wspólnie z Uniwersytetem Jagiellońskim przeprowadziło badanie kosztów pośrednich wrzodziejącego zapalenia jelita grubego, które zostało opublikowane, niektóre wyniki zostały zawarte w raporcie Uczelni Łazarskiego. Koszty bardzo rosną jeżeli choroba nie jest dobrze kontrolowana. Chciałabym bardzo, aby podejmując decyzje uwzględnili to państwo, oraz koszty, ponoszone przez pacjentów z własnej kieszeni. Te koszty nie zostały jeszcze policzone, ale są one bardzo, bardzo duże dlatego, że w naszym kraju brak jest finansowania witamin, suplementów oraz niestety niektórych leków o niewielkich działaniach niepożądanych, takich jak np. doodbytniczego budesonidu. Jeśli chodzi o sam lek to poza badaniami klinicznymi, poza licznymi doniesieniami na konferencjach naukowych, które jeszcze nie zostały opublikowane wydaje się, że w tej chwili jest to lek numer jeden i taka jest opinia lekarzy, w tych przypadkach gdzie nie działa standardowe leczenie. Ze względu na mechanizm działania ma on mniej potencjalnych działań niepożądanych i jest z tego co my wiemy, bardzo chwalony przez pacjentów. Ci pacjenci którzy byli np. w badaniach klinicznych albo w naszych kontaktach międzynarodowych, bardzo ten lek chwalią. W Polsce pacjenci z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego są w zasadzie pozbawieni leczenia biologicznego, poza leczeniem ratunkowym w przypadku kiedy jest zagrożenie kolektomią, czyli bardzo obciążającą operacją chirurgiczną. I dobrze by było żeby to się zmieniło, żeby ci ludzie mieli jakąś szansę. Bo nie można też myśleć, że okaleczająca operacja kończy tę chorobę. Istnieje grupa pacjentów, u których to co na początku wydawało się wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego, po operacji już w materiale histopatologicznym okazywało się chorobą Crohna.

Andrzej Śliwczyński zwrócił uwagę na fakt, że Narodowy Fundusz Zdrowia finansuje w tej chwili leczenie wrzodziejącego zapalenia jelita w ramach programu lekowego i poprosił przedstawicielkę Towarzystwa o odniesienie się do skuteczności leczenia, które jest w tym programie.

W odpowiedzi Małgorzata Mossakowska stwierdziła, że nadal jest to tylko terapia ratunkowa. Program został przedłużony z 3 dawek do jednego roku, jest to bardzo dobra zmiana leczenia, tylko jednym lekiem (infiximabem), która daje szansę tym pacjentom, którzy zostaną włączeni do programu. Pacjentom w bardzo ciężkim stanie, którzy mają dużo większą szansę na to aby uratować jelito i uniknąć operacji. Włączani są jednak tylko pacjenci z bardzo zaawansowaną chorobą.

Andrzej Śliwczyński doprecyzował pytanie, prosząc o ocenę skuteczności klinicznej leku, który jest w tej chwili finansowany w programie.

Odpowiadając przedstawicielka Towarzystwa stwierdziła, że lek stosowany jest od bardzo wielu lat i u bardzo dużej grupy pacjentów skuteczny. Skuteczność leków u pacjentów jest zróżnicowana, dla jednej grupy jest to mesalazyna, u kolejnej grupy to jest sterydoterapia. Są leki immunomodulujące, które są bardzo skuteczne w podtrzymywaniu remisji i dopiero kolejnym etapem są leki biologiczne, chyba że pacjent od początku bardzo źle rokuje.

Wojciech Wysoczański, Dyrektor Wydziału Oceny Technologii Medycznych AOTMiT stwierdził, że w przypadku tego leku bardzo problematyczny jest czas leczenia, nie wiadomo jak długo należy te osoby leczyć. Choroba przebiega z naturalnymi remisjami i bardzo trudno jest klinicznie powiedzieć czy jest to zasługa leku, czy naturalna remisja.

Andrzej Śliwczyński dodał, że w przypadku leczenia biologicznego długość terapii zawsze jest problematyczna. Jeśli jest to kolejny lek na tę samą jednostkę chorobową zaproponował aby w przypadku pozytywnej opinii znalazł się w niej zapis „pod warunkiem włączenia leku do obecnie finansowanego programu lekowego oraz osiągnięcia kosztów na poziomie obecnie finansowanych cząsteczek”.

Paweł Grieb oświadczył, że jest przeciwnikiem tworzenia programu lekowego dla leków, a nie dla choroby. To jest pierwszy tego typu lek, on jest pod patentem i liczenie na to że jego cena będzie taka sama jak dla leków biopodobnych, gdzie mechanizm konkurencji już istnieje, jest błędne. Jeśli tak Rada proponuje to lek się przegra. Dlatego podtrzymuje swoją propozycję, żeby rekomendować go do finansowania, tylko nadać mu właściwą pozycję w hierarchii poszczególnych sposobów leczenia. Czyli jako lek 3 rzutu u pacjentów ze średnio ciężkim przebiegiem choroby i ewentualnie jako lek 2 rzutu z ciężkim przebiegiem choroby. Biorąc pod uwagę że są to często ludzie młodzi uważa, że trzeba zrobić wszystko, żeby odłożyć w czasie ostateczny sposób leczenia jakim jest chirurgiczne usunięcie części jelita.

Andrzej Śliwczyński upierał się przy włączeniu tego leku do tego samego programu. Jeżeli będą dwa oddzielne programy to dla każdego z tych programów będą podpisywane oddzielne umowy z podmiotami leczniczymi i nie ma takiej gwarancji, że ten sam podmiot leczniczy będzie miał oba programy. Z punktu widzenia pacjenta może to okazać się trudne organizacyjnie. Jeśli opinia miałaby być pozytywna, poprosił o umieszczenie w niej uwagi „pod warunkiem zapewnienia efektywności kosztowej”.

Paweł Grieb stwierdził, że po namyśle przyznaje rację przedmówcy.

Janusz Szyndler oświadczył, że osobiście nie ma takiego pozytywnego wrażenia jeśli chodzi o dane dotyczące tego środka, porównania są przecież wyłącznie pośrednie. Czyli tak naprawdę Rada chce w programie lekowym umiejscowić lek jako trzeci rzut, de facto nie mając bezpośredniego, twardego dowodu, że on w ogóle jest lepszy. Efekt jest tylko pośredni, że może działać w grupie gdzie nie działają blokery TNFalfa, ale wcale nie musi. Mamy dowód że może być zastosowany jako alternatywa dla infiximabu, czyli u osób które mają ciężkie przebiegi przed zastosowaniem TNF-u. Bezpośrednie porównanie z placebo pokazuje, że lek działa, tutaj nie ma wątpliwości. Ale w takim układzie on musi korespondować z kosztami infiximabu, co więcej z porównania wynika, że częstość

zakażeń jest wyższa po leku nowym, a pod względem innych parametrów się nie różni. Nie jest przekonany, że będzie to naprawdę dobra alternatywa jako terapia ratunkowa dla pacjentów z nie działającymi lekami z grupy TNFalfa.

Paweł Grieb dodał, że rekomendacje pochodzą z różnych lat i Rada musi to brać pod uwagę. Niespodzianką dla niego jest, że porównanie pośrednie nie wykazuje aby leczenie miało mniej skutków ubocznych.

Janusz Szyndler wtrącił, że zgadza się z ideą pozycjonowania leku, ale trzeba mieć dowód, że to będzie działać w tej subpopulacji.

Po ostatecznym sformułowaniu treści stanowiska Rady prowadzący 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 5.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: OT.4351.6.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Humira (adalimumab) w ramach programu lekowego „Leczenie zapalenia błony naczyniowej oka (ZBN) – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa (Icd-10 H20.0, H30.0)”.

Następnie swoją propozycję stanowiska przedstawiła Agata Maciejczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu. Opowiedziała się za stanowiskiem pozytywnym. Podkreśliła, że jest to lek ostatniego wyboru kiedy nie można zastosować innych leków lub one nie działają, a sama choroba jest bardzo ciężka i może prowadzić do drastycznego pogorszenia wzroku, a nawet jego utraty. Dotyczy często ludzi młodych. Przy braku skuteczności lub nietolerancji leczenia steroidami wdraża się leczenie immunosupresyjne, w tym podaje leki biologiczne. Wyznacznikiem skuteczności terapii jest możliwość zmniejszenia dawki kortykosteroidów poniżej progu związanego z klinicznie istotnymi działaniami niepożądanymi, z jednoczesnym utrzymaniem choroby w stadium nieaktywnym.

Amerykańskie wytyczne są zbieżne z tym co proponuje program, stosowanie leków biologicznych jest zalecane w przypadku braku odpowiedzi lub niewystarczającej odpowiedzi na kortykosteroidy. Tylko w niektórych sytuacjach klinicznych zaleca się stosowanie adalimumabu w I linii leczenia.

Problem polega na tym, że istnieją dwa badaniami rejestracyjne, których nie wszystkie dane są opublikowane w publikacjach pełnotekstowych oraz jedno jednoramienne badanie otwarte, które jest fazą przedłużoną obu powyższych badań i które się dopiero toczy, w związku z czym dane też są opublikowane w abstraktach. Badanie polega na porównaniu adalimumabu z najlepszą terapią wspomagającą tj. glikokortykosteroid + jeden lek immunosupresyjny. Jedno z tych badań dotyczy aktywnej a drugie nieaktywnej postaci choroby. Z wyników badań wynika wyższość adalimumabu w stosunku do terapii wspomagającej. Populacja objęta badaniem i populacja którą ma objąć program lekowy nie jest w pełni zbieżna. Różnica polega też na czasie obserwacji, w programie lek może być stosowany do 2 lat.

W pierwszorzędownym punkcie końcowym widać, że lek jest skuteczniejszy. Przedstawione wyniki wybranych drugorzędowych punktów końcowych dotyczyły tylko tych punktów, które zostały zamieszczone w pełnotekstowych publikacjach i też w wielu punktach widać wyższość nad terapią wspomagającą.

Odnaleziono 1 pozytywną rekomendację refundacyjną francuską. Lek jest refundowany w 7 lub 6 krajach i z całą pewnością jest to lek drogi. Narzędzie podziału ryzyka jest niewystarczające, ale trzeba podkreślić że sam adalimumab jest stosowany w kilku wskazaniach w Polsce i dotyczy niewielkiej grupy pacjentów.

Andrzej Śliwczyński stwierdził, że nie da się określić czasu stosowania adalimumabu łącząc stosowanie w ramach jednorodnych grup pacjentów (JGP). W obecnym systemie prawnym w ramach JGP leki biologiczne też mogą być stosowane w odpowiedniej grupie. Nie jest to sprawozdawane, w związku z tym nie ma żadnej możliwości określenia stosowania leku w ramach JGP. Zaproponowane przez ekspertów dodatkowe badania kwalifikujące, oczywiście zwiększą bezpieczeństwo stosowania leku, bo bezpieczeństwo nie jest poznane przy stosowaniu w tej chorobie, ale w sposób znaczący zwiększą obsługę programu.

Jest to kolejne zastosowanie adalimumabu, w związku z czym koszt tego leku na pewno powinien znacząco spaść a nie być utrzymywany na prawie niezmiennym poziomie. Skutki dla budżetu są znaczące. Nie wierzy, że populacja pacjentów będzie niewielka.

W odpowiedzi Agata Maciejczyk stwierdziła, że nie sądzi aby lek był nadużywany, ponieważ nie jest to lek niewinny. Jest obarczony licznymi działaniami niepożądanymi z których lekarze sobie doskonale zdają sprawę.

Wobec braku innych głosów prowadzący zarządził głosowanie. Rada przyjęła uchwały będące jej stanowiskami, które stanowią załączniki do protokołu:

- 1) Humira (adalimumab), roztwór do wstrzykiwań, 40 mg (2 wstrzykiwacze + 2 gaziki nasączone alkoholem), EAN 8054083011912 – w wyniku głosowania, 8 głosów za projektem stanowiska Rady, 2 głosy przeciw projektowi,
- 2) Humira (adalimumab), roztwór do wstrzykiwań, 40 mg (2 ampułkostrzykawki 40 mg/0,4 ml + 2 gaziki nasączone alkoholem), EAN 8054083011905 - w wyniku głosowania, 8 głosów za projektem stanowiska Rady, 2 głosy przeciw projektowi,
- 3) Humira (adalimumab), roztwór do wstrzykiwań, 40 mg (2 ampułkostrzykawki 40 mg/0,8 ml + 2 gaziki nasączone alkoholem), EAN 5909990005055 - w wyniku głosowania, 8 głosów za projektem stanowiska Rady, 2 głosy przeciw projektowi.

**Ad 6. 1)** Projekt swojej opinii w sprawie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego, współfinansowanego ze środków UE w ramach EFS „Program wykrywania zakażeń WZW B i C wraz ze szczepieniem przeciwko wirusowemu zapaleniu wątroby typu B na lata 2018-2020” przedstawił Janusz Szyndler, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Stwierdził, że program pod względem swoich założeń wpisuje się w rekomendacje towarzystw klinicznych i rekomendacje związane z postępowaniem profilaktycznym. Spełnia ogólne założenia związane z programami profilaktycznymi skierowanymi przeciwko zapaleniom wątroby typu B i C i wydaje się z nimi zgodny. Obejmuje zarówno część edukacyjną jak również wykrywanie wczesnych zakażeń i prowadzenie akcji związanych ze szczepieniami.

Zgłosił kilka zastrzeżeń co do programu: (i) cel główny zawiera m.in. „zmniejszenie zapadalności na marskość wątroby” co jest niemożliwe do oszacowania w programie tego typu; (ii) cele szczegółowe przedstawiają w zasadzie działania nie odnosząc się w ogóle do skutków; (iv) mierniki efektywności szczególnie w kontekście działań edukacyjnych są zbyt ogólne, np. ankieta dotycząca wiedzy na dany temat powinna być przeprowadzona przed i po realizacji działań edukacyjnych; (v) należy odpowiednio zmodyfikować dolną granicę wieku grupy docelowej podlegającej szczepieniom; (vi) należy zmodyfikować kampanię informacyjno-edukacyjną, której jeden z ważniejszych elementów ma polegać na emisji spotu edukacyjno-promocyjnego za pomocą monitorów zakupionych w tym celu dla placówek opieki zdrowotnej na terenie trzech powiatów, należy zrezygnować z tej pozycji a oszczędzone środki przeznaczyć na inne formy kampanii; (vii) wskazane jest uzupełnienie kampanii edukacyjnej o informacje związane z ryzykiem zakażenia HCV i HBV wynikającym z ryzykownych zachowań seksualnych; (viii) należy zmodyfikować wyliczenia kosztów jednostkowych, ponieważ nie wszyscy uczestnicy będą brali udział we wszystkich interwencjach przewidzianych do realizacji.

Nie mając merytorycznych zastrzeżeń co do założeń programu zaproponował opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia wymienionych uwag.

Wobec braku innych głosów prowadzący posiedzenie 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 współfinansowanego ze środków UE w ramach EFS „Program profilaktyki nowotworów skóry w Aglomeracji Kalisko-Ostrowskiej na lata 2018-2020” przedstawił Jakub Pawlikowski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zgłosił kilka dość istotnych, jego zdaniem, zastrzeżeń dotyczących niektórych elementów programu. Jego zdaniem przewidywana realizacja programu jest nie do końca skoordynowana z innymi elementami systemu ochrony zdrowia ponieważ wg rekomendacji badanie wideodermatoskopem powinno być prowadzone nie wobec populacji ogólnej, a jedynie wśród chorych skierowanych przez lekarza rodzinnego lub będącego pod opieką dermatologiczną. Populacja odbiega od danych epidemiologicznych, które wskazują, że największe nasilenie czerniaków i innych nowotworów skóry jest w populacji powyżej 50 r.ż., a najsilniejszy trend wzrostowy jest w populacji seniorów powyżej 65 r.ż. Jego największe wątpliwości wzbudziły koszty przeznaczone na zakup sprzętu, ponieważ rynkowe ceny wideodermatoskopów są kilkukrotnie niższe od ceny przewidywanej przez wnioskodawcę, co może budzić wątpliwości z perspektywy zasady odpowiedzialnego wydatkowania finansów publicznych. Trudno w ogóle znaleźć uzasadnienie dla tego typu wydatków. Jest 5 poradni dermatologicznych natomiast projekt zakłada zakup dwóch wideodermatoskopów co nie jest to opatrzone żadnym komentarzem. Te zastrzeżenia plus drobniejsze dotyczące np. konieczności przeformułowania celów szczegółowych i dodania wskaźników efektywności spowodowały, że zaproponował opinię negatywną.

Tomasz Pasierski opowiedział się za negatywną opinią twierdząc, że jeśli żaden kraj nie stosuje jakichś badań przesiewowych na szeroką skalę to znaczy, że nie są one uzasadnione i Rada powinna ocenić program negatywnie.

Wobec braku innych głosów 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 współfinansowanego ze środków UE w ramach EFS „Program badań przesiewowych słuchu oraz mowy dla uczniów pierwszych klas szkół podstawowych z terenu województwa łódzkiego na lata 2018-2020”, przedstawił Andrzej Śliwczyński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponował opinię pozytywną pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady. Stwierdził, że program jest bardzo dobrze napisany, a jedyne uwagi jakie posiada to przeformułowanie celu ogólnego i jednego z celów szczegółowych.

Wobec braku innych głosów 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. 1)** Projekt swojej opinii w sprawie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program profilaktycznych szczepień przeciwko grypie skierowany do osób po 65 roku życia mieszkańców Gminy Gołdap w latach 2017-2020”, przedstawił Zbigniew Szawarski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Stwierdził, że

program jest słaby, wymaga wielu poprawek i uzupełnień. Niezbędna jest ponowna analiza celu głównego i celów szczegółowych, zgodnie z zasadą S.M.A.R.T., tak aby można było mierzyć postęp zarówno w realizacji celu głównego, jak i celów szczegółowych. Cel główny powinien być wyraźnie zdefiniowany, a kolejne etapy jego realizacji w czasie ściśle wyznaczone, tak aby jego osiągnięcie potwierdzało skuteczność zaplanowanych działań. Konieczne jest wyjaśnienie i precyzyjne zdefiniowanie kryteriów kwalifikacji do udziału w programie. Należy także szczegółowo określić zakres i sposób realizacji planowanej akcji informacyjno-edukacyjnej. Konieczne jest dokonanie ponownej, szczegółowej analizy budżetu. Budżet jest kontrowersyjny, nie jest w pełni jasne, ile osób obejmie swym zakresem przedstawiony program i jakie będą koszty jego realizacji.

Wobec braku innych głosów prowadzący zarządził głosowanie nad projektem opinii negatywnej. Rada 9 głosami za projektem opinii Rady, przy 1 głosie 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 szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Skierniewice w wieku 65 lat i więcej”, przedstawił Zbigniew Szawarski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Stwierdził, że program jest bardzo dobrze napisany, nie ma do niego uwag i zaproponował ocenę pozytywną.

Wobec braku innych głosów 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 „Program profilaktycznych szczepień przeciw grypie dla mieszkańców Rawy Mazowieckiej w latach 2017-2019” przedstawił Zbigniew Szawarski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii.

Zaproponował opinię pozytywną pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady. Jego zdaniem program jest dobrze napisany, zawiera jedynie drobne uchybienia. Należy m.in. przeprowadzić ponowną analizę celów szczegółowych programu zgodnie z zasadami S.M.A.R.T., tak aby można było mierzyć postęp w ich realizacji oraz uściślić mierniki efektywności.

Wobec braku innych głosów 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.

4) Projekt swojej opinii w sprawie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Chocień na lata 2017-2019”, przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponowała opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady. Należy m.in. doprecyzować cel główny oraz cele szczegółowe, które nie zostały sformułowane w sposób prawidłowy oraz rozważyć zaproponowanie uczestnikom programu możliwości transportu do ośrodka, w którym będzie prowadzony program lub przeprowadzenie rehabilitacji w warunkach domowych.

Wobec braku innych głosów 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.



5) Projekt swojej opinii w sprawie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program profilaktyki wad postawy dla uczniów klas I-IV szkół podstawowych z terenu Gminy Garbatka-Letnisko”, przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponowała opinię negatywną, jej zdaniem przedstawiony przez wnioskodawcę program powiela świadczenia gwarantowane z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej, gdzie pielęgniarka ma za zadanie kontrolę postawy. Zaproponowane metody nie są do końca wiadome np. badanie przesiewowe przy pomocy Sensora Hipokratesa. Urządzenie to posiada patent zarejestrowany w Urzędzie Patentowym Rzeczypospolitej Polskiej. Nie odnaleziono jednak żadnych informacji na jego temat, oprócz informacji pochodzących ze strony producenta, zgodnie z którymi, urządzenie to umożliwia bezinwazyjne skierowanie wiązek promieni podczerwonych na łopatki, biodra, kolana i kostki człowieka, po to by porównać pomiar z właściwymi parametrami postawy. Jednak Wnioskodawca nie podaje informacji, kto będzie przeprowadzał badanie na urządzeniu Sensor Hipokrates. Cel główny został sformułowany nieprawidłowo, powinien zostać sformułowany w sposób szczegółowy, tak aby był on mierzalny, realistyczny oraz terminowy. Wnioskodawca zakłada współpłacenie rodziców na poziomie 50%, tj. 45 zł, za zajęcia korekcyjne co stwarza ryzyko nierównego dostępu dla wszystkich uprawnionych, część rodziców może nie wyrazić zgody na ww. dopłatę, przez co ich dziecko nie będzie mogło uczestniczyć w zajęciach. Wszystkie braki zostały szczegółowo opisane w uzasadnieniu przedstawionego projektu opinii.

Wobec braku innych głosów 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.

6) Projekt swojej opinii w sprawie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Lubiszyn na lata 2017-2021”, przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponowała opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady. W przedstawionym projekcie brakuje precyzyjnych informacji na temat zakresu oraz dokładnej liczby stosowanych, poszczególnych rodzajów interwencji, co powoduje, że nie jest możliwe do zweryfikowania czy pacjenci faktycznie otrzymają adekwatną ilość świadczeń terapeutycznych. Plan rehabilitacji powinien być dostosowany do potrzeb wynikających ze stanu chorego, zakresu potrzebnej pomocy fizjoterapeutycznej, kompleksowości, wczesności i ciągłości procesu rehabilitacji. Należy m.in. doprecyzować cel główny oraz cele szczegółowe, które nie zostały sformułowane w sposób prawidłowy i powinny zostać zmodyfikowane tak, aby wszystkie spełniały kryteria S.M.A.R.T. oraz wskaźniki. Należałoby rozważyć zaproponowanie uczestnikom programu możliwości transportu do ośrodka, w którym będzie prowadzony program.

Wobec braku innych głosów 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.

7) Projekt swojej opinii w sprawie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program profilaktyki chorób odkleszczowych na lata 2017-2020”, przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zaproponowała opinię negatywną. Jej zdaniem przedstawiony przez wnioskodawcę program jest bardzo chaotyczny. Populacja to członkowie Ochotniczej Straży Pożarnej z terenu gminy Gietrzwałd – 100 osób, o których nie wiadomo czy mieli robione już jakieś badania, czy mają przeciwciała czy nie. Program podaje że do akcji ma być włączonych 1000 osób, nie wiadomo po co

iczymu ma to służyć. Wnioskodawca nie przewidział przeprowadzania badań na obecność przeciwciał przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu, natomiast eksperci kliniczni wskazują na zasadność wykonywania szczepień wśród osób, u których się ich nie stwierdza. Koszt wykonania przedmiotowych badań nie został uwzględniony w budżecie przeznaczonym na realizację programu. Przypomniała, że na terenie woj. warmińsko-mazurskiego realizowany jest „Program Polityki Zdrowotnej dla mieszkańców województwa warmińsko-mazurskiego w wieku aktywności zawodowej na lata 2017-2019 w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania zakaźnych chorób odkleszczowych”, który uzyskał warunkowo pozytywną opinię Agencji. W ramach tego programu zaplanowano przeprowadzenie działań informacyjno-edukacyjnych obejmujących m. in. tematykę dróg szerzenia, objawów, powikłań oraz profilaktyki chorób odkleszczowych, ze szczególnym uwzględnieniem praktycznych umiejętności takich jak prawidłowe wyciąganie kleszczy, unikanie ryzykownych zachowań sprzyjających narażeniu na pokłucie, stosowanie repelentów czy postępowanie w przypadku zaobserwowania niepokojących objawów. Projekt zakłada także przeprowadzenie diagnostyki serologicznej w kierunku boreliozy przy użyciu dwuetapowego protokołu diagnostycznego polegającego na wykrywaniu swoistych przeciwciał testem ELISA oraz w przypadku dodatniego bądź wątpliwie dodatniego wyniku potwierdzenie badania metodą Western blot. W projekcie przewidziano również przeprowadzenie ankiety wśród osób zgłaszających się do programu, będącej podstawą kwalifikacji do badań laboratoryjnych. Zatem w zakresie szczepień przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu, oceniany program gminy Gietrzwałd uzupełnia program wojewódzki. Wszystkie braki zostały szczegółowo opisane w uzasadnieniu przedstawionego projektu opinii.

Wobec braku innych głosów 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 8.** Projekt swojej opinii w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leku Cortiment<sup>MMX</sup> (budesonidum), tabl. o przedł. uwalnianiu, 9 mg, 30 szt., kod EAN: 5909991205966, przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż w ChPL, przedstawił Tomasz Pasierski. Przypomniał, że chodzi o rozszerzenie stosowania leku, któremu niedawno Rada dała negatywną ocenę na import docelowy. Rada uznała, że inne sterydy stosowane w chorobach zapalnych jelit są dobrą alternatywą. Budesonid jest taką formą sterydu, która ma się rozpuszczać w Ph jelita grubego i przez to działać celowanie w jelicie grubym. Aktualnie Rada ma dwa problemy do rozstrzygnięcia rozszerzenie tego u dzieci i stosowanie w chorobie Leśniowskiego-Crohna. Za interesujący uznał fakt, że wśród wnioskujących ekspertów nie zauważył silnego poparcia z ich strony odnośnie refundacji tego leku.

Budesonid zalecany jest jako jedna z równoważnych form terapii glukokortykosteroidami u pacjentów dorosłych, lecz brak jest badań, a co za tym idzie i wytycznych w stosowaniu budesonidu w tym wskazaniu u dzieci. Są głosy że budesonid mniej naraża dzieci na powikłania glukokortykoterapii i właściwie jest tylko ten argument, ale nie ma żadnych mocnych badań, jest to tylko intuicja że tak mogłoby być. W obu przypadkach tj. indukcji remisji u pacjentów pediatrycznych z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią wrzodziejącego zapalenia jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające oraz indukcji remisji u pacjentów z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią choroby Leśniowskiego-Crohna z zajęciem jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające, zaproponował opinie negatywne.

Prowadzący zarządził głosowanie, Rada 9 głosami za projektem opinii Rady, przy 1 głosie przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 9.** Projekt swojej opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w schemacie dawkowania leku Adcetris (Brentuximabum vedotinum) w ramach programu lekowego: „Leczenie opornych i nawrotowych postaci chłoniaków CD30+ (C 81 Choroba Hodgkina; C 84.5 Inne i nieokreślone chłoniaki T)” poprzez zróżnicowanie opisu dawkowania w zależności od wieku pacjentów przedstawił Andrzej Kokoszka. Oświadczył, że lek budzi jego bardzo duże wątpliwości i waha się między opinią pozytywną i negatywną. Rada ma do czynienia w tym przypadku z sytuacją, że jako off-label poprzez zmianę dawkowania wprowadza się zastosowanie tego leku dla dzieci i młodzieży. Następnie przedstawił członkom Rady swoją propozycję opinii w której przypomniał, że według badań zawartych w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL) „Nie określono dotychczas bezpieczeństwa stosowania ani skuteczności u dzieci i młodzieży w wieku poniżej 18 lat. Nie ma dostępnych danych. W badaniach nieklinicznych obserwowano zanik grasicy. [...] Badania kliniczne brentuksymabu vedotin nie obejmowały dostatecznej liczby pacjentów w wieku poniżej 18 lat tak, by można było określić, czy ich profil farmakokinetyczny różnił się od profilu dorosłych pacjentów”. Z kolei zapisy zarówno aktualnego jak i proponowanego programu lekowego nie zawierają kryteriów dot. wieku chorych kwalifikujących się do leczenia, umożliwiając tym samym zastosowanie brentuksymabu vedotin niezależnie od wieku pacjenta. W związku z powyższym wnioskowana technologia może być stosowana w populacji szerszej niż określa to status rejestracyjny leku, tj. także w populacji pediatrycznej (pacjenci poniżej 18 r.ż). Ze względu na zarejestrowanie produktu Adcetris do stosowania u dorosłych pacjentów, zalecana dawka wynosi 1,8 mg/kg. W ChPL Adcetris zawarto jednak informację, że przy określaniu wielkości łącznej dawki brentuksymabu vedotin, u pacjentów poniżej 60 kg należy do obliczenia użyć dawki 1,2 mg/kg. Ponadto, dawkę początkową zmniejszoną do 1,2 mg/kg stosuje się u pacjentów z zaburzeniami funkcjonowania nerek i wątroby. Można zatem przyjąć, że pacjenci w wieku poniżej 18 r. ż. przyjmować będą niższą dawkę leku na jedno podanie (1,2 mg/kg m.c. zamiast 1,8 mg/kg m.c.), jednak częściej. Analiza aktualnego piśmiennictwa pozwoliła zidentyfikować jedynie jeden opis przypadku uzyskania pełnej remisji oraz analiza bazy Cochrane, z 2016 r., która wykazała, że nie odnaleziono badań oceniających skuteczność i wpływ na jakość życia przeciwciałami monoklonalnymi w leczeniu chłoniaków u dzieci. W tej chwili nie można wyciągnąć wniosków opartych na dowodach dotyczących praktyki klinicznej. Badania fazy I i II wykazują pozytywny wpływ stosowania terapii przeciwciałami monoklonalnymi w leczeniu chłoniaków u dzieci. Potrzebne są dodatkowe badania w celu oceny i wdrażania terapii przeciwciałami monoklonalnymi w chłoniakach w wieku dziecięcym. Produkt Adcetris ma status leku sierocęgo, jednak został dopuszczony do obrotu zgodnie z procedurą dopuszczenia warunkowego. Oznacza to, że oczekiwane są dalsze dowody świadczące o korzyści ze stosowania produktu leczniczego.

Tomasz Pasierski stwierdził, że sytuacja w tym przypadku jest zupełnie inna niż w przypadku omawianym przed chwilą przez niego, ponieważ dotyczy terapii w chorobie śmiertelnej i lekarz może nie mieć innych opcji leczenia. Osobiście skłania się ku opinii pozytywnej i jest za tym, żeby stworzyć taką furtkę dla lekarza gdy dziecko ma agresywną postać chłoniaka, żeby mógł dzieci polecić w sytuacji gdy nie ma innych możliwości. Może się bowiem np. za 2 lata okazać, że pojawią się badania że ten lek świetnie działał u dzieci.

Zbigniew Szawarski wtrącił, że może też być odwrotnie.

Tomasz Pasierski odpowiedział, że to jest mniej prawdopodobne, bo z jednej strony istnieją działania niepożądane, które są do przyjęcia z drugiej strony śmiertelną chorobę.

Michał Myśliwiec dodał, że w przypadku choroby śmiertelnej trzeba trochę inaczej podchodzić do tej sprawy.

Andrzej Śliwczyński przypomniał, że w opisie programu nie ma kryterium wieku, jako kryterium włączającego do programu, w związku z tym może być stosowany dla wszystkich którzy uznani zostaną za zakwalifikowani.

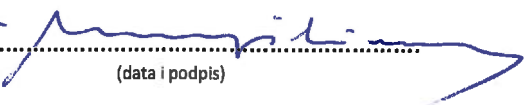
Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 9 głosami za projektem opinii Rady, przy 1 głosie przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 8.** Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 21 sierpnia 2017 r.

**Ad 9.** Prowadzący posiedzenie Michał Myśliwiec zakończył posiedzenie Rady o godzinie 13:15.

Protokół sporządził Michał Myśliwiec  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

28.08.2017

  
.....  
(data i podpis)



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 76/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku  
w sprawie oceny leku Entyvio (wedolizumab) kod EAN:  
5909991138202, w ramach programu lekowego:  
„Wedolizumab w leczeniu wrzodziejącego zapalenia jelita grubego  
(WZJG) (ICD-10 K51)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Entyvio (wedolizumab), proszek do sporządzania koncentratu do infuzji, 300 mg, 1 fiol., kod EAN 5909991138202, w ramach wnioskowanego programu lekowego „Wedolizumab w leczeniu wrzodziejącego zapalenia jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)”.*

*Jednocześnie Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Entyvio (wedolizumab), proszek do sporządzania koncentratu do infuzji, 300 mg, 1 fiol., kod EAN 5909991138202, w ramach obecnie finansowanego programu lekowego B55: „Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)” i stosowanie go u pacjentów z ciężką postacią WZJG w drugiej linii leczenia biologicznego, czyli w przypadkach nieskuteczności leczenia hamującego TNFalfa, w ramach osobnej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem uwzględnienia poniższych uwag do kryteriów kwalifikacji do leczenia wedolizumabem w ramach programu lekowego oraz obniżenia ceny leku. Rada Przejrzystości uważa propozycję instrumentu dzielenia ryzyka za niewystarczającą.*

### **Uzasadnienie**

*ENTYVIO (Wedolizumab) jest unikatowym lekiem biologicznym, przeciwciałem monoklonalnym skierowanym przeciwko jelitowo-specyficznej integrynie alfa4-beta7. Jego skuteczność w przypadkach średnio- i ciężko-nasilonego wrzodziejącego zapalenia jelita grubego (WZJG) leczonych uprzednio terapią standardową bądź inhibitorami TNFalfa została wykazana w randomizowanych badaniach klinicznych. Nie przeprowadzono jednak bezpośredniego porównania skuteczności leku ENTYVIO z infliximabem, bądź innym przeciwciałem monoklonalnym przeciwko TNFalfa.*



*Zgodnie z wnioskiem, lek ENTYVIO miałby być podawany w ramach programu lekowego dorosłym pacjentom z czynnym WZJG o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, którzy nie reagują wystarczająco, przestali reagować na leczenie lub nie tolerują leczenia konwencjonalnego lub antagonistami czynnika martwicy nowotworów-alfa (TNFalfa).*

*Rada uważa, że lek ENTYVIO w ciężkiej postaci WZJG może być stosowany jedynie jako druga linia leczenia biologicznego, czyli w przypadkach nieskuteczności leczenia hamującego TNFalfa. Wyniki badań klinicznych oraz opinie ekspertów wskazują, że stosowanie u niektórych pacjentów leku ENTYVIO, jako drugiej linii leczenia biologicznego, pozwoli opóźnić włączenie intensywnej steroidoterapii, bądź interwencji chirurgicznej. Lek jest refundowany w wielu krajach UE.*

*Ponadto Rada uważa, że warunkiem finansowania ze środków publicznych jest obniżenie ceny leku ENTYVIO.*

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**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.4351.10.2017 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Entyvio (wedolizumab) w ramach programu lekowego: »Wedolizumab w leczeniu wrzodziejącego zapalenia jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)«”. Data ukończenia: 14 lipiec 2017 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 77/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku

w sprawie oceny leku Humira (adalimumab) kod EAN:

5909990005055, w ramach programu lekowego „Leczenie zapalenia błony naczyniowej oka (ZBN) – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa (Icd-10 H20.0, H30.0)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Humira (adalimumab), roztwór do wstrzykiwań, 40 mg (2 ampułkostrzykawki 40 mg/0,8 ml + 2 gaziki nasączone alkoholem), kod EAN 5909990005055, w ramach programu lekowego „Leczenie zapalenia błony naczyniowej oka (ZBN) – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa (Icd-10 H20.0, H30.0)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1050.1, blokery TNF, adalimumab i wydawanie go bezpłatnie.*

*Warto rozważyć wprowadzenie następujących zmian opisie programu lekowego: określenie łącznego czasu stosowania adalimumabu (w programie i jednorodnych grupach pacjentów), dopisanie konkretnych przyrządów i narzędzi do przeprowadzenia badań np. tablicy ETDRS czy tonometru Goldmana lub Pascala), złagodzenie kryteriów włączenia i wyłączenia z programu (np. by nie wykluczać z programu pacjentów z jaskrą wczesną lub średniozaawansowaną, zaćmą – przed włączeniem do programu należy przeprowadzić zabieg jej usunięcia, organicznym zmętnieniem rogówki, pacjentów z  $T \geq 25$  mmHg). Nierozstrzygnięta pozostaje kwestia trwania terapii w przypadku uzyskania utrzymującej się długo remisji. Należałoby to określić. Do zapisów programu, przy kwalifikacji, powinno się dodać badanie neurologiczne, test na kiłę i boreliozę, badanie morfologii krwi z rozmazem, badania pomocne w wykluczeniu chłoniaka oka, rezonansu magnetycznego ośrodkowego układu nerwowego, badań potwierdzających/ wykluczających ciężę, badań w kierunku wykrycia zapalenia nadtwardówki i twardówki, a przy monitorowaniu – badań kontrolnych w kierunku zakażeń, także po zakończeniu leczenia, oraz przy kwalifikacji i monitorowaniu- oceny jakości życia.*

*Zaproponowany instrument dzielenia ryzyka jest niewystarczający.*

### Uzasadnienie



Brak jest europejskich wytycznych leczenia ZBN. Postępowanie w ZBN na tle immunologicznym polega na stosowaniu leków przeciwzapalnych i immunosupresyjnych (antymetabolitów, inhibitorów kalcyneuryny, leków biologicznych – z grupy antagonistów receptora interleukin oraz antagonistów TNF- $\alpha$ , do których należy adalimumab). Standardem jest terapia glikokortykosteroidami (podawanymi miejscowo, okołogałkowo, doszkliskowo, ogólnie). Przy braku skuteczności lub nietolerancji leczenia steroidami wdraża się leczenie immunosupresyjne, w tym podaje leki biologiczne. Wyznacznikiem skuteczności terapii jest możliwość zmniejszenia dawki kortykosteroidów poniżej progu związanego z klinicznie istotnymi działaniami niepożądanymi, z jednoczesnym utrzymaniem choroby w stadium nieaktywnym.

W proponowanym programie lekowym produkt Humira stosowany jest u dorosłych chorych na niezakaźne, przewlekłe, przetrwałe lub nawrotowe zapalenie błony naczyniowej oka (części pośredniej, odcinka tylnego lub całej błony naczyniowej), u których spełniony jest jeden z warunków:

- nie jest możliwe osiągnięcie nieaktywnego stadium choroby przy dawce  $\leq 10$  mg prednizonu (lub dawce równoważnej innego steroidu) lub terapii lekami immunosupresyjnym lub połączenia obu typów terapii po kursie leczenia trwającym 15 tygodni;
- konieczne jest zmniejszenie dawki kortykosteroidów lub odstawienie leczenia immunosupresyjnego, u chorych z nieaktywną postacią choroby, u których udokumentowano co najmniej 1 zaostrzenie choroby w czasie do 28 dni od rozpoczęcia zmniejszania dawki kortykosteroidu lub stabilizacji po odstawieniu obu typów leków trwającej krócej niż 3 miesiące;
- występuje przeciwwskazanie, bądź objawy nietolerancji terapii z zastosowaniem kortykosteroidów lub leków immunosupresyjnych.

W odnalezionych wytycznych klinicznych AUS 2014 (USA), Mesquida 2014 (USA) wskazano, że leki z grupy anty-TNF stosuje się w przypadku chorych, u których zapalenie błony naczyniowej jest oporne na leczenie z zastosowaniem tradycyjnych leków immunosupresyjnych. Leki biologiczne mogą być zastosowane również w przypadku braku odpowiedzi lub niewystarczającej odpowiedzi na kortykosteroidy, nawrotu choroby w czasie obniżenia dawki steroidów oraz niewystarczającej odpowiedzi na inne leki ograniczające stosowanie steroidów. W niektórych przypadkach zaleca się zastosowanie adalimumabu w I linii leczenia np. w chorobie Behçeta z obrzękiem plamki żółtej.

Dane na temat stosowania produktu leczniczego Humira w ZBN pochodzą z 2 rejestracyjnych, randomizowanych, podwójnie zaślepionych badań oceniających adalimumab vs najlepsza terapia wspomagająca (BSC) (badania VISUAL I- obejmującego chorych z aktywną postacią nieinfekcyjnego ZBN



*i VISUAL II – dotyczącego chorych z nieaktywną postacią choroby) oraz z 1 jednoramiennego badania otwartego, które jest fazą przedłużoną obu powyższych badań. Za najlepsze leczenie wspomagające przyjęto doustne stosowanie zmniejszanych dawek prednizonu oraz możliwość miejscowego stosowania zmniejszanych dawek steroidu i jednego leku immunosupresyjnego.*

*Część wyników badania VISUAL I i VISUAL II nie została opublikowana w formie pełnotekstowych publikacji, dlatego w analizie danych wzięto również pod uwagę dokumenty Europejskiej Agencji Leków z 2016 r.*

*Brak publikacji dotyczących bezpośredniego porównania adalimumabu z terapią korykosteroidem. Nie odnaleziono dowodów naukowych opisujących stosowanie adalimumabu u pacjentów leczonych wcześniej jedynie za pomocą leków immunosupresyjnych.*

*Należy zwrócić uwagę, że istnieją różnice pomiędzy populacjami pacjentów włączonych do badań i pacjentami spełniającymi kryteria leczenia w ramach programu lekowego.*

*Populacja, którą objęły badania nie uwzględnia np. jednego z kryteriów włączenia do programu lekowego czyli chorych z przeciwwskazaniami lub objawami nietolerancji terapii korykosteroidami lub lekami immunosupresyjnymi, możliwości stosowania innych leków przed włączeniem do badania/programu. Kryterium kwalifikacji do badania VISUAL I obejmowało utrzymywanie się aktywnej choroby pomimo trwającej  $\geq 2$  tygodnie leczenia doustnym prednizonem (1-60 mg/dobę) lub jego ekwiwalentem, natomiast w kryteriach kwalifikacji do programu lekowego zapisano niemożliwe do osiągnięcia stadium nieaktywne choroby przy dawce  $\leq 10$  mg prednizonu lub dawce równoważnej innego steroidu. Czas prowadzenia terapii wyniósł 80 tygodni w badaniu, 104 tygodnie w programie lekowym.*

*Pierwszorzędowym punktem końcowym badań VISUAL I i VISUAL II było niepowodzenie leczenia występujące odpowiednio w co najmniej szóstym tygodniu lub co najmniej drugim tygodniu leczenia.*

*U pacjentów oceniano m.in. niepowodzenie terapii związane z wystąpieniem nowych zmian zapalnych, zmianę najlepszej skorygowanej ostrości wzroku, zmianę stopnia nacieków komórkowych w komorze przedniej oka i zmianę stopnia przymglenia ciała szklistego.*

*Zarówno w badaniu VISUAL I jak i VISUAL II wykazano istotną statystycznie różnicę dla pierwszorzędowego punktu końcowego. Dla populacji zgodnej z zaplanowanym leczeniem w badaniu VISUAL I mediana czasu do wystąpienia niepowodzenia leczenia wynosiła 5,6 miesięcy w grupie stosującej adalimumab i BSC oraz 3 miesiące w grupie otrzymującej placebo i BSC. Dla populacji zgodnej z zaplanowanym leczeniem w badaniu VISUAL II mediana czasu do wystąpienia niepowodzenia leczenia wynosiła 8,3 miesiąca w grupie*

kontrolnej, a w grupie badanej nie osiągnięto mediany, gdyż u ponad 50% chorych stosujących adalimumab i BSC nie odnotowano niepowodzenia leczenia.

Przedstawione wyniki wybranych drugorzędowych punktów końcowych dotyczyły tylko tych punktów, które zostały zamieszczone w pełnotekstowych publikacjach.

W badaniu VISUAL I wykazano różnice znamienne statystycznie na korzyść ocenianej technologii lekowej między adalimumabem z BSC względem placebo z BSC pod względem wystąpienia: zmian stopnia nacieków komórkowych w komorze przedniej oka- wynik ogółem, zmian stopnia przymglenia ciała szklстого – wynik ogółem, zmian logarytmu najmniejszego kąta rozdzielczości BCVA – wynik ogółem oraz dla 3 z 4 parametrów ocenianych za pomocą kwestionariusza funkcji wzroku -VFQ- wynik ogółem, widoczności z bliskiej odległości i bólu gałki ocznej.

Nie odnotowano znamienne statystycznych różnic między porównywanymi technologiami dla drugorzędowych punktów końcowych w badaniu VISUAL II.

Dostępne dane odnoszące się do skuteczności w długiej perspektywie czasowej pochodzą z abstraktów konferencyjnych oraz z opracowań cząstkowych wyników trwającego jeszcze badania VISUAL III. przygotowanych przez Europejską Agencję Leków. Wskazują one na następujące zależności:

1. U pacjentów z nieaktywną postacią ZBN na początku badania:

- mediana czasu do wystąpienia niepowodzenia leczenia nie została osiągnięta;
- w czasie 174 tygodni obserwacji niepowodzenie terapii wystąpiło u 12,5% chorych;
- w czasie 54 tygodni nowe zmiany zapalne nie wystąpiły u 98,4% chorych;
- w ciągu 1 roku średnia dobową dawką stosowanego kortykosteroidu podawanego doustnie pozostała na tym zbliżonym poziomie (dawka początkowa 1,48 mg, dawka końcowa 1,21 mg prednizonu).

2. u pacjentów z aktywną postacią ZBN na początku badania:

- mediana czasu do wystąpienia niepowodzenia terapii wynosiła 12,5 miesiąca;
- w czasie 222 tygodni obserwacji niepowodzenie leczenia wystąpiło u 54,3% pacjentów;
- w czasie 78 tygodni nowe zmiany zapalne nie wystąpiły u 96,3% chorych;
- w ciągu 1 roku średnia dobową dawką kortykosteroidów podawanych doustnie obniżyła się z 12,7 mg do 3,68 mg ekwiwalentu prednizonu.

Z badania VISUAL I wynika, że częstość występowania ciężkich reakcji niepożądanych ogółem była istotnie statystycznie większa wśród chorych

*stosujących adalimumab z BSC (13,4%), w porównaniu do grupy kontrolnej (4,2%).*

*W badaniu VISUAL II ciężkie reakcje niepożądane ogółem w grupie badanej wystąpiły u 6,1% i u 7,7% w grupie kontrolnej. Wykazano różnice znamienne statystycznie na niekorzyść adalimumabu pod względem zwiększenia względnego i bezwzględnego ryzyka wystąpienia bólu stawów, wzrostu stężenia aminotransferazy alaninowej i asparaginowej oraz ryzyka zakażenia górnych dróg oddechowych.*

*Zapalenie błony naczyniowej oka może prowadzić do znacznego pogorszenia ostrości wzroku, a nawet utraty wzroku. Objęcie refundacją adalimumabu zwiększyłoby dostęp do technologii stosowanej w najcięższych postaciach tej choroby.*

*Odnaleziono 1 pozytywną rekomendację refundacyjną (HAS 2017) dla adalimumabu u pacjentów z nieinfekcyjnym ZBN, u których nie stwierdzono wystarczającej odpowiedzi na kortykosteroidy, u których konieczne jest zmniejszenie dawki kortykosteroidów, lub u których stosowanie kortykosteroidów jest niewłaściwe. Lek jest refundowany w 7 lub 6 krajach UE i EFTA.*

*Stosowanie adalimumabu z BSC w porównaniu z BSC jest technologią skuteczniejszą ale droższą., nawet przy uwzględnieniu zaproponowanych narzędzi podziału ryzyka. Wartość ICUR znajduje się powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.*

*Wprowadzenie do refundacji wnioskowanej technologii będzie się wiązało się ze znacznymi dodatkowymi kosztami, dlatego zaproponowane narzędzia podziału ryzyka są niewystarczające.*

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**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.4351.6.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Humira (adalimumab) w ramach programu lekowego »Leczenie zapalenia błony naczyniowej oka (ZBN) – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa (Icd-10 H20.0, H30.0)«”. Data ukończenia: 14 lipca 2017.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 78/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku

w sprawie oceny leku Humira (adalimumab) kod EAN:

8054083011905, w ramach programu lekowego „Leczenie zapalenia błony naczyniowej oka (ZBN) – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa (Icd-10 H20.0, H30.0)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Humira (adalimumab), roztwór do wstrzykiwań, 40 mg (2 ampułkostrzykawkki 40 mg/0,4 ml + 2 gaziki nasączone alkoholem), EAN 8054083011905, w ramach programu lekowego „Leczenie zapalenia błony naczyniowej oka (ZBN) – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa (Icd-10 H20.0, H30.0)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1050.1, blokery TNF, adalimumab i wydawanie go bezpłatnie.*

*Warto rozważyć wprowadzenie następujących zmian opisie programu lekowego: określenie łącznego czasu stosowania adalimumabu (w programie i jednorodnych grupach pacjentów), dopisanie konkretnych przyrządów i narzędzi do przeprowadzenia badań np. tablicy ETDRS czy tonometru Goldmana lub Pascala), złagodzenie kryteriów włączenia i wyłączenia z programu (np. by nie wykluczać z programu pacjentów z jaskrą wczesną lub średniozaawansowaną, zaćmą – przed włączeniem do programu należy przeprowadzić zabieg jej usunięcia, organicznym zmętnieniem rogówki, pacjentów z  $T \geq 25$  mmHg). Nierozstrzygnięta pozostaje kwestia trwania terapii w przypadku uzyskania utrzymującej się długo remisji. Należałoby to określić. Do zapisów programu, przy kwalifikacji, powinno się dodać badanie neurologiczne, test na kiłę i boreliozę, badanie morfologii krwi z rozmazem, badania pomocne w wykluczeniu chłoniaka oka, rezonansu magnetycznego ośrodkowego układu nerwowego, badań potwierdzających/ wykluczających ciężę, badań w kierunku wykrycia zapalenia nadtwardówki i twardówki, a przy monitorowaniu – badań kontrolnych w kierunku zakażeń, także po zakończeniu leczenia, oraz przy kwalifikacji i monitorowaniu- oceny jakości życia.*

*Zaproponowany instrument dzielenia ryzyka jest niewystarczający.*

#### Uzasadnienie



Brak jest europejskich wytycznych leczenia ZBN. Postępowanie w ZBN na tle immunologicznym polega na stosowaniu leków przeciwzapalnych i immunosupresyjnych (antymetabolitów, inhibitorów kalcyneuryny, leków biologicznych – z grupy antagonistów receptora interleukin oraz antagonistów TNF- $\alpha$ , do których należy adalimumab). Standardem jest terapia glikokortykosteroidami (podawanymi miejscowo, okołogałkowo, doszkliskowo, ogólnie). Przy braku skuteczności lub nietolerancji leczenia steroidami wdraża się leczenie immunosupresyjne, w tym podaje leki biologiczne. Wyznacznikiem skuteczności terapii jest możliwość zmniejszenia dawki kortykosteroidów poniżej progu związanego z klinicznie istotnymi działaniami niepożądanymi, z jednoczesnym utrzymaniem choroby w stadium nieaktywnym.

W proponowanym programie lekowym produkt Humira stosowany jest u dorosłych chorych na niezakaźne, przewlekłe, przetrwałe lub nawrotowe zapalenie błony naczyniowej oka (części pośredniej, odcinka tylnego lub całej błony naczyniowej), u których spełniony jest jeden z warunków:

- nie jest możliwe osiągnięcie nieaktywnego stadium choroby przy dawce  $\leq 10$  mg prednizonu (lub dawce równoważnej innego steroidu) lub terapii lekami immunosupresyjnym lub połączenia obu typów terapii po kursie leczenia trwającym 15 tygodni;
- konieczne jest zmniejszenie dawki kortykosteroidów lub odstawienie leczenia immunosupresyjnego, u chorych z nieaktywną postacią choroby, u których udokumentowano co najmniej 1 zaostrzenie choroby w czasie do 28 dni od rozpoczęcia zmniejszania dawki kortykosteroidu lub stabilizacji po odstawieniu obu typów leków trwającej krócej niż 3 miesiące;
- występuje przeciwwskazanie, bądź objawy nietolerancji terapii z zastosowaniem kortykosteroidów lub leków immunosupresyjnych.

W odnalezionych wytycznych klinicznych AUS 2014 (USA), Mesquida 2014 (USA) wskazano, że leki z grupy anty-TNF stosuje się w przypadku chorych, u których zapalenie błony naczyniowej jest oporne na leczenie z zastosowaniem tradycyjnych leków immunosupresyjnych. Leki biologiczne mogą być zastosowane również w przypadku braku odpowiedzi lub niewystarczającej odpowiedzi na kortykosteroidy, nawrotu choroby w czasie obniżenia dawki steroidów oraz niewystarczającej odpowiedzi na inne leki ograniczające stosowanie steroidów. W niektórych przypadkach zaleca się zastosowanie adalimumabu w I linii leczenia np. w chorobie Behçeta z obrzękiem plamki żółtej.

Dane na temat stosowania produktu leczniczego Humira w ZBN pochodzą z 2 rejestracyjnych, randomizowanych, podwójnie zaślepionych badań oceniających adalimumab vs najlepsza terapia wspomagająca (BSC) (badania VISUAL I- obejmującego chorych z aktywną postacią nieinfekcyjnego ZBN

*i VISUAL II – dotyczącego chorych z nieaktywną postacią choroby) oraz z 1 jednoramiennego badania otwartego, które jest fazą przedłużoną obu powyższych badań. Za najlepsze leczenie wspomagające przyjęto doustne stosowanie zmniejszanych dawek prednizonu oraz możliwość miejscowego stosowania zmniejszanych dawek steroidu i jednego leku immunosupresyjnego.*

*Część wyników badania VISUAL I i VISUAL II nie została opublikowana w formie pełnotekstowych publikacji, dlatego w analizie danych wzięto również pod uwagę dokumenty Europejskiej Agencji Leków z 2016 r.*

*Brak publikacji dotyczących bezpośredniego porównania adalimumabu z terapią korykosteroidem. Nie odnaleziono dowodów naukowych opisujących stosowanie adalimumabu u pacjentów leczonych wcześniej jedynie za pomocą leków immunosupresyjnych.*

*Należy zwrócić uwagę, że istnieją różnice pomiędzy populacjami pacjentów włączonych do badań i pacjentami spełniającymi kryteria leczenia w ramach programu lekowego.*

*Populacja, którą objęły badania nie uwzględnia np. jednego z kryteriów włączenia do programu lekowego czyli chorych z przeciwwskazaniami lub objawami nietolerancji terapii korykosteroidami lub lekami immunosupresyjnymi, możliwości stosowania innych leków przed włączeniem do badania/programu. Kryterium kwalifikacji do badania VISUAL I obejmowało utrzymywanie się aktywnej choroby pomimo trwającej  $\geq 2$  tygodnie leczenia doustnym prednizonem (1-60 mg/dobę) lub jego ekwiwalentem, natomiast w kryteriach kwalifikacji do programu lekowego zapisano niemożliwe do osiągnięcia stadium nieaktywne choroby przy dawce  $\leq 10$  mg prednizonu lub dawce równoważnej innego steroidu. Czas prowadzenia terapii wyniósł 80 tygodni w badaniu, 104 tygodnie w programie lekowym.*

*Pierwszorzędowym punktem końcowym badań VISUAL I i VISUAL II było niepowodzenie leczenia występujące odpowiednio w co najmniej szóstym tygodniu lub co najmniej drugim tygodniu leczenia.*

*U pacjentów oceniano m.in. niepowodzenie terapii związane z wystąpieniem nowych zmian zapalnych, zmianę najlepszej skorygowanej ostrości wzroku, zmianę stopnia nacieków komórkowych w komorze przedniej oka i zmianę stopnia przymglenia ciała szklistego.*

*Zarówno w badaniu VISUAL I jak i VISUAL II wykazano istotną statystycznie różnicę dla pierwszorzędowego punktu końcowego. Dla populacji zgodnej z zaplanowanym leczeniem w badaniu VISUAL I mediana czasu do wystąpienia niepowodzenia leczenia wynosiła 5,6 miesięcy w grupie stosującej adalimumab i BSC oraz 3 miesiące w grupie otrzymującej placebo i BSC. Dla populacji zgodnej z zaplanowanym leczeniem w badaniu VISUAL II mediana czasu do wystąpienia niepowodzenia leczenia wynosiła 8,3 miesiąca w grupie*

kontrolnej, a w grupie badanej nie osiągnięto mediany, gdyż u ponad 50% chorych stosujących adalimumab i BSC nie odnotowano niepowodzenia leczenia.

Przedstawione wyniki wybranych drugorzędowych punktów końcowych dotyczyły tylko tych punktów, które zostały zamieszczone w pełnotekstowych publikacjach.

W badaniu VISUAL I wykazano różnice znamienne statystycznie na korzyść ocenianej technologii lekowej między adalimumabem z BSC względem placebo z BSC pod względem wystąpienia: zmian stopnia nacieków komórkowych w komorze przedniej oka- wynik ogółem, zmian stopnia przymglenia ciała szklстого – wynik ogółem, zmian logarytmu najmniejszego kąta rozdzielczości BCVA – wynik ogółem oraz dla 3 z 4 parametrów ocenianych za pomocą kwestionariusza funkcji wzroku -VFQ- wynik ogółem, widoczności z bliskiej odległości i bólu gałki ocznej.

Nie odnotowano znamienne statystycznych różnic między porównywanymi technologiami dla drugorzędowych punktów końcowych w badaniu VISUAL II.

Dostępne dane odnoszące się do skuteczności w długiej perspektywie czasowej pochodzą z abstraktów konferencyjnych oraz z opracowań cząstkowych wyników trwającego jeszcze badania VISUAL III. przygotowanych przez Europejską Agencję Leków. Wskazują one na następujące zależności:

1. U pacjentów z nieaktywną postacią ZBN na początku badania:

- mediana czasu do wystąpienia niepowodzenia leczenia nie została osiągnięta;
- w czasie 174 tygodni obserwacji niepowodzenie terapii wystąpiło u 12,5% chorych;
- w czasie 54 tygodni nowe zmiany zapalne nie wystąpiły u 98,4% chorych;
- w ciągu 1 roku średnia dobowy dawka stosowanego kortykosteroidu podawanego doustnie pozostała na tym zbliżonym poziomie (dawka początkowa 1,48 mg, dawka końcowa 1,21 mg prednizonu).

2. u pacjentów z aktywną postacią ZBN na początku badania:

- mediana czasu do wystąpienia niepowodzenia terapii wynosiła 12,5 miesiąca;
- w czasie 222 tygodni obserwacji niepowodzenie leczenia wystąpiło u 54,3% pacjentów;
- w czasie 78 tygodni nowe zmiany zapalne nie wystąpiły u 96,3% chorych;
- w ciągu 1 roku średnia dobowy dawka kortykosteroidów podawanych doustnie obniżyła się z 12,7 mg do 3,68 mg ekwiwalentu prednizonu.

Z badania VISUAL I wynika, że częstość występowania ciężkich reakcji niepożądanych ogółem była istotnie statystycznie większa wśród chorych

stosujących adalimumab z BSC (13,4%), w porównaniu do grupy kontrolnej (4,2%).

W badaniu VISUAL II ciężkie reakcje niepożądane ogółem w grupie badanej wystąpiły u 6,1% i u 7,7% w grupie kontrolnej. Wykazano różnice znamienne statystycznie na niekorzyść adalimumabu pod względem zwiększenia względnego i bezwzględnego ryzyka wystąpienia bólu stawów, wzrostu stężenia aminotransferazy alaninowej i asparaginowej oraz ryzyka zakażenia górnych dróg oddechowych.

Zapalenie błony naczyniowej oka może prowadzić do znacznego pogorszenia ostrości wzroku, a nawet utraty wzroku. Objęcie refundacją adalimumabu zwiększyłoby dostęp do technologii stosowanej w najcięższych postaciach tej choroby.

Odnaleziono 1 pozytywną rekomendację refundacyjną (HAS 2017) dla adalimumabu u pacjentów z nieinfekcyjnym ZBN, u których nie stwierdzono wystarczającej odpowiedzi na kortykosteroidy, u których konieczne jest zmniejszenie dawki kortykosteroidów, lub u których stosowanie kortykosteroidów jest niewłaściwe. Lek jest refundowany w 7 lub 6 krajach UE i EFTA.

Stosowanie adalimumabu z BSC w porównaniu z BSC jest technologią skuteczniejszą ale droższą, nawet przy uwzględnieniu zaproponowanych narzędzi podziału ryzyka. Wartość ICUR znajduje się powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Wprowadzenie do refundacji wnioskowanej technologii będzie się wiązało się ze znacznymi dodatkowymi kosztami, dlatego zaproponowane narzędzia podziału ryzyka są niewystarczające.

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**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.4351.6.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Humira (adalimumab) w ramach programu lekowego »Leczenie zapalenia błony naczyniowej oka (ZBN) – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa (Icd-10 H20.0, H30.0)«”. Data ukończenia: 14 lipca 2017.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezysie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 79/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku

w sprawie oceny leku Humira (adalimumab) kod EAN:

8054083011912, w ramach programu lekowego „Leczenie zapalenia błony naczyniowej oka (ZBN) – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa (Icd-10 H20.0, H30.0)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Humira (adalimumab), roztwór do wstrzykiwań, 40 mg (2 wstrzykiwacze + 2 gaziki nasączone alkoholem), EAN 8054083011912, w ramach programu lekowego „Leczenie zapalenia błony naczyniowej oka (ZBN) – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa (Icd-10 H20.0, H30.0)”, w ramach istniejącej grupy limitowej 1050.1, blokery TNF, adalimumab i wydawanie go bezpłatnie.*

*Warto rozważyć wprowadzenie następujących zmian opisie programu lekowego: określenie łącznego czasu stosowania adalimumabu (w programie i jednorodnych grupach pacjentów), dopisanie konkretnych przyrządów i narzędzi do przeprowadzenia badań np. tablicy ETDRS czy tonometru Goldmana lub Pascala), złagodzenie kryteriów włączenia i wyłączenia z programu (np. by nie wykluczać z programu pacjentów z jaskrą wczesną lub średniozaawansowaną, zaćmą – przed włączeniem do programu należy przeprowadzić zabieg jej usunięcia, organicznym zmętnieniem rogówki, pacjentów z  $T \geq 25$  mmHg). Nierozstrzygnięta pozostaje kwestia trwania terapii w przypadku uzyskania utrzymującej się długo remisji. Należałoby to określić. Do zapisów programu, przy kwalifikacji, powinno się dodać badanie neurologiczne, test na kiłę i boreliozę, badanie morfologii krwi z rozmazem, badania pomocne w wykluczeniu chłoniaka oka, rezonansu magnetycznego ośrodkowego układu nerwowego, badań potwierdzających/ wykluczających ciężę, badań w kierunku wykrycia zapalenia nadtwardówki i twardówki, a przy monitorowaniu – badań kontrolnych w kierunku zakażeń, także po zakończeniu leczenia, oraz przy kwalifikacji i monitorowaniu- oceny jakości życia.*

*Zaproponowany instrument dzielenia ryzyka jest niewystarczający.*

### Uzasadnienie



Brak jest europejskich wytycznych leczenia ZBN. Postępowanie w ZBN na tle immunologicznym polega na stosowaniu leków przeciwzapalnych i immunosupresyjnych (antymetabolitów, inhibitorów kalcyneuryny, leków biologicznych – z grupy antagonistów receptora interleukin oraz antagonistów TNF- $\alpha$ , do których należy adalimumab). Standardem jest terapia glikokortykosteroidami (podawanymi miejscowo, okołogałkowo, doszkliskowo, ogólnie). Przy braku skuteczności lub nietolerancji leczenia steroidami wdraża się leczenie immunosupresyjne, w tym podaje leki biologiczne. Wyznacznikiem skuteczności terapii jest możliwość zmniejszenia dawki kortykosteroidów poniżej progu związanego z klinicznie istotnymi działaniami niepożądanymi, z jednoczesnym utrzymaniem choroby w stadium nieaktywnym.

W proponowanym programie lekowym produkt Humira stosowany jest u dorosłych chorych na niezakaźne, przewlekłe, przetrwałe lub nawrotowe zapalenie błony naczyniowej oka (części pośredniej, odcinka tylnego lub całej błony naczyniowej), u których spełniony jest jeden z warunków:

- nie jest możliwe osiągnięcie nieaktywnego stadium choroby przy dawce  $\leq 10$  mg prednizonu (lub dawce równoważnej innego steroidu) lub terapii lekami immunosupresyjnym lub połączenia obu typów terapii po kursie leczenia trwającym 15 tygodni;
- konieczne jest zmniejszenie dawki kortykosteroidów lub odstawienie leczenia immunosupresyjnego, u chorych z nieaktywną postacią choroby, u których udokumentowano co najmniej 1 zaostrzenie choroby w czasie do 28 dni od rozpoczęcia zmniejszania dawki kortykosteroidu lub stabilizacji po odstawieniu obu typów leków trwającej krócej niż 3 miesiące;
- występuje przeciwwskazanie, bądź objawy nietolerancji terapii z zastosowaniem kortykosteroidów lub leków immunosupresyjnych.

W odnalezionych wytycznych klinicznych AUS 2014 (USA), Mesquida 2014 (USA) wskazano, że leki z grupy anty-TNF stosuje się w przypadku chorych, u których zapalenie błony naczyniowej jest oporne na leczenie z zastosowaniem tradycyjnych leków immunosupresyjnych. Leki biologiczne mogą być zastosowane również w przypadku braku odpowiedzi lub niewystarczającej odpowiedzi na kortykosteroidy, nawrotu choroby w czasie obniżenia dawki steroidów oraz niewystarczającej odpowiedzi na inne leki ograniczające stosowanie steroidów. W niektórych przypadkach zaleca się zastosowanie adalimumabu w I linii leczenia np. w chorobie Behçeta z obrzękiem płamki żółtej.

Dane na temat stosowania produktu leczniczego Humira w ZBN pochodzą z 2 rejestracyjnych, randomizowanych, podwójnie zaślepionych badań oceniających adalimumab vs najlepsza terapia wspomagająca (BSC) (badania VISUAL I- obejmującego chorych z aktywną postacią nieinfekcyjnego ZBN

i VISUAL II – dotyczącego chorych z nieaktywną postacią choroby) oraz z 1 jednoramiennego badania otwartego, które jest fazą przedłużoną obu powyższych badań. Za najlepsze leczenie wspomagające przyjęto doustne stosowanie zmniejszanych dawek prednizonu oraz możliwość miejscowego stosowania zmniejszanych dawek steroidu i jednego leku immunosupresyjnego.

Część wyników badania VISUAL I i VISUAL II nie została opublikowana w formie pełnotekstowych publikacji, dlatego w analizie danych wzięto również pod uwagę dokumenty Europejskiej Agencji Leków z 2016 r.

Brak publikacji dotyczących bezpośredniego porównania adalimumabu z terapią kortykosteroidem. Nie odnaleziono dowodów naukowych opisujących stosowanie adalimumabu u pacjentów leczonych wcześniej jedynie za pomocą leków immunosupresyjnych.

Należy zwrócić uwagę, że istnieją różnice pomiędzy populacjami pacjentów włączonych do badań i pacjentami spełniającymi kryteria leczenia w ramach programu lekowego.

Populacja, którą objęły badania nie uwzględnia np. jednego z kryteriów włączenia do programu lekowego czyli chorych z przeciwwskazaniami lub objawami nietolerancji terapii kortykosteroidami lub lekami immunosupresyjnymi, możliwości stosowania innych leków przed włączeniem do badania/programu. Kryterium kwalifikacji do badania VISUAL I obejmowało utrzymywanie się aktywnej choroby pomimo trwającej  $\geq 2$  tygodnie leczenia doustnym prednizonem (1-60 mg/dobę) lub jego ekwiwalentem, natomiast w kryteriach kwalifikacji do programu lekowego zapisano niemożliwe do osiągnięcia stadium nieaktywnej choroby przy dawce  $\leq 10$  mg prednizonu lub dawce równoważnej innego steroidu. Czas prowadzenia terapii wyniósł 80 tygodni w badaniu, 104 tygodnie w programie lekowym.

Pierwszorzędowym punktem końcowym badań VISUAL I i VISUAL II było niepowodzenie leczenia występujące odpowiednio w co najmniej szóstym tygodniu lub co najmniej drugim tygodniu leczenia.

U pacjentów oceniano m.in. niepowodzenie terapii związane z wystąpieniem nowych zmian zapalnych, zmianę najlepszej skorygowanej ostrości wzroku, zmianę stopnia nacieków komórkowych w komorze przedniej oka i zmianę stopnia przymglenia ciała szklistego.

Zarówno w badaniu VISUAL I jak i VISUAL II wykazano istotną statystycznie różnicę dla pierwszorzędowego punktu końcowego. Dla populacji zgodnej z zaplanowanym leczeniem w badaniu VISUAL I mediana czasu do wystąpienia niepowodzenia leczenia wynosiła 5,6 miesięcy w grupie stosującej adalimumab i BSC oraz 3 miesiące w grupie otrzymującej placebo i BSC. Dla populacji zgodnej z zaplanowanym leczeniem w badaniu VISUAL II mediana czasu do wystąpienia niepowodzenia leczenia wynosiła 8,3 miesiąca w grupie

kontrolnej, a w grupie badanej nie osiągnięto mediany, gdyż u ponad 50% chorych stosujących adalimumab i BSC nie odnotowano niepowodzenia leczenia.

Przedstawione wyniki wybranych drugorzędowych punktów końcowych dotyczyły tylko tych punktów, które zostały zamieszczone w pełnotekstowych publikacjach.

W badaniu VISUAL I wykazano różnice znamienne statystycznie na korzyść ocenianej technologii lekowej między adalimumabem z BSC względem placebo z BSC pod względem wystąpienia: zmian stopnia nacieków komórkowych w komorze przedniej oka- wynik ogółem, zmian stopnia przymglenia ciała szklстого – wynik ogółem, zmian logarytmu najmniejszego kąta rozdzielczości BCVA – wynik ogółem oraz dla 3 z 4 parametrów ocenianych za pomocą kwestionariusza funkcji wzroku -VFQ- wynik ogółem, widoczności z bliskiej odległości i bólu gałki ocznej.

Nie odnotowano znamienne statystycznych różnic między porównywanymi technologiami dla drugorzędowych punktów końcowych w badaniu VISUAL II.

Dostępne dane odnoszące się do skuteczności w długiej perspektywie czasowej pochodzą z abstraktów konferencyjnych oraz z opracowań cząstkowych wyników trwającego jeszcze badania VISUAL III. przygotowanych przez Europejską Agencję Leków. Wskazują one na następujące zależności:

1. U pacjentów z nieaktywną postacią ZBN na początku badania:

- mediana czasu do wystąpienia niepowodzenia leczenia nie została osiągnięta;
- w czasie 174 tygodni obserwacji niepowodzenie terapii wystąpiło u 12,5% chorych;
- w czasie 54 tygodni nowe zmiany zapalne nie wystąpiły u 98,4% chorych;
- w ciągu 1 roku średnia dobowa dawka stosowanego kortykosteroidu podawanego doustnie pozostała na tym zbliżonym poziomie (dawka początkowa 1,48 mg, dawka końcowa 1,21 mg prednizonu).

2. u pacjentów z aktywną postacią ZBN na początku badania:

- mediana czasu do wystąpienia niepowodzenia terapii wynosiła 12,5 miesiąca;
- w czasie 222 tygodni obserwacji niepowodzenie leczenia wystąpiło u 54,3% pacjentów;
- w czasie 78 tygodni nowe zmiany zapalne nie wystąpiły u 96,3% chorych;
- w ciągu 1 roku średnia dobowo dawka kortykosteroidów podawanych doustnie obniżyła się z 12,7 mg do 3,68 mg ekwiwalentu prednizonu.

Z badania VISUAL I wynika, że częstość występowania ciężkich reakcji niepożądanych ogółem była istotnie statystycznie większa wśród chorych

stosujących adalimumab z BSC (13,4%), w porównaniu do grupy kontrolnej (4,2%).

W badaniu VISUAL II ciężkie reakcje niepożądane ogółem w grupie badanej wystąpiły u 6,1% i u 7,7% w grupie kontrolnej. Wykazano różnice znamienne statystycznie na niekorzyść adalimumabu pod względem zwiększenia względnego i bezwzględnego ryzyka wystąpienia bólu stawów, wzrostu stężenia aminotransferazy alaninowej i asparaginowej oraz ryzyka zakażenia górnych dróg oddechowych.

Zapalenie błony naczyniowej oka może prowadzić do znacznego pogorszenia ostrości wzroku, a nawet utraty wzroku. Objęcie refundacją adalimumabu zwiększyłoby dostęp do technologii stosowanej w najcięższych postaciach tej choroby.

Odnaleziono 1 pozytywną rekomendację refundacyjną (HAS 2017) dla adalimumabu u pacjentów z nieinfekcyjnym ZBN, u których nie stwierdzono wystarczającej odpowiedzi na kortykosteroidy, u których konieczne jest zmniejszenie dawki kortykosteroidów, lub u których stosowanie kortykosteroidów jest niewłaściwe. Lek jest refundowany w 7 lub 6 krajach UE i EFTA.

Stosowanie adalimumabu z BSC w porównaniu z BSC jest technologią skuteczniejszą ale droższą, nawet przy uwzględnieniu zaproponowanych narzędzi podziału ryzyka. Wartość ICUR znajduje się powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Wprowadzenie do refundacji wnioskowanej technologii będzie się wiązało się ze znacznymi dodatkowymi kosztami, dlatego zaproponowane narzędzia podziału ryzyka są niewystarczające.

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**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.4351.6.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Humira (adalimumab) w ramach programu lekowego »Leczenie zapalenia błony naczyniowej oka (ZBN) – część pośrednia, odcinek tylny lub cała błona naczyniowa (Icd-10 H20.0, H30.0)«”. Data ukończenia: 14 lipca 2017.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 206/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku

o projekcie programu „Program wykrywania zakażeń WZW B i C wraz ze szczepieniem przeciwko wirusowemu zapaleniu wątroby typ B na lata 2018-2020” (woj. wielkopolskie)

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program wykrywania zakażeń WZW B i C wraz ze szczepieniem przeciwko wirusowemu zapaleniu wątroby typ B na lata 2018-2020” (woj. wielkopolskie), pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.*

#### Uzasadnienie

*Przedmiotem opinii jest projekt programu polityki zdrowotnej województwa wielkopolskiego z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania wirusowego zapalenia wątroby typu B i C. Populację docelową stanowią aktywne zawodowo osoby z grup ryzyka z aglomeracji kalisko-ostrowskiej, w przypadku szczepień przeciwko wzw B – osoby, które urodziły się przed rokiem 1996 i nie zostały wcześniej zaszczepione lub które w ciągu ostatnich 2 lat nie przebyły WZW typu B i nie kwalifikują się do szczepień refundowanych przez NFZ (łącznie ok. 11 tys. osób), a w odniesieniu do edukacji – personel medyczny (30 lekarzy POZ, 60 pielęgniarek i położnych) oraz niemedyczny, np. fryzjerki, kosmetyczki, tatuażyści (50 osób). Czas realizacji programu założono na lata 2018 - 2020. Wśród zaplanowanych interwencji przewidziano przeprowadzenie badań przesiewowych w kierunku zakażenia HBV i HVC (anty HBc i anty HCV), szczepień p. wzw B oraz realizację działań edukacyjnych.*

*Oceniany projekt programu dotyczy istotnego problemu zdrowotnego i obejmuje priorytety zdrowotne wymienione w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. (Dz.U. 2009, Nr 137, poz. 1126). Głównym założeniem programu jest „ograniczenie zachorowalności na WZW, zwiększenie świadomości zdrowotnej w zakresie wirusowego zapalenia wątroby typu B i C, a także zwiększenia stopnia wykrywalności zakażeń na wczesnym etapie ich występowania”. Cel główny wydaje się być prawidłowo określony, jednakże biorąc pod uwagę horyzont czasowy programu nie wydaje się możliwe osiągnięcie długofalowych efektów programu, takich jak „zmniejszenie zapadalności na marskość wątroby”, „zmniejszenie zapadalności na raka*



wątroby”, „zmniejszenie śmiertelności z powodu raka wątroby” oraz „ograniczenie szerzenia się WZW” dlatego też należy go odpowiednio zmodyfikować. Cele szczegółowe przedstawione przez wnioskodawcę wymagają poprawy ponieważ powinny odnosić się do skutków zastosowania danych interwencji w określonej populacji.

W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie badań diagnostycznych w kierunku zakażeń HBV i HCV wśród osób z grup zwiększonego ryzyka, co jest zgodne z rekomendacjami wytycznymi zarówno w zakresie profilaktyki zakażeń HCV (m.in. AASLD/IDSA 2017, WHO 2016, CDC 2015, NHS 2015, AAFP 2014, USPSTF 2013, SIGN 2013, NICE 2013, SASLT 2012), jak i zakażeń HBV (m.in. USPSTF 2014, CDC 2008).

Osoby z grup docelowych będą wyłaniane spośród mieszkańców AKO na podstawie wywiadu przeprowadzanego przez pielęgniarkę POZ oraz poprzez wspólne wypełnienie ankiety kwalifikującej z pacjentem. Pytania zawarte w ankiecie zbieżne są m.in. z zaleceniami Polskiej Grupy Ekspertów HCV w zakresie grup ryzyka zakażenia HCV. Należy zauważyć, że niektóre z pytań mogą być kłopotliwe dla pacjenta i uzyskanie na nie rzetelnej odpowiedzi wydaje się być mało prawdopodobne (przyjmowanie narkotyków oraz ryzykowne kontakty seksualne, przebywanie w zakładzie karnym), zwłaszcza, że ankieta nie jest anonimowa (wymagany jest nr PESEL oraz podpis uczestnika). Zgodnie z treścią projektu, wyniki ankiety interpretowane mają być przez lekarza POZ.

W przypadku uzyskania dodatniego wyniku badania anty-HCV, należy potwierdzić wynik w innym badaniu. Rekomendowaną metodą potwierdzania zakażenia HCV jest oznaczanie HCV RNA metodą PCR (AASLD/IDSA 2017, EASL 2016, IOZ 2014, PGR 2012/2013, SIGN 2006, CDC 2003). Wnioskodawca w treści projektu wskazuje, że w przypadku „wykrycia wirusa HCV” uczestnicy programu poddani zostaną „ponownemu badaniu przesiewowemu” (również w ramach programu) oraz skierowani zostaną na dalsze leczenie w ramach NFZ do lekarza specjalisty chorób zakaźnych a w przypadku uzyskania pozytywnego wyniku anty-HBs przekazywana będzie informacja do lekarza POZ celem wykonania badania HBsAg oraz skierowania pacjenta do poradni chorób zakaźnych na dalsze leczenie. Niejasne jest czy badanie HbsAg oraz konsultacja specjalistyczna finansowane mają być w ramach programu. W przypadku dodatniego wyniku anty HCV pacjenci mają być kierowani na dalszą diagnostykę w ramach NFZ. W przypadku ujemnego wyniku anty HCV, uczestnicy poddani mają zostać szczepieniu przeciw wzv B w 3-dawkowym schemacie szczepień.

Wnioskodawca zaplanował przeprowadzenie „kampanii edukacyjno-informacyjnej” poprzez różnego rodzaju środki przekazu. Należy zaznaczyć, że zarówno w opiniach ekspertów klinicznych, jak i w rekomendacjach z zakresu

profilaktyki zakażeń HCV i HBV podkreśla się szczególną rolę właściwie przygotowanych i szeroko zakrojonych działań edukacyjnych (IOZ 2014, NICE 2013). Informacje nt. możliwości wzięcia udziału w programie mają być zamieszczane na stronie internetowej programu oraz na stronach internetowych jst z terenu AKO. Ponadto, kampania przebiegać ma również poprzez inne środki masowego przekazu. Zaplanowano również informowanie o programie poprzez podmioty lecznicze, apteki, zakłady pracy (nie uściślono jakiego rodzaju), urzędy, domy kultury, parafie, komunikację miejską i inne.

W ramach programu realizowane mają być również szkolenia personelu medycznego, a także dla osób wykonujących zawody zwiększonego ryzyka transmisji zakażeń krwiopochodnych (m.in. dla fryzjerów, kosmetyczek i tatuażystów). Szkolenia personelu medycznego stanowią ważny element programów polityki zdrowotnej i zgodnie z wytycznymi powinni być nimi objęci wszyscy pracownicy służby zdrowia. Szkolenia te powinny być oparte o najnowsze dowody naukowe i osiągnięcia medycyny. Tematyka działań edukacyjnych założona przez wnioskodawcę jest zbieżna z powyższymi zaleceniami.

Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji. Wnioskodawca wskazuje, że będzie ona dokonywana przez realizatora po zakończeniu każdego kwartału realizacji programu, wraz z opisem powodów, dla których osoby wypełniające ankietę kwalifikacyjną nie zostały zakwalifikowane do badań przesiewowych. Wskaźniki dotyczące efektywności programu zostały przygotowane w sposób nieprawidłowy. Ocena efektywności powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu a stanem po jego zakończeniu. Zaplanowano przeprowadzenie postępowania konkursowego w celu wyłonienia realizatora, odniesiono się również (pobieżnie) do wymagań względem realizatora, a także do wymagań względem pomieszczeń jakimi będzie musiał dysponować realizator.

W projekcie przedstawiono koszty jednostkowe i całkowite. Koszt całkowity programu oszacowano na 2 472 000 zł. Koszt jednostkowy w kwocie 224,73 zł oszacowano natomiast poprzez podzielenie kosztu całkowitego przez liczbę uczestników programu (11 000 osób), co nie jest działaniem właściwym, gdyż nie wszyscy uczestnicy będą brali udział we wszystkich interwencjach przewidzianych do realizacji.

Wnioskodawca przedstawił koszty w rozbiciu na poszczególne etapy oraz interwencje. Badania na obecność przeciwciał anty HCV wyceniono na kwotę 40 zł, anty HBc również na 40 zł oraz szczepienie przeciwko WZW B (3 dawki) na 250 zł. Wnioskodawca założył 85% współfinansowanie programu ze środków UE, 5% wkład własny beneficjenta oraz 10% dofinansowanie z Budżetu Państwa.



*Uwagi Rady:*

- *cel główny w ogólnym zarysie wydaje się być prawidłowo określony, jednakże biorąc pod uwagę horyzont czasowy programu nie wydaje się możliwe osiągnięcie długofalowych efektów programu, takich jak np. „zmniejszenie zapadalności na marskość wątroby” dlatego też należy go odpowiednio zmodyfikować;*
- *cele szczegółowe przedstawione przez wnioskodawcę wymagają poprawy. Powielono w nich główne założenia programu natomiast cele szczegółowe powinny odnosić się do skutków zastosowania danych interwencji w określonej populacji;*
- *przedstawione mierniki efektywności są zbyt ogólne i wymagają uzupełnienia, gdyż nie odnoszą się bezpośrednio do wszystkich celów programu. W przypadku oceny zmiany stopnia poziomu wiedzy, czy też świadomości, zasadne jest np. przygotowanie ankiety dot. wiedzy na dany temat i przeprowadzenie jej wśród uczestników dwukrotnie – przed i po realizacji działań edukacyjnych;*
- *w treści projektu podano, że z udziału w programie wyłączone zostaną osoby, które są już zaszczepione przeciwko WZW B. Uściślenia wymaga, czy osoby te wykluczone zostaną również z możliwości poddania się diagnostyce w kierunku HCV w ramach programu;*
- *wnioskodawca podaje, że realizacja programu rozpocząć się ma w roku 2018, a więc osoby z rocznika 1996 będą w tym roku kończyły 22 lata, w związku z czym zasadne jest podniesienie dolnej granicy wieku grupy docelowej podlegającej szczepieniom do 23 r.ż. w r. 2018 i kolejno 24 i 25 w kolejnych latach trwania programu;*
- *kampania informacyjno-edukacyjna skierowana do wszystkich mieszkańców AKO, polegać ma przede wszystkim na emisji spotu edukacyjno-promocyjnego. Wnioskodawca zaplanował w tym celu zakup 80 monitorów dla wszystkich jst i POZ z terenu AKO. Biorąc pod uwagę grupę docelową programu zakup monitorów i rozmieszczenie ich w placówkach opieki zdrowotnej na terenie trzech powiatów wraz z opracowaniem spotu reklamowego nie wydaje się zasadne. Należy zrezygnować z tej pozycji a oszczędzone środki przeznaczyć na inne formy kampanii informacyjno-edukacyjnej;*
- *wskazane jest uzupełnienie kampanii edukacyjnej o informacje związane z ryzykiem zakażenia HCV i HBV wynikającym z ryzykownych zachowań seksualnych;*
- *uszczegółowienia wymagają kompetencje osób, które będą przeprowadzać szkolenia dla pracowników służby zdrowia;*

- *szczegółowe warunki realizacji świadczeń powinny być określone już na etapie projektu;*
- *projekt należy uzupełnić o odpowiednie wzór ankiety dotyczącej „jakości realizacji programu” oraz wyjaśnić szczegóły i zasady wizytacji realizatorów programu;*
- *należy zmodyfikować wyliczenia kosztów jednostkowych ponieważ nie wszyscy uczestnicy będą brali udział we wszystkich interwencjach przewidzianych do realizacji.*

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**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.441.141.2017 „Program wykrywania zakażeń WZW B i WZW C wraz ze szczepieniem przeciwko wirusowemu zapaleniu wątroby typ B na lata 2018-2020” realizowany przez: Województwo Wielkopolskie, Warszawa, lipiec 2017 oraz Aneksów „Profilaktyka i wykrywanie zakażeń wirusem zapalenia wątroby typu B – wspólne podstawy oceny” z maja 2013 oraz „Programy profilaktyki zakażeń HCV – wspólne zasady oceny” z lipca 2014.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 207/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku

o projekcie programu „Profilaktyka nowotworów skóry w Aglomeracji Kalisko-Ostrowskiej na lata 2018-2020” (woj. wielkopolskie)

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Profilaktyka nowotworów skóry w Aglomeracji Kalisko-Ostrowskiej na lata 2018-2020” (woj. wielkopolskie).*

#### Uzasadnienie

*Program odnosi się do jednego z priorytetów zdrowotnych, którego celem jest zapobieganie i wczesne wykrywanie zmian nowotworowych. Potrzeba działań w tym zakresie uzasadniona jest danymi epidemiologicznymi wskazującymi na wzrost liczby zachorowań na nowotwory skóry w ostatnich latach, zarówno na terenie kraju, jak i województwa wielkopolskiego.*

*Poszczególne elementy programu budzą jednak szereg wątpliwości w zakresie komplementarności z innymi elementami systemu ochrony zdrowia, określenia populacji docelowej, skuteczności i kosztów.*

*Cele szczegółowe programu winny w sposób liczbowy opisywać działania planowane do realizacji i odnosić się do horyzontu czasowego, w którym będą zrealizowane. Wskaźniki efektywności programu są niewystarczające i winny być uzupełnione m. in. o liczbę badań przy użyciu wideodermatoskopu, liczbę osób skierowanych na dalsze leczenie specjalistyczne oraz wskaźniki czułości i swoistości testów, takie jak liczba wyników fałszywie dodatnich i fałszywie ujemnych.*

*Uzasadnienia wymaga również przedział wiekowy populacji docelowej, ponieważ odbiega od znanych trendów epidemiologicznych. Wnioskodawcy przewidują objęcie badaniem osób w wieku 45-49 lat, podczas, gdy grupą szczególnie narażoną na rozwój chorób nowotworowych skóry są osoby powyżej 50 r.ż., a największej dynamiki w zakresie wzrostu zachorowań należy się spodziewać w populacji powyżej 65 r.ż.*

*Planowany odsetek osób objętych badaniem wideodermatoskopowym (ponad 60%) i kryteria kwalifikacji do badania nie zostały uzasadnione. W programie przewiduje się, że osoby te nie muszą być kierowane do programu przez lekarza POZ (co jest zalecane w rekomendacjach), nie muszą być w grupie ryzyka*



*potwierdzonej przez specjalistę, a ankietę dotyczącą czynników ryzyka choroby wypełnią dopiero w momencie konsultacji dermatologicznej oferowanej przez autorów programu. Wiąże się z tym ryzyko nadrozpoznawalności i zmniejszenia efektywności działań poprzez ukierunkowanie ich do zbyt szerokiej populacji.*

*Wyjaśnienia wymaga również zasadność zakupu sprzętu do wideodermatoskopii i związany z tym koszt. Skuteczność kliniczna i bezpieczeństwo wideodermatoskopu nie budzą wątpliwości, jednak brak danych o liczbie i dostępności tego typu sprzętu na terenie objętym programem nie pozwala na ocenę zasadności planowanego zakupu. Należy również zwrócić uwagę, że rynkowe ceny wideodermatoskopów są kilkukrotnie niższe od ceny przewidywanej przez wnioskodawcę, co może budzić wątpliwości z perspektywy zasady odpowiedzialnego wydatkowania finansów publicznych.*

*Autorzy programu nie zamieścili wzoru materiałów informacyjnych, ani ankiety badania, dlatego ich ocena nie jest możliwa.*

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**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.441.142.2017 „Profilaktyka nowotworów skóry w Aglomeracji Kalisko-Ostrowskiej na lata 2018-2020” realizowany przez: Województwo wielkopolskie, Warszawa, lipiec 2017 oraz Aneksu „Profilaktyka nowotworów skóry – wspólne podstawy oceny” z lipca 2017.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 208/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku

o projekcie programu „Program badań przesiewowych słuchu oraz mowy dla uczniów pierwszych klas szkół podstawowych z terenu województwa łódzkiego na lata 2018 - 2020”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program badań przesiewowych słuchu oraz mowy dla uczniów pierwszych klas szkół podstawowych z terenu województwa łódzkiego na lata 2018 - 2020”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.*

#### Uzasadnienie

*Wnioskowany projekt programu polityki zdrowotnej zakłada przebadanie ok. 25 tys. dzieci, uczniów klas pierwszych szkół podstawowych zlokalizowanych na terenie województwa w szczególności z rodzin zagrożonych ubóstwem i wykluczeniem społecznym oraz objęcie terapią logopedyczną dzieci z rozpoznanymi zaburzeniami mowy. Opiniowany projekt programu będzie współfinansowany przez Unię Europejską w ramach Europejskiego Funduszu Społecznego w perspektywie finansowej 2014-2020. Przy realizacji programów polityki zdrowotnej współfinansowanych ze środków UE (w ramach Europejskiego Funduszu Społecznego) należy przede wszystkim mieć na uwadze odpowiednie zapisy dokumentów strategicznych w tym zakresie, tj. „Policy paper dla ochrony zdrowia na lata 2014-2020. Krajowe ramy strategiczne 1” oraz „Wytyczne w zakresie realizacji przedsięwzięć z udziałem środków Europejskiego Funduszu Społecznego w obszarze zdrowia na lata 2014-2020”. Zgodnie z zapisami Policy paper, w celu uniknięcia sytuacji kreowania wielu programów zdrowotnych o charakterze lokalnym (np. na poziomie gminy i/lub powiatu), wspierane będą Regionalne Programy Zdrowotne (RPZ), obejmujące swoim zasięgiem teren większy niż jednego powiatu, a których jednym z elementów wdrożeniowych będą konkursy i w których udział będą mogli brać aktorzy polityki zdrowotnej (w tym np. jednostki samorządu terytorialnego, podmioty wykonujące działalność leczniczą, organizacje pozarządowe, których statutowa działalność związana jest z promocją zdrowia). RPZ będą realizowane w odpowiedzi na zdiagnozowane w regionie problemy zdrowotne. Autorzy wnioskowanego programu przedstawili światowe, polskie oraz wojewódzkie dane epidemiologiczne dotyczące występowania wad słuchu wśród dzieci.*



Wnioskodawca odniósł się także do Map Potrzeb Zdrowotnych w zakresie chorób nosa, zatok, ucha, gardła i krtani dla woj. łódzkiego, opisując sytuację dot. hospitalizacji z powodu zaburzeń głosu, mowy i języka, chorób narządu słuchu i równowagi, a także liczby wydanych orzeczeń o niepełnosprawności dzieci poniżej 16 r.ż. z zaburzeniami głosu, mowy i chorób słuchu. Wnioskodawca odwołuje się także do badań Instytutu Fizjologii i Patologii Słuchu, z których wynika, że w 2010 r. odsetek dzieci klas I z nieprawidłowymi wynikami badań przesiewowych słuchu w woj. łódzkim był najwyższy i wyniósł 21,6%; w 2015 r. odsetek ten wyniósł już 11,4%. Proponowane interwencje będą obejmowały:

1. Szkolenie dla pielęgniarek szkolnych/higienistek szkolnych ze szkół uczestniczących w programie;

Część teoretyczna będzie obejmowała przede wszystkim następującą tematykę (ok. 2 godziny):

- zaburzenia słuchu i mowy u dzieci w wieku szkolnym;
- diagnostyka zaburzeń słuchu i mowy;
- metody leczenia i rehabilitacji zaburzeń słuchu i mowy u dzieci w wieku szkolnym;
- profilaktyka zaburzeń słuchu i mowy u dzieci w wieku szkolnym;
- badania przesiewowe słuchu i mowy u dzieci w wieku szkolnym, zasady działania audiometru i zasady wykonywania badań audiometrem tonalnym;
- pokazowe badanie audiometrem tonalnym;
- przekazanie uczestnikom materiałów informacyjno-szkoleniowych z niniejszej tematyki.

Część praktyczna będzie obejmowała ćwiczenia w wykonywaniu audiometrii tonalnej. Czas trwania jednego cyklu to ok. 2-2,5 godziny. Przed i po szkoleniu zostanie przeprowadzona ocena stanu wiedzy pielęgniarek/ higienistek szkolnych, w formie ankiety opracowanej przez Beneficjenta.

2. Spotkania edukacyjno-informacyjne, na terenie szkół, skierowane do rodziców/ opiekunów prawnych dzieci uczęszczających do pierwszych klas szkół podstawowych i do wychowawców tych klas.
3. Zajęcia edukacyjne (w formie zabawy edukacyjnej) dla uczniów klas pierwszych szkół podstawowych.
4. Badania przesiewowe.
  - badanie przesiewowe słuchu, obejmujące:
    - konsultację lekarską w ramach której, będzie m.in. przeprowadzanie przez lekarza wywiadu z rodzicami/opiekunami prawnymi dzieci objętych programem, jak również wykonanie badania przedmiotowego dziecka (otoskopowanie uszu, wykonanie badania akumetrycznego). Na podstawie

wywiadu i badań lekarz oceni między innymi możliwość udziału dziecka w badaniu audiometrycznym (w przypadku przeciwwskazań zdrowotnych związanych np. z infekcją, lekarz powinien zaproponować inny termin badania), uwzględniając kryteria wyłączenia z badań przesiewowych określonych w programie;

- badanie audiometrii tonalnej. Badanie powinno być wykonane dla obydwu uszu, dla tonów o częstotliwości 1000, 2000 i 4000 HZ przy 20 dB. Urządzenie wykorzystywane do pomiarów to audiometr oraz słuchawki;
  - celem uniknięcia kierowania do pogłębionej diagnostyki osób z wynikami fałszywie dodatni należy przeprowadzić powtórne badanie przesiewowe u dzieci, które miały niezadowolający wynik podczas początkowego badania na poziomie 20 dB. Prawidłowe progi słyszenia mieszczą się w zakresie 0-20 dB niezależnie od typu przewodnictwa. Na podstawie wyników audiometrii tonalnej można wyróżnić trzy typy niedosłuchu: niedosłuch przewodzeniowy, niedosłuch odbiorczy, niedosłuch typu mieszanego;
  - ocenę wyników badań przez lekarza;
  - przekazanie rodzicom/opiekunom prawnym wyników badań oraz zaleceń, co do dalszego postępowania (w formie pisemnej). W przypadku nieprawidłowych wyników - rodzicom zostanie przekazana informacja pisemna dla lekarza POZ, jak również uzyskają oni pisemną informację na temat podmiotów wykonujących działalność leczniczą, do których można się zgłosić i uzyskać fachową pomoc medyczną w ramach NFZ (zgodnie z załącznikiem nr D i E do programu);
  - edukację zdrowotną.
    - przesiewowe badanie logopedyczne przeprowadzone przez logopedę. Badanie ma na celu identyfikację dzieci z objawami zaburzeń mowy. Badanie obejmuje ocenę rozwoju dziecka, jego komunikacji językowej, jak również zastosowanie testu do prowadzenia przesiewowych badań mowy (w badaniu nie muszą uczestniczyć rodzice/opiekunowie);
    - przekazanie przez Beneficjenta informacji dla rodziców na temat wyników badania logopedycznego (w formie pisemnej, zgodnie z załącznikiem F do programu). Informacja powinna zawierać: w przypadku prawidłowych wyników badań - edukację zdrowotną w zakresie profilaktyki zaburzeń mowy (na tym etapie udział dziecka w programie jest zakończony), zaś w przypadku negatywnych wyników badań rodzic/opiekun otrzyma zalecenia, co do dalszego postępowania, jak również skierowanie na terapię logopedyczną w ramach działań rehabilitacyjnych prowadzonych w ramach programu.
5. Zorganizowanie na terenie szkoły terapii logopedycznej dla dzieci ze zidentyfikowanymi objawami zaburzeń mowy.

- całościowa konsultacja logopedyczna z udziałem rodzica/opiekuna prawnego dziecka (uwzględniająca wynik badania laryngologicznego). W ramach konsultacji zostanie przeprowadzony wywiad z rodzicem/opiekunem dziecka, logopeda pokaże również rodzicom/opiekunom, m.in. jak prawidłowo pracować z dzieckiem nad rozwojem jego mowy i ustalenie planu postępowania rehabilitacyjnego;
- realizacja ustalonego indywidualnego programu postępowania rehabilitacyjnego. Indywidualne zajęcia logopedyczne z dzieckiem, obejmujące cykl 12 spotkań (przynajmniej jeden raz w tygodniu, każde trwające 30 minut). W trakcie rehabilitacji przewiduje się jedną konsultację z psychologiem. Uzyskane z badań psychologicznych informacje mogą wnieść istotne elementy do programu postępowania logopedycznego. Dopuszcza się możliwość, w zależności od potrzeb zdrowotnych, aby u niektórych uczestników liczba zajęć logopedycznych mogła być większa, a u innych mniejsza (decyzję podejmuje logopeda).
- po zakończonym cyklu rehabilitacyjnym, rodzicom/opiekunom dziecka zostanie przekazana informacja (w formie pisemnej, zgodnie z załącznikiem G) na temat dalszego postępowania (w przypadku konieczności dalszego usprawniania logopedycznego, logopeda wskaże jak należy samodzielnie pracować z dzieckiem, zostanie także przekazana informacja w formie pisemnej dla lekarza POZ - zgodnie z załącznikiem H do programu).
- Edukacja zdrowotna przeprowadzona przez logopedę.

Rada Przejrzystości zgłasza następujące uwagi do zaproponowanego we wniosku opisu programu:

1. Przeformułowanie celu głównego zgodnie z zasadą S.M.A.R.T. - cel główny sformułowany został w sposób ogólny i jest wskazaniem działań, a nie oczekiwanym stanem po przeprowadzeniu programu. Należy wskazać, że cel nie spełnia kryteriów S.M.A.R.T., wg których powinien on być szczegółowy, mierzalny, osiągalny, istotny i terminowy. Prawidłowym celem głównym mogłoby być np. „zwiększenie wczesnej wykrywalności zaburzeń słuchu u uczniów klas I szkół podstawowych”, ze wskazaniem konkretnych oczekiwanych wartości oraz czasu w jakim program będzie realizowany;
2. Przeformułowanie jednego z celów szczegółowych zgodnie z zasadą S.M.A.R.T. - jeden z celów szczegółowych tj. „edukacja 100% dzieci uczestniczących w Programie poprzez zabawę słowem, ćwiczenia buzi i języka, przybliżenie kultury żywego słowa, estetyki i poprawności wypowiedzi, w latach 2018-2020” nie został sformułowany w pełni zgodnie z zasadą S.M.A.R.T. – jest zbyt ogólny i stanowi działanie, a nie oczekiwany stan po przeprowadzeniu programu. Cel „zapobieganie dalszemu rozwojowi zaburzeń słuchu i mowy u dzieci, z nieprawidłowymi wynikami badań



*przesiewowych, poprzez koordynowanie dalszej opieki diagnostycznej, leczniczej i terapeutycznej u dzieci z zaburzeniami słuchu i mowy, w tym również wdrożenie terapii logopedycznej dla dzieci z zaburzeniami mowy” może być trudny do zmierzenia oraz do osiągnięcia w konkretnym przedziale czasowym. Wnioskodawca powinien go przeformułować tak, aby spełniał kryterium mierzalności oraz terminowości;*

- 3. W odniesieniu do zaproponowanych mierników - należy pamiętać, aby wartości wskaźników określone były przed i po realizacji programu, ponieważ dopiero uzyskana zmiana w zakresie tych wartości, stanowi o wadze uzyskanego efektu programu;*
- 4. Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi wspomnieć należy, że badaniem pierwszego wyboru powinna być audiometria tonalna, rekomendowana do stosowania w populacji dzieci w wieku 3 lat i starszych (m. in. AAP 2016, AAA 2011). Ponadto wszystkie odnalezione wytyczne są zgodne, że podstawową populacją docelową powinny być wszystkie dzieci w wieku od 4 do 7 lat (ECS 2012, AAP 2016, AAA 2011, ASHA).*

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**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.441.179.2017 „Program badań przesiewowych słuchu oraz mowy dla uczniów pierwszych klas szkół podstawowych z terenu województwa łódzkiego na lata 2018-2020” realizowany przez: Województwo łódzkie, Warszawa, lipiec 2017 oraz Aneksu „Badania przesiewowe słuchu u dzieci w wieku szkolnym – wspólne podstawy oceny” z września 2016 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 209/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku  
o projekcie programu „Program profilaktycznych szczepień  
przeciwko grypie skierowany do osób po 65 roku życia mieszkańców  
Gminy Gołdap w latach 2017-2020”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktycznych szczepień przeciwko grypie skierowany do osób po 65 roku życia mieszkańców Gminy Gołdap w latach 2017-2020”.*

### Uzasadnienie

*Oceniany projekt programu odnosi się do istotnego problemu zdrowotnego, jakim jest zapobieganie epidemii grypy w populacji osób podwyższonego ryzyka. Program będzie realizowany w latach 2017-2020. Nie jest w pełni jasne, ile osób obejmie swym zakresem przedstawiony program i jakie będą koszty jego realizacji. Wnioskodawca zamierza sfinansować program z budżetu gminy Gołdap, natomiast koszty badania lekarskiego i szczepień mają być pokryte przez NFZ.*

*Rada zwraca uwagę na poniższe niejasności i uchybienia programu.*

*Gmina planuje objąć szczepieniami osoby po 65 roku życia. Sformułowanie to oznacza, że szczepieniami będą objęte osoby, które ukończyły 65 lat. Typowe programy szczepień zakładają jednak szczepienia osób, które rozpoczęły 65 rok życia (65+). Nie jest oczywiste, czy wybór takiego progu jest świadomą decyzją wnioskodawców, czy przypadkowym przeoczeniem.*

*Niezbędna jest ponowna analiza celu głównego i celów szczegółowych, zgodnie z zasadą S.M.A.R.T., tak aby można było mierzyć postęp zarówno w realizacji celu głównego, jak i celów szczegółowych. Cel główny powinien być wyraźnie zdefiniowany, a kolejne etapy jego realizacji w czasie ściśle wyznaczone, tak aby jego osiągnięcie potwierdzało skuteczności zaplanowanych działań.*

*Konieczne jest w wyjaśnienie i precyzyjne zdefiniowanie kryteriów kwalifikacji do udziału w programie.*

*Należy także szczegółowo określić zakres i sposób realizacji planowanej akcji informacyjno-edukacyjnej. Wnioskodawca wymienia np. potencjalne działania niepożądane szczepionki, jednak brak jest informacji, czy realizator programu będzie informował pacjentów na temat ewentualnych niepożądanych odczynów*



poszczepiennych. Wnioskodawca powinien to uwzględnić w zrewidowanej wersji programu.

Konieczne jest dokonanie ponownej, szczegółowej analizy budżetu. Wnioskodawca przedstawia niespójne informacje na temat liczby osób objętych szczepieniami oraz kosztu całkowitego programu. W projekcie zakłada się frekwencję 60%, po czym w części budżetowej wyliczane są koszty dla frekwencji 20% oraz dla frekwencji 100%. Wnioskodawca powinien przedstawić budżet dla zakładanej oraz możliwej do osiągnięcia i sfinansowania frekwencji. Nie jest w pełni jasna i wymaga potwierdzenia informacja dotycząca finansowania badania lekarskiego oraz wykonania szczepienia przez NFZ.

Wnioskodawca nie podaje informacji dotyczącej zasad ewentualnej współpracy, współfinansowania przez NFZ. Zgodnie z art. 48d Ustawy Program może być jedynie współfinansowany przez wojewódzki oddział NFZ (wnioskodawca składa wniosek do dyrektora oddziału wojewódzkiego Funduszu). Artykuł 48d brzmi: „Fundusz może przekazać środki na dofinansowanie programów polityki zdrowotnej realizowanych przez jednostkę samorządu terytorialnego w zakresie udzielania świadczeń zdrowotnych innych niż określone w wykazach świadczeń gwarantowanych określonych w przepisach wydanych na podstawie art. 31d, w kwocie nieprzekraczającej: 1) 80% środków przewidzianych na realizację programu jednostki samorządu terytorialnego o liczbie mieszkańców nieprzekraczającej 5 tys.; 2) 40% środków przewidzianych na realizację programu jednostki samorządu terytorialnego innej niż wymieniona w pkt 1”. Jednak wnioskodawca w projekcie nie odnosi się do tych przepisów – wymaga to uzupełnienia.

Rada zaleca zmianę tytułu programu na: „Program polityki zdrowotnej dotyczącej szczepień profilaktycznych przeciwko grypie, skierowany do osób po 65 roku życia mieszkańców Gminy Gołdap w latach 2017-2020” realizowany przez: Gminę Gołdap.

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**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.441.170.2017 „Program profilaktycznych szczepień przeciwko grypie skierowany do osób po 65 roku życia mieszkańców Gminy Gołdap w latach 2017-2020” realizowany przez: Gminę Gołdap, Warszawa, lipiec 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

Prezysie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 210/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku

o projekcie programu „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Skierniewice w wieku 65 lat i więcej”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Skierniewice w wieku 65 lat i więcej”.*

#### Uzasadnienie

*Oceniany projekt programu odnosi się do istotnego problemu zdrowotnego, jakim jest zapobieganie epidemii grypy w populacji osób podwyższonego ryzyka. Wnioskodawca planuje corocznie zaszczepić ok. 1000 mieszkańców miasta w wieku >65 lat (12,7% ogółu). Program będzie realizowany w latach 2018-2020. Przewidywany koszt całkowity realizacji programu wynosi ok. 90 000 zł (30 000 zł/rok). Wnioskodawca zamierza finansować program z budżetu Miasta Skierniewice (60%), a także ze środków pozyskanych w ramach dofinansowania przez Dolnośląski Oddział Narodowego Funduszu Zdrowia (40%). Wnioskodawca zakłada możliwość kontynuacji programu w latach następnych.*

*Jest to kompetentnie, rzeczowo i starannie przygotowany program. Rada zaleca jedynie zmianę tytułu programu na: „Program polityki zdrowotnej dotyczącej szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Skierniewice w wieku 65 lat i więcej” realizowany przez: Miasto Skierniewice.*

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

#### 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.441.172.2017 „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Skierniewice w wieku 65 lat i więcej” realizowany przez: Miasto Skierniewice, Warszawa, lipiec 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

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 211/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku

o projekcie programu „Program profilaktycznych szczepień przeciw grypie dla mieszkańców Rawy Mazowieckiej w latach 2017-2019”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktycznych szczepień przeciw grypie dla mieszkańców Rawy Mazowieckiej w latach 2017-2019”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.*

#### Uzasadnienie

*Oceniany projekt programu odnosi się do istotnego problemu zdrowotnego, jakim jest zapobieganie epidemii grypy w populacji osób podwyższonego ryzyka. Wnioskodawca planuje objąć szczepieniem 4080 osób w wieku lat 60 i więcej, zamieszkałych na terenie miasta. Program będzie realizowany w latach 2017-2019. Przewidywany koszt całkowity realizacji programu wynosi ok. 82 200 zł.*

*Projekt programu został przygotowany zgodnie z zaleceniami AOTMiT zawiera jednak mimo to pewne uchybienia. Rada zaleca więc:*

- ponowną analizę celów szczegółowych programu zgodnie z zasadami S.M.A.R.T., tak aby można było mierzyć postęp w ich realizacji;*
- uściślenie mierników efektywności;*
- ocenę jakości świadczeń oraz efektywności programu (ankieta satysfakcji).*

*Rada zaleca nadto zmianę tytułu programu na: „Program polityki zdrowotnej dotyczącej szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Rawa Mazowiecka w wieku 65 lat i więcej”.*

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

#### 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.441.177.2017 „Program profilaktycznych szczepień przeciw grypie dla mieszkańców Rawy Mazowieckiej w latach 2017-2019” realizowany przez: Miasto Rawa Mazowiecka, Warszawa, lipiec 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 212/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku  
o projekcie programu „Program rehabilitacji leczniczej mieszkańców  
Gminy Choceń na lata 2017-2019”**

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Choceń na lata 2017-2019”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.*

### **Uzasadnienie**

*Celem głównym programu jest poprawa i podtrzymywanie ogólnej sprawności osób z przewlekłymi lub pourazowymi schorzeniami narządu ruchu, układu kostnego i mięśniowego lub ośrodkowego/obwodowego układu nerwowego oraz zmniejszenie bólu, przywrócenie sprawności i funkcji narządów organizmu, w tym kręgosłupa, narządów ruchu, poprawa sprawności mięśni i stawów, poprawa koordynacji ruchowej i mięśniowej, poprawa operatywności ośrodkowego/obwodowego układu nerwowego. Program ma stanowić zwiększenie dostępności do świadczeń, gdyż na terenie Gminy Choceń nie działa żaden podmiot świadczący zabiegi z zakresu rehabilitacji leczniczej, które są finansowane ze środków NFZ. Populacja objęta programem to każdy mieszkaniec gminy, który uzyska skierowanie od lekarza specjalisty lub lekarza POZ i zakwalifikuje się w ramach zagwarantowanych na określony rodzaj zabiegów (szacuje się udział około 12,5 % mieszkańców gminy rocznie). W treści projektu programu wnioskodawca wskazał wszystkie wymienione interwencje/zabiegi znajdują się w katalogu świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. (Dz. U. 2013 poz. 1522). Jak wskazano w programie lekarz POZ lub specjalista określi zlecone zabiegi fizjoterapeutyczne wraz z określeniem okolicy ciała, ewentualnej strony (prawa, lewa) oraz liczbę poszczególnych zabiegów w cyklu. Należy jednak zaznaczyć, iż programy polityki zdrowotnej poświęcone działaniom zapobiegającym wystąpieniu oraz pogłębieniu niepełnosprawności nie są programami o dobrze zdefiniowanym problemie zdrowotnym. Często dotyczą zróżnicowanej populacji dotkniętej wieloma schorzeniami warunkującymi niepełnosprawność. W przesłanym projekcie programu określono koszt całkowity w wysokości 90 000 zł*



(przewidziany na 3 lata trwania programu). Oszacowano także koszty jednostkowe poszczególnych zabiegów.

Uwagi Rady:

- jak wskazano w programie po wykonaniu zabiegów rehabilitacyjnych nastąpi przekazanie pacjentowi zaleceń oraz informacji na temat możliwości dalszej rehabilitacji lub korzystania z prowadzonych na terenie Gminy programów polityki zdrowotnej i działalności związanej z promocją zdrowia. Warto zaproponować rozwiązania zgodne z rekomendowaną przez liczne towarzystwa naukowe ciągłością działań rehabilitacyjnych odpowiednio dostosowanych do populacji docelowej;
- zgodnie z rekomendacjami plan rehabilitacji powinien być dostosowany do potrzeb wynikających ze stanu chorego, zakresu potrzebnej pomocy fizjoterapeutycznej, kompleksowości, wczesności i ciągłości procesu rehabilitacji;
- cel główny oraz cele szczegółowe nie zostały sformułowane nie w sposób prawidłowy. Niektóre cele są praktycznie nie mierzalne np. stwarzanie optymalnych możliwości gojenia się struktur, osiągnięcie możliwie najlepszego stanu funkcjonalnego. Część z nich (np. usuwanie dolegliwości, zwalczanie bólu, zwalczanie stanów zapalnych) została przedstawiona w formie działań. Cele powinny zostać zmodyfikowane tak aby wszystkie spełniały kryteria S.M.A.R.T.;
- przedstawione wskaźniki wymagają doprecyzowania. Aby mierniki efektywności odpowiadały wszystkim celom programu, zasadnym jest określenie m.in. rodzaju wykonywanych zabiegów, czy też wzrostu poziomu aktywności fizycznej uczestników;
- program skierowany jest do wszystkich mieszkańców Gminy, lecz nie ma w nim odniesienia do dzieci i młodzieży, które zgodnie z treścią ocenianego projektu także stanowią populację docelową programu. Należy zaznaczyć, że dzieci i młodzież w przedziale wiekowym 0-19 lat stanowią ok. 20% populacji Gminy (1 672 osób).
- nie zaznaczono, czy do udziału osób niepełnoletnich w programie wymagana będzie pisemna zgoda rodziców czy też opiekunów prawnych;
- w projekcie brak jest informacji nt. sposobu wyboru realizatora programu. Należy zaznaczyć, że wybór realizatora powinien być dokonany w drodze otwartego konkursu ofert i wnioskodawca nie powinien ograniczać się tylko do jedynej placówki rehabilitacyjnej na terenie gminy;
- wartym rozważenia byłoby zaproponowanie uczestnikom programu możliwości transportu do ośrodka, w którym będzie prowadzony program lub rozważenie przeprowadzenia rehabilitacji w warunkach domowych;



- *wnioskodawca nie zamieścił precyzyjnych informacji dotyczących chwili rozpoczęcia realizacji programu;*
- *nie określono czasu trwania (liczby tygodni, częstotliwości) zajęć dla pacjentów.*

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**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.441.171.2017 „Program rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Choceń na lata 2017-2019” realizowany przez: Gminę Choceń, Warszawa, lipiec 2017 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży” z sierpnia 2016 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 213/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki wad postawy dla uczniów klas I-IV szkół podstawowych z terenu Gminy Garbatka-Letnisko”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki wad postawy dla uczniów klas I-IV szkół podstawowych z terenu Gminy Garbatka-Letnisko”.*

#### Uzasadnienie

*Celem głównym programu jest wczesne rozpoznawanie i niwelowanie wad postawy u uczniów klas I-IV poprzez wykrywanie, diagnozowanie oraz kształtowanie nawyku aktywności ruchowej. Zastosowane interwencje to badania przesiewowe połączone z edukacją w kierunku zapobiegania wadom postawy, konsultacja kwalifikacyjna lekarza specjalisty dzieci, u których, w badaniu przesiewowym, stwierdzono wadę postawy, zajęcia korekcyjne w grupach do 10 osób, w cyklach dziesięciu jednogodzinnych zajęć korekcyjnych, prowadzonych przez magistra fizjoterapii. Opiniowany projekt wpisuje się w następujące priorytety: „zapobieganie najczęstszym problemom zdrowotnym i zaburzeniom rozwoju fizycznego i psychospołecznego dzieci i młodzieży objętych obowiązkiem szkolnym i obowiązkiem nauki oraz kształcących się w szkołach ponadgimnazjalnych do ich ukończenia” oraz „zmniejszenie przedwczesnej zachorowalności i ograniczenie negatywnych skutków przewlekłych schorzeń układu kostno-stawowego”, należące do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. (Dz. U. 2009, Nr 137, poz. 1126).*

*Opiniując program należy wskazać ze rekomendacje/wytyczne dotyczące wad postawy różnią się co do zaleceń w zakresie zasadności przeprowadzania badań w populacji bezobjawowej. Jedne nie zalecają ich stosowanie pozostałe wskazują natomiast, że mimo ograniczeń jakie wiążą się z badaniami przesiewowymi w kierunku wad postawy, potencjalne korzyści dla pacjentów ze skoliozą idiopatyczną, wiążące się z możliwością wdrożenia wczesnej terapii, mogą być znaczące (AAOS/SRS/POSNA/AAP 2015).*

*Przedstawiony do opinii program nie zawiera wykazu piśmiennictwa, nie odniesiono się do sytuacji lokalnej wad postawy u dzieci. W treści projektu*



wskazano, że jednym z planowanych działań będzie edukacja. Wnioskodawca odnosi się jednak do planowanych zajęć edukacyjnych w sposób pobieżny (jedynie w części projektu programu dot. problemu zdrowotnego a nie planowanych interwencji), nie precyzując ich zakresu tematycznego, częstotliwości, czy też kompetencji osoby odpowiedzialnej za ich prowadzenie. W projekcie brak jest informacji kto będzie wykonywał badania przesiewowe wskazano natomiast, że kolejnym etapem będzie konsultacja lekarza specjalisty nie podano informacji jakiej specjalizacji. Wnioskodawca nie sprecyzował dokładnie jakie wady postawy będą kwalifikowane jako te wymagające zajęć korekcyjnych oraz te wymagające dalszych konsultacji. Wnioskodawca podaje jedynie informacje, że indywidualne zestawy ćwiczeń korekcyjnych zostaną przygotowane i opracowane przez Realizatora i dostosowane do wad postawy dziecka. Jest to określenie bardzo ogólne.

Jak wynika z treści programu najprawdopodobniej do badania przesiewowego będzie wykorzystywany sensor Hipokratesa. Informacja o sensorze Hipokratesa widnieje w jednym miejscu projektu. Nie odnaleziono żadnych informacji nt. Sensora Hipokratesa, oprócz informacji pochodzących ze strony producenta. Urządzenie to posiada patent zarejestrowany w Urzędzie Patentowym Rzeczypospolitej Polskiej. Zgodnie z informacjami producenta, urządzenie to umożliwia bezinwazyjne skierowanie wiązek promieni podczerwonych na łopatkę, biodra, kolana i kostki człowieka, po to by porównać pomiar z właściwymi parametrami postawy. Jednak Wnioskodawca nie podaje informacji, kto będzie przeprowadzał badanie na urządzeniu Sensor Hipokrates. Producent nie przedstawia dokładnej specyfikacji urządzenia. Jednak w zakresie wymagań dot. personelu, na stronie programu „Proste plecki”, producent podaje informacje, że w placówkach, w których odbyły się akcje badań, w pomiarach uczestniczyła dyplomowana fizjoterapeutka, która interpretowała wyniki. W programie nie przewiduje się zakupu tego urządzenia, jednak nie podano informacji na jakich zasadach, będzie można korzystać z niego w programie.

Cel główny został sformułowany nieprawidłowo, powinien zostać sformułowany w sposób szczegółowy, tak aby był on mierzalny, realistyczny oraz terminowy. Założenia przedstawione przez wnioskodawcę stanowią raczej działania a nie oczekiwany, docelowy stan jaki zamierza się osiągnąć, w związku z czym pomiar i monitorowanie stopnia jego realizacji może być utrudnione. Wnioskodawca przedstawił mierniki efektywności. Wartości mierników powinny być określone przed i po realizacji programu.

Populację docelową ocenianego programu stanowią dzieci z klas I-IV szkół podstawowych z terenu gminy. Liczebność populacji docelowej, w roku szkolnym 2017/2018, została oszacowana na 167 dzieci. Wnioskodawca zakłada współpłacenie rodziców na poziomie 50% tj. 45 zł, za zajęcia

korekcyjne. Wnioskodawca powinien pamiętać o równym dostępie wszystkich osób z danej populacji programu. Natomiast konieczność współpłacenia za zajęcia korekcyjne, stwarza ryzyko nierównego dostępu dla wszystkich uprawnionych – część rodziców może nie wyrazić zgody na ww. dopłatę, przez co ich dziecko nie będzie mogło uczestniczyć w zajęciach. W treści projektu bardzo ogólnie określono kompetencje/warunki niezbędne do realizacji programu. W odniesieniu do personelu widnieje jedynie informacja, że realizator powinien dysponować specjalistyczną kadrą posiadającą kwalifikacje zawodowe do udzielania świadczeń rehabilitacyjnych, co powinno być udokumentowane oświadczeniem oferenta, zabiegi powinny się odbywać pod nadzorem magistra rehabilitacji. Nie określono prawidłowo sposobu zakończenia udziału w programie i możliwości kontynuacji otrzymywania świadczeń zdrowotnych przez uczestników programu, jeżeli istnieją wskazania.

Należy zaznaczyć, że oceniany program jest jednoletni (2018 r.), zatem wnioskodawca przystępując do jego opracowywania oraz realizacji, powinien dysponować odpowiednimi środkami finansowymi. Należy określić ścieżkę postępowania z uczestnikiem programu po zakończeniu przez niego udziału. Jest to wskazane z uwagi na fakt zachowania ciągłości prowadzenia diagnostyki wykrytych zmian lub podjęcia w specjalistycznych placówkach opieki zdrowotnej leczenia wykrytych schorzeń. Należy pamiętać, że kompleksowa opieka medyczna może przynieść pacjentowi dużo więcej korzyści. Zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dn. 24 września 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej (Dz. U. 2013 poz. 1248), kompleksowa ocena stanu zdrowia, obejmująca diagnostykę wad postawy, powinna być wykonywana u dzieci w ramach testów przesiewowych wykonywanych przez pielęgniarki lub higienistki szkolne. Istnieje zatem duże ryzyko, że działania w ramach programu będą stanowiły powielenie świadczeń gwarantowanych. W programie Wnioskodawca nie argumentuje na jakiej podstawie zakłada, że 70% z przebadanych dzieci, będzie wymagało konsultacji lekarza specjalisty, oraz 110 dzieci z 167 przebadanych będzie wymagało zajęć korekcyjnych – wymaga to doprecyzowania. Nie jest jasne czy w przypadku, gdy większa liczba dzieci będzie wymagała konsultacji lub zajęć korekcyjnych, to zostaną zapewnione dodatkowe środki finansowe.

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**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.441.174.2017 „Program profilaktyki wad postawy dla uczniów klas I-IV szkół podstawowych z terenu Gminy Garbatka-Letnisko” realizowany przez: Gminę Garbatka-Letnisko, Warszawa, lipiec 2017 oraz Aneksu „Programy profilaktyki i korekcji wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny” ze stycznia 2017 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 214/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku  
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie  
rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Lubiszyn na lata  
2017-2021”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Lubiszyn na lata 2017-2021”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.*

### Uzasadnienie

*Celem głównym programu jest poprawa stanu zdrowia i jakości życia mieszkańców. Poprawa lub podtrzymywanie ogólnej sprawności osób z przewlekłymi lub pourazowymi schorzeniami narządu ruchu, układu kostnego i mięśniowego lub ośrodkowego/obwodowego układu nerwowego. Zmniejszenie bólu, przywrócenie sprawności i funkcji narządów organizmu, w tym kręgosłupa, narządów ruchu, poprawa sprawności mięśni i stawów, poprawa koordynacji ruchowej i mięśniowej, poprawa operatywności ośrodkowego/obwodowego układu nerwowego. Beneficjentem programu jest każdy mieszkaniec gminy, który uzyska skierowanie od lekarza specjalisty lub lekarza POZ i zakwalifikuje się w ramach zagwarantowanych na określony rodzaj zabiegów (szacuje się udział około 1,25% - 2,50 % mieszkańców gminy rocznie (tj. około 80-160 osób)). Należy jednak zaznaczyć, iż programy polityki zdrowotnej poświęcone działaniom zapobiegającym wystąpieniu oraz pogłębieniu niepełnosprawności nie są programami o dobrze zdefiniowanym problemie zdrowotnym. Często dotyczą bowiem zróżnicowanej populacji dotkniętej wieloma schorzeniami warunkującymi niepełnosprawność. Wnioskodawca wskazuje, iż wszystkie wyżej wymienione interwencje/zabiegi znajdują się w katalogu świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. (Dz. U. 2013 poz. 1522. Mając na uwadze fakt, iż na terenie Gminy Lubiszyn w Baczyńcu działa tylko 1 podmiot świadczący zabiegi z zakresu rehabilitacji leczniczej, które są finansowane ze środków NFZ, wnioskodawca próbuje za pomocą programu zwiększyć dostęp do świadczeń rehabilitacyjnych. Wybór realizatora programu zostanie dokonany w drodze konkursu ofert, co pozostaje w zgodzie z zapisami ustawowymi*



*Uwagi Rady:*

- *wnioskodawca podaje informacje, że uczestnikiem programu będzie mogła być osoba, która uzyska skierowanie od lekarza POZ lub specjalisty. Zaplanowanie postępowania rehabilitacyjnego (fizjoterapeutycznego) będzie się odbywać przez realizatora programu. Wytyczne podkreślają, że plan rehabilitacji powinien być dostosowany do potrzeb wynikających ze stanu chorego, zakresu potrzebnej pomocy fizjoterapeutycznej, kompleksowości, wczesności i ciągłości procesu rehabilitacji. O zakończeniu udziału w programie zdecyduje podmiot realizujący program. Uczestnicy będą mogli kontynuować zabiegi rehabilitacyjne, korzystając ze świadczeń udzielanych przez podmioty, w ramach umów zawartych z NFZ. Warto zaproponować odpowiednie rozwiązania w danym kierunku, aby utrzymać rekomendowaną przez liczne towarzystwa naukowe ciągłość działań rehabilitacyjnych odpowiednio dostosowanych do populacji docelowej;*
- *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. Warto dodać, że plan rehabilitacji powinien być dostosowany do potrzeb wynikających ze stanu chorego, zakresu potrzebnej pomocy fizjoterapeutycznej, kompleksowości, wczesności i ciągłości procesu rehabilitacji (Konsultant Krajowy w dziedzinie rehabilitacji medycznej, 2010);*
- *cel główny oraz cele szczegółowe nie zostały sformułowane w sposób prawidłowy i powinny zostać zmodyfikowane tak aby wszystkie spełniały kryteria S.M.A.R.T.;*
- *przedstawione wskaźniki wymagają doprecyzowania. Aby mierniki efektywności odpowiadały wszystkim celom programu, zasadnym jest określenie m.in. rodzaju wykonywanych zabiegów czy też wzrostu poziomu aktywności fizycznej uczestników;*
- *mimo, że program skierowany jest do wszystkich mieszkańców Gminy nie ma w nim odniesienia do dzieci i młodzieży, które zgodnie z treścią ocenianego projektu także stanowią populację docelową programu. Należy zaznaczyć, że dzieci i młodzież w przedziale wiekowym 0-17 lat stanowi ok. 17% populacji Gminy (1 105 osób). Ponadto nie zaznaczono, czy do udziału osób niepełnoletnich w programie wymagana będzie pisemna zgoda rodziców czy też opiekunów prawnych;*
- *wartym rozważenia byłoby zaproponowanie mieszkańcom Gminy Lubiszyn możliwości transportu do ośrodka, w którym będzie prowadzony program;*

- *wnioskodawca nie zamieścił precyzyjnych informacji dotyczących chwili rozpoczęcia realizacji programu. Nie określono także czasu trwania (liczby tygodni, częstotliwości) zajęć dla pacjentów;*
- *warte rozważenia byłoby również zaplanowanie środków finansowych na transport osób, które chciałyby wziąć udział w programie, natomiast ze względu na zły stan zdrowia lub stopień niepełnosprawności nie są w stanie dotrzeć do placówki rehabilitacyjnej samodzielnie.*

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**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.441.182.2017 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Lubiszyn na lata 2017-2021” realizowany przez: Gminę Lubiszyn, Warszawa, lipiec 2017 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży” z sierpnia 2016 r.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 215/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku o projekcie programu „Program profilaktyki chorób odkleszczowych na lata 2017-2020”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki chorób odkleszczowych na lata 2017-2020”.*

#### **Uzasadnienie**

*Celem głównym programu jest zmniejszenie liczby zachorowań na boreliozę z Lyme i kleszczowe zapalenie mózgu poprzez edukację i profilaktykę. Populacja to członkowie Ochotniczej Straży Pożarnej (OSP) z terenu gminy Gietrzwałd – 100 osób; w przypadku niepełnej grupy członków OSP ustala się wytypowanie grupy docelowej najbardziej zagrożonych mieszkańców terenu gminy. Planowane w programie interwencje to kampania informacyjno-edukacyjna, szczepienia przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu (KZM), szkolenia/spotkania edukacyjna dla pracowników urzędu gminy. Problem zdrowotny opisany w projekcie programu polityki zdrowotnej wpisuje się w priorytety zdrowotne zawarte w rozporządzeniu MZ z dn. 21 sierpnia 2009 r. ws. priorytetów zdrowotnych (Dz.U.2009 nr 137 poz.1126), mianowicie: „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom” oraz „ograniczenie skutków zdrowotnych spowodowanych czynnikami szkodliwymi w miejscu pracy i zamieszkania”. Wnioskodawca w sposób prawidłowy i wyczerpujący opisuje problem zdrowotny, jakim są choroby odkleszczowe, w szczególności borelioza i kleszczowe zapalenie mózgu. Przedstawia ich charakterystykę, przebieg, możliwe powikłania, rozpoznanie i profilaktykę. Wnioskodawca wskazał na niską wiedzę mieszkańców w zakresie szczepień przeciwko KZM, powołując się na wyniki badania przeprowadzonego w województwie podlaskim. Należy wskazać, że szczepienia przeciwko KZM znajdują się w Programie Szczepień Ochronnych na 2017 rok wśród szczepień zalecanych osobom przebywającym na terenach o nasilonym występowaniu tej choroby w szczególności: osobom zatrudnionym przy eksploatacji lasu, stacjonującemu wojsku, funkcjonariuszom straży pożarnej i granicznej, rolnikom, młodzieży odbywającej praktyki oraz turystom i uczestnikom obozów i kolonii. Zgodnie z treścią projektu, kwalifikacja do szczepień odbywać się będzie na podstawie kwalifikacyjnego badania lekarskiego, co jest działaniem*



prawidłowym. Schemat dawkowania przedstawiony w treści projektu zbieżny jest z Charakterystyką preparatów FSME-IMMUN. Wnioskodawca przedstawił jedynie schemat skrócony, oraz podał informacje, że dawki przypominające nie będą finansowane w ramach programu. Jednak każdy uczestnik zostanie poinformowany o przybliżonej dacie szczepienia przypominającego. W projekcie programu przewidziano przeprowadzenie ankiety wśród osób narażonych na pokłucie przez kleszcze i kwalifikujących się do szczepienia. Czas realizacji programu (2017-2020 r.) wydaje się być wystarczający dla przeprowadzenia zaplanowanych w nim działań. W pierwszym etapie założono wyłonienie organizatora programu w drodze konkursu ofert, co zgodne jest z zapisami ustawowymi.

Jednak należy wskazać, że Wnioskodawca nie przewidział przeprowadzania badań na obecności przeciwciał przeciwko kleszczowemu zapaleniu mózgu natomiast eksperci kliniczni wskazują na zasadność wykonywania szczepień wśród osób, u których się ich nie stwierdza. Koszt wykonania przedmiotowych badań nie został uwzględniony w budżecie przeznaczonym na realizację programu.

Poza tym Wnioskodawca podaje informacje, że program ma być z NFZ w wysokości do 50% wartości programu. Jednak zgodnie z art. 48d Ustawy: „Fundusz może przekazać środki na dofinansowanie programów polityki zdrowotnej realizowanych przez jednostkę samorządu terytorialnego w zakresie udzielania świadczeń zdrowotnych innych niż określone w wykazach świadczeń gwarantowanych określonych w przepisach wydanych na podstawie art. 31d, w kwocie nieprzekraczającej:

- 1) 80% środków przewidzianych na realizację programu jednostki samorządu terytorialnego o liczbie mieszkańców nieprzekraczającej 5 tys.;
- 2) 40% środków przewidzianych na realizację programu jednostki samorządu terytorialnego innej niż wymieniona w pkt 1”. Liczebność mieszkańców gminy Gietrzwałd wynosi 6536 osób, zatem dofinansowanie z NFZ będzie mogło wynosić maksymalnie 40% a nie 50% jak podaje wnioskodawca Program przewidziany jest na 4 lata, jednak nie wyszczególniono kosztów na poszczególne lata realizacji – wnioskodawca powinien to uwzględnić i poprawić.

W projekcie zaplanowano działania edukacyjne dot. np. nieswoistych metod profilaktyki zakażeń odkleszczowych, które zgodnie z rekomendacjami/wytocznymi powinny obejmować stosowanie odpowiedniego ubioru (jasne kolory, długie rękawy i nogawki), stosowanie repelentów oraz impregnowanie ubrań permetryną (AGDoH 2015, CPS 2014, AAFP 2012, AAD 2011). Odnalezione dowody naukowe wskazują, że stosowanie działań edukacyjno-

promocyjnych ma wpływ na podniesienie poziomu wiedzy społeczeństwa nt. zagrożenia związanego z ukąszeniem kleszcza (Mowbray 2012).

Należy również wskazać, że na terenie woj. warmińsko-mazurskiego realizowany jest „Program Polityki Zdrowotnej dla mieszkańców województwa warmińsko-mazurskiego w wieku aktywności zawodowej na lata 2017-2019 w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania zakaźnych chorób odkleszczowych”, który uzyskał warunkowo pozytywną opinię Agencji – opinia Prezesa nr 53/2017. W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie działań informacyjno-edukacyjnych obejmujących m. in tematykę: dróg szerzenia, objawów, powikłań oraz profilaktyki chorób odkleszczowych, ze szczególnym uwzględnieniem praktycznych umiejętności takich jak: prawidłowe wyciąganie kleszczy, unikanie ryzykownych zachowań sprzyjających narażeniu na pokłucie, stosowanie repelentów czy postępowanie w przypadku zaobserwowania niepokojących objawów. Projekt zakłada także przeprowadzenie diagnostyki serologicznej w kierunku boreliozy przy użyciu dwuetapowego protokołu diagnostycznego polegającego na wykrywaniu swoistych przeciwciał testem ELISA oraz w przypadku dodatniego bądź wątpliwie dodatniego wyniku potwierdzenie badania metodą Western blot. W projekcie przewidziano również przeprowadzenie ankiety wśród osób zgłaszających się do programu, będącej podstawą kwalifikacji do badań laboratoryjnych. Zatem w zakresie szczepień p/KZM, oceniany program gminy Gietrzwałd uzupełnia program wojewódzki, jednak powiela go w zakresie działań edukacyjnych.

Wnioskodawca podaje również, że w wyniku przeprowadzenia ankiety, możliwe będzie wyodrębnienie „kohorty wymagającej przeprowadzenia szybkiej interwencji”. Nie podaje jednak na czym wspomniana interwencja ma polegać. W przypadku pacjentów POZ wnioskodawca zaznacza, że na podstawie ankiety udzielana będzie porada „o charakterze profilaktycznym i edukacyjnym” oraz ewentualnie interwencja w postaci szczepienia przeciwko KZM. W ramach ww. porady, odbywać się ma również badanie lekarskie celem rozpoznania czynników ryzyka oraz zaplanowania interwencji wraz z informacją na temat negatywnych skutków chorób odkleszczowych. W związku z powyższym, wątpliwości budzić może zasadność uprzedniego sprawdzania występowania czynników ryzyka w ramach ankiety. W programie nie jest widoma grupa docelowa akcji informacyjno-edukacyjnej oraz kto ma prowadzić tę akcję. Zasadnym jest aby szkolenia były skierowane do personelu POZ, gdzie będą zgłaszali się pacjenci przed szczepieniem. W przypadku celów dotyczących podniesienia poziomu wiedzy, wnioskodawca nie przygotował narzędzi, które umożliwiłyby ocenę stopnia ich realizacji. Mierniki efektywności zawarte w projekcie powinny być określone przed i po realizacji programu. Z budżetu programu wynika, że ma być rozesłane 1000 zaproszeń. Celem tego zadania

*będzie zaproszenie do uczestnictwa w programie mieszkańców gminy, podmiotów gospodarczych. Do podmiotów gospodarczych zatrudniających populację w wieku produkcyjnym programu zostaną wysłane listy w celu nawiązania współpracy w zakresie wczesnej profilaktyki chorób odkleszczowych. Wnioskodawca w żaden sposób nie rozwija i nie wyjaśnia tych założeń, zatem trudno jest zweryfikować celowość tego postępowania. Nie jest do końca jasne jakimi interwencjami zostaną objęte osoby spośród 1000 potencjalnych uczestników – czy będzie to porada edukacyjna w POZ (w części budżetowej wyszczególniono jedynie 100 porad) czy szczepienie przy założeniu niezaszczepienia wszystkich 100 pracowników OSP. Opis sposobu organizacji programu przygotowany został w sposób bardzo ogólny i niespójny. Program jest 4-letni natomiast nie przedstawiono harmonogramu z podziałem na lata realizacji, nie jest jasne jakie działania w jakiej skali będą prowadzone w poszczególnych okresach realizacji programu – wymaga to uzupełnienia. W treści projektu bardzo ogólnie odniesiono się do kwestii wymagań względem realizatora.*

.....

Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

**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.441.176.2017 „Program profilaktyki chorób odkleszczowych na lata 2017-2020” realizowany przez: Gminę Gietrzwałd, Warszawa, lipiec 2017 oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki i wczesnej diagnostyki boreliozy i innych chorób odkleszczowych – wspólne podstawy oceny” z listopada 2016.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 216/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku

w sprawie objęcia refundacją leku Cortiment MMX (budesonidum) w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. indukcja remisji u pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego lub chorobą Leśniowskiego-Crohna

*Rada Przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją leku Cortiment MMX (budesonidum), tabl. o przedł. uwalnianiu, 9 mg, 30 szt., kod EAN: 5909991205966, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj.:*

- *indukcja remisji u pacjentów pediatrycznych z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią wrzodziejącego zapalenia jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające,*
- *indukcja remisji u pacjentów z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią choroby Leśniowskiego-Crohna z zajęciem jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające.*

#### Uzasadnienie

*Podstawowymi lekami stosowanymi we wrzodziejącym zapaleniu jelita grubego są preparaty kwasu 5-aminosalicylowego (5-ASA – mesalazyna, sulfasalazyna). Budesonid zalecany jest jako jedna z równoważnych form terapii glukokortykosteroidami u pacjentów dorosłych, lecz brak jest badań, a co za tym idzie i wytycznych w stosowaniu budesonidu w tym wskazaniu u dzieci.*

*Podstawowymi lekami stosowanymi w chorobie Leśniowskiego-Crohna z zajęciem jelita grubego są preparaty kwasu 5-aminosalicylowego (5-ASA – mesalazyna, sulfasalazyna). Budesonid nie jest jednak zalecany, jako jedna z form terapii glukokortykosteroidami w tej jednostce chorobowej.*

*Stosowanie budesonidu w tych wskazaniach odmiennych niż określone w ChPL, nie znajduje również jednoznacznego poparcia u ekspertów.*



## **Przedmiot zlecenia**

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLA.4604.526.207.PB z dnia 07.07.2017 r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją Cortiment MMX (budesonidum), tabl. o przedł. uwalnianiu, 9 mg, 30 szt., kod EAN: 5909991205966, przy danych klinicznych w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania lub sposobu podawania odmiennych niż w Charakterystyce Produktu Leczniczego.

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

## **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.).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby Rady Przejrzystości w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leków we wskazaniach innych niż ujęte w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr OT.434.26.2017 Cortiment MMX (budezonid) we wskazaniach: Indukcja remisji:
  - u pacjentów pediatrycznych z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią wrzodziejącego zapalenia jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające,
  - u pacjentów z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią choroby Leśniowskiego-Crohna z zajęciem jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające.

Data ukończenia: 20.07.2017 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 217/2017 z dnia 24 lipca 2017 roku

w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w schemacie dawkowania leku Adcetris (Brentuximabum vedotinum) w ramach programu lekowego: „Leczenie opornych i nawrotowych postaci chłoniaków CD30+ (C 81 Choroba Hodgkina; C 84.5 Inne i nieokreślone chłoniaki T)” poprzez zróżnicowanie opisu dawkowania w zależności od wieku pacjentów

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne wprowadzenie zmian w schemacie dawkowania leku Adcetris (Brentuximabum vedotinum), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 50 mg, 1 fiol., kod EAN: 5909991004545, w ramach programu lekowego: „Leczenie opornych i nawrotowych postaci chłoniaków CD30+ (C 81 Choroba Hodgkina; C 84.5 Inne i nieokreślone chłoniaki T)” poprzez zróżnicowanie opisu dawkowania w zależności od wieku pacjentów.*

#### Uzasadnienie

*Zapisy zarówno aktualnego, jak i proponowanego programu lekowego nie zawierają kryteriów dot. wieku chorych kwalifikujących się do leczenia, umożliwiając tym samym zastosowanie brentuksymabu vedotin niezależnie od wieku pacjenta.*

*W związku z powyższym wnioskowana technologia może być stosowana w populacji szerszej niż określa to status rejestracyjny leku, tj. także w populacji pediatrycznej (pacjenci poniżej 18 r.ż).*

*Ze względu na zarejestrowanie produktu Adcetris do stosowania u dorosłych pacjentów, zalecana dawka wynosi 1,8 mg/kg. W Charakterystyce Produktu Leczniczego Adcetris zawarto jednak informację, że przy określaniu wielkości łącznej dawki brentuksymabu vedotin (masa ciała pacjenta pomnożona przez zalecaną dawkę), u pacjentów poniżej 60 kg należy do obliczenia użyć dawki 1,2 mg/kg. Ponadto, dawkę początkową zmniejszoną do 1,2 mg/kg stosuje się u pacjentów z zaburzeniami funkcjonowania nerek i wątroby. Można zatem przyjąć, że pacjenci w wieku poniżej 18 r. ż. przyjmować będą niższą dawkę leku na jedno podanie (1,2 mg/kg m.c. zamiast 1,8 mg/kg m.c.), jednak częściej (co 7 lub 14 dnia zamiast co 21 dni).*



*Analiza aktualnego piśmiennictwa pozwoliła zidentyfikować jeden opis przypadku uzyskania pełnej remisji oraz analizą bazy Cochrane, z 2016, która wykazała, że nie odnaleziono badań oceniających skuteczność i wpływ na jakość życia stosowania przeciwciałami monoklonalnymi w leczeniu chłoniaków u dzieci. Przeprowadzona została analiza publikacji poświęconych bezpieczeństwu i tolerancji brentuksymabu. W tej chwili nie można wyciągnąć wniosków opartych na dowodach dotyczących praktyki klinicznej. Badania fazy I i II wykazują pozytywny wpływ stosowania terapii przeciwciałami monoklonalnymi w leczeniu chłoniaków u dzieci. Potrzebne są dodatkowe badania w celu oceny i wdrażania terapii przeciwciałami monoklonalnymi w chłoniakach w wieku dziecięcym. Dwoje polskich ekspertów pozytywnie zaopiniowało wnioskowany schemat dawkowania.*

*Produkt Adcetris ma status leku sierocego, jednak został dopuszczony do obrotu zgodnie z procedurą dopuszczenia warunkowego. Oznacza to, że oczekiwane są dalsze dowody świadczące o korzyści ze stosowania produktu leczniczego.*

*Dwóch polskich ekspertów klinicznych opowiada się za pozytywną opinią o zmianie dawkowania.*

#### **Przedmiot zlecenia**

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLA.4604.40.2017.2.DJ z dnia 03.07.2017 r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie wprowadzenie zmian w schemacie dawkowania leku Adcetris (Brentuximabum vedotinum), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 50 mg, 1 fiol., kod EAN: 5909991004545, w ramach programu lekowego: „Leczenie opornych i nawrotowych postaci chłoniaków CD30+ (C 81 Choroba Hodgkina; C 84.5 Inne i nieokreślone chłoniaki T)” poprzez zróżnicowanie opisu dawkowania w zależności od wieku pacjentów.

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Michał Myśliwiec

#### **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.).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby Rady Przejrzystości w sprawie oceny zasadności wprowadzenia zmian w schemacie dawkowania leku, raport nr OT.434.25.2017 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w schemacie dawkowania leku Adcetris (brentuximabum vedotinum) w programie lekowym: »Leczenie opornych i nawrotowych postaci chłoniaków CD30+ (C 81 Choroba Hodgkina; C 84.5 Inne i nieokreślone chłoniaki T)«”. Data ukończenia: 20.07.2017 r.