



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Protokół nr 43/2017
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 6 listopada 2017 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT)

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

1. Marzanna Bieńkowska
2. Paweł Grieb – uczestniczył w posiedzeniu od pkt 4.
3. Lucjusz Jakubowski
4. Agata Maciejczyk
5. Konrad Maruszczyk – uczestniczył w posiedzeniu od pkt 4.
6. Aleksandra Michowicz
7. Tomasz Pasierski – prowadził posiedzenie
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 VIDAZA (azacytydyna) we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa (AML) z >30% blastów w szpiku, zgodnie z klasyfikacją WHO.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku OFEV (nintedanib) w ramach programu lekowego: „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc z zastosowaniem nintedanibu (ICD-10 J84.1)”.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku ALPROLIX (eftrenonakog alfa) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)”.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku LIPANCREA 16 000 (pankreatyna) we wskazaniu: stany zewnątrzwydzielniczej niewydolności trzustki spowodowane: przewlekłym zapaleniem trzustki; resekcją żołądka; zwężeniem dróg żółciowych spowodowanym chorobą nowotworową.
8. Przygotowanie opinii w sprawie stosowania substancji czynnej kwas ursodeoksycholowy we wskazaniu pozarejestryjnym: pierwotne stwardniające zapalenie dróg żółciowych (PSC).
9. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Powiatowy program profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego HPV na lata 2018-2022” (pow. starogardzki),



- 2) „Program profilaktyki szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców gminy Goleniów po 65 roku życia w 2017 i 2018 roku”,
- 3) „Program profilaktyki grypowej wśród osób dorosłych - szczepienia ochronne przeciwko grypie sezonowej osób powyżej 65 roku życia” (m. Cieszyn),
- 4) „Program szczepień przeciwko grypie osób powyżej 60 roku życia” (gm. Człopa),
- 5) „Grypa 65+” (gm. Młodzieszyn),
- 6) „Profilaktyka raka piersi - badania USG dla kobiet w wieku 35 - 45 lat” (pow. wolsztyński),
- 7) „Twoje zdrowie w Twoich dłoniach” (pow. mikołowski),
- 8) „Program profilaktyki wad postawy i schorzeń narządu ruchu wśród uczniów klas I szczecińskich szkół podstawowych”,
- 9) „Program profilaktyki wad postawy u dzieci i młodzieży w wieku szkolnym”(m. Kędzierzyn-Koźle).

10. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.

11. Zamknięcie posiedzenia.

Ad 1. Posiedzenie o godzinie 10:01 otworzył Przewodniczący Rady Tomasz Pasierski.

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

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

Ad 4. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.4352.2.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku VIDAZA (azacytydyna) we wskazaniu: Ostra białaczka szpikowa (AML) z >30% blastów w szpiku, zgodnie z klasyfikacją WHO”.

W trakcie trwania prezentacji na posiedzenie przybyli: Paweł Grieb i Konrad Maruszczyk. Obydwaj członkowie Rady złożyli odpowiednie oświadczenia dotyczące konfliktu interesów.

Następnie, swoją propozycję stanowiska przedstawił Tomasz Pasierski. Zaproponował rekomendację pozytywną, warunkową. Zaznaczył, że, według niego, nie jest to terapia ratująca życie. Mogłaby być wykorzystywana jako alternatywa dla pełnej chemioterapii u chorych z ostrą białaczką z dużą ilością blastów, którzy nie kwalifikują się do przeszczepu szpiku. Podkreślił, że lek był badany, ale w innym, szerszym wskazaniu, natomiast wyniki badań dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa można ekstrapolować na wnioskowaną populację. Zaznaczył, że lek jest efektywny kosztowo, po zastosowaniu [redacted] mechanizmu podziału ryzyka.

Konrad Maruszczyk wskazał, że analiza ekonomiczna jest niewiarygodna i nie można ocenić, czy osiągnięto efektywność kosztową. Zasadnym byłoby wnioskowanie o obniżenie ceny leku.

Lucjusz Jakubowski zasugerował ograniczenie populacji do grupy wiekowej powyżej 65 roku życia, z niekorzystnym ryzykiem cytogenetycznym. Pacjenci ci mają zwykle postawioną diagnozę cytogenetyczną, więc nie ma ryzyka, że czas oczekiwania na ww. diagnozę będzie długi. Podkreślił, że rzadko dochodzi do takiej transformacji cytogenetycznej, żeby akurat w czasie oczekiwania na wynik pojawiła się operacja chromosomowa, która jest decydująca dla rokowania w konkretnym przypadku.

Andrzej Śliwczyński poparł propozycję ograniczenia populacji zaproponowaną przez Lucjusza Jakubowskiego. Podkreślił także, że zaproponowany instrument dzielenia ryzyka jest niewystarczający.

Tomasz Pasierski zwrócił uwagę, że omawiany lek jest słabszy od intensywnej chemioterapii, jednak w przypadku chorych, którzy mają sprawność 3-4 w skali ECOG i nie kwalifikują się do intensywnej chemii stanowi on opcję terapeutyczną.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, 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.4351.31.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Ofev (nintedanib) w ramach programu lekowego: »Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc z zastosowaniem nintedanibu (ICD-10 J 84.1)«”.

Następnie, swoją propozycję stanowiska przedstawił Janusz Szyndler, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Wskazał, że w programie jest już lek o podobnym poziomie dowodów klinicznych - pirfenidon. Porównując oficjalne ceny obydwu leków, nintedanib jest sporo tańszy.

Analityk zwrócił uwagę, że lek Esbriet (pirfenidon) nie cieszy się dużą popularnością i od początku roku sprzedane zostały tylko 3 opakowania leku.

Janusz Szyndler zauważył, że opiniowany wniosek dotyczy dwóch dawek leku: 150 mg i 100 mg. Pewne wątpliwości wzbudza kwestia populacji, ponieważ badania źródłowe dotyczą wyłącznie populacji powyżej 40 r.ż., a analiza wnioskodawcy dotyczy populacji osób dorosłych. Ponadto, wątpliwości wzbudza przedstawione w badaniach ryzyko zgonu, które było stosunkowo niskie jak na naturalny przebieg włóknienia. Następnie, zwrócił uwagę na jednolitość dostępnych rekomendacji klinicznych (z wyjątkiem Prescrire), które wskazują na zasadność stosowania opiniowanej terapii. Podkreślił, że w omawianej chorobie obydwie leki (nintedanib i pirfenidon) są porównywalne zarówno pod względem efektywności, jak i bezpieczeństwa. Są uważane za leki równoważne. Podkreślił, że większość innych terapii jest przeciwwskazana lub niezalecana.

W dalszej części przeprowadzono konsultacje z Prezesem Polskiego Towarzystwa Wspierania Chorych na Idiopatyczne Włóknienie Płuc IPF Dariuszem Klimczakiem.

Tomasz Pasierski zwrócił uwagę, że w omawianym programie lekowym jest już lek, który nie jest jednak zbyt często wykorzystywany, gdyż sprzedały się tylko 3 opakowania.

Dariusz Klimczak przyznał, że nie jest w stanie bez znajomości statystyk odnieść się do tego zjawiska, jednakże przyznał, że, według jego wiedzy, są dość ostre kryteria przyznawania pirfenidonu i w związku z tym nie trafia on do potrzebujących pacjentów. Podkreślił, że jest po przeszczepie. W 2015 r., w ramach programu badawczego, on sam otrzymywał pirfenidon, niestety bardzo źle znosił przyjmowanie tego leku. Postęp choroby od momentu, kiedy zaczął go przyjmować, był lawinowy, a pojemność płuc znacząco spadła. Stwierdził, że nintedanib, jako lek o innym działaniu, ale podobnych skutkach, mógłby być alternatywą dla pacjentów źle znoszących terapię z zastosowaniem pirfenidonu. Zaznaczył, że kraje o zbliżonym do Polski poziomie ekonomicznym dopuszczają stosowanie obydwu leków. Należą do nich Czechy, Węgry i Litwa. Wprowadzenie alternatywnej technologii, która daje szansę na spowolnienie choroby i wydłużenie życia jest nie do przecenienia. Zwrócił uwagę, że nie wszyscy pacjenci nadają się do przeszczepu. W wielu przypadkach dodatkowe schorzenia eliminują pacjentów z tego procesu. Podkreślił, że w przypadku chorych bardzo ważna jest świadomość, że choć choruje się na nieuleczalną chorobę i pierwszy lek jest źle tolerowany, to istnieje alternatywa, która stanowi dla nich szansę.

Po zakończeniu konsultacji głos zabrał Tomasz Pasierski, który stwierdził, że opiniowany lek należy ocenić pozytywnie.

Janusz Szyndler podkreślił, że kryteria włączenia do obecnie funkcjonującego programu nie są przesadnie ostre. Do programu kwalifikują się pacjenci, którzy mają natężoną pojemność płuc powyżej 50 % wartości należnej. Z programu wyłączani są natomiast pacjenci, którzy są wyjściowo ciężko chorzy oraz ci, którzy mają bardzo szybki postęp choroby, co stanowi odzwierciedlenie Charakterystyki Produktu Leczniczego (ChPL) oraz badań klinicznych. Kryteriami wyłączenia z programu są także przeciwwskazania określone w aktualnym ChPL. Trudno zatem wyjaśnić fakt, że program nie do końca działa.

Andrzej Śliwczyński zauważył, że zasadnym jest włączenie obecnie opiniowanej technologii do funkcjonującego programu lekowego. W przypadku utworzenia nowego programu nie będzie można zastępować jednego leku drugim, ponieważ świadczeniodawca niekoniecznie będzie realizował obydwa programy. Ponadto, nie będzie możliwy do osiągnięcia także efekt ekonomiczny, który zakłada mniejsze wydatki. Dodał także, że zaproponowany instrument dzielenia ryzyka powinien zakładać zmniejszenie kosztu terapii w stosunku do leku obecnie finansowanego.

Paweł Grieb zwrócił uwagę na to, że obydwa leki stanowią różne struktury chemiczne i mogą dawać inne toksyczności. Wobec powyższego nie można wykluczyć tego, że pacjent może zareagować gorzej albo na jeden albo na drugi z nich.

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

- 1) Ofev (nintedanib), 100 mg; kapsułki miękkie; 60 kapsułek; kod EAN: 5909991206444 - w wyniku głosowania, 10 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi,
- 2) Ofev (nintedanib), 150 mg; kapsułki miękkie; 60 kapsułek; kod EAN: 5909991206468 - w wyniku głosowania, 10 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi.

Ad 6. Swoją propozycję stanowiska przedstawił Lucjusz Jakubowski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Zaproponował stanowisko negatywne, głównie z uwagi na brak badań porównawczych dla adekwatnej do wnioskowanej populacji wiekowej. Zaznaczył, że w przyszłości stosowanie rekombinowanych czynników krzepnięcia o przedłużonym działaniu może okazać się zasadne, jednak muszą pojawić się nowe dowody naukowe. Wskazał, że, z jednej strony, w rekomendacjach podkreśla się zasadność stosowania rekombinowanych czynników krzepnięcia o przedłużonym działaniu, z drugiej strony, założony przez wnioskodawcę w programie lekowym wariant stosowania leku może okazać się zbyt optymistyczny. Może bowiem istnieć populacja chorych, u których podawanie preparatu o przedłużonym działaniu w postaci iniekcji raz w tygodniu lub raz na 10 dni okaże się niewystarczające. Podkreślił, że choć nie wyklucza włączenia preparatów o przedłużonym działaniu do obecnie funkcjonującego programu lekowego, to z formalnego punktu widzenia nie ma na to przesłanek w badaniach naukowych. Dodał, że rekomendacje światowe uwzględniają możliwość stosowania czynników rekombinowanych w terapii hemofilii, jednak obecnie preparat jest rekomendowany do refundacji tylko w 3 państwach europejskich: w Niemczech, Holandii i Wielkiej Brytanii. Nie jest on refundowany w Szwecji, z której pochodzi producent preparatu.

Tomasz Pasierski zauważył, że Szwecja jest światowym modelem w zakresie najlepszej opieki nad hemofilią. Był to pierwszy kraj, w którym zaczęto stosować profilaktycznie czynniki krzepnięcia. Znamienne jest zatem to, że nie stosuje się tam preparatów długodziałających.

Następnie, analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.4351.26.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Alprolix (eftrenonakog alfa) w ramach programu lekowego: »Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)«”.

Lucjusz Jakubowski przedstawił swoje wątpliwości odnośnie opiniowanego wniosku. Zaznaczył, że w analizie ekonomicznej istnieją niespójności. Co więcej, nie jest jasne, czy może być ona prawidłowo przeprowadzona w oparciu o zaproponowane zapisy programu lekowego, który adresowany jest do chorych zarówno z hemofilią A, jak i B i przewiduje pierwotną i wtórną profilaktykę krwawień dla czynnika IX stosowanego w hemofilii B. W ramach profilaktyki pierwotnej przewiduje podawanie czynnika osoczopochodnego lub rekombinowanego - 30-60 jednostek międzynarodowych 1-2 razy w tygodniu, a w przypadku, w którym będzie to koncentrat o przedłużonym działaniu - 50 jednostek międzynarodowych co tydzień albo 100 jednostek międzynarodowych co 10 dni, co wydaje się założeniem optymistycznym, które nie potwierdza się w szeregu indywidualnych przypadków. W profilaktyce wtórnej stosowanie dotychczas refundowanych preparatów jest dosyć dokładnie rozpisane. Jest bardzo precyzyjnie określone, niezależnie od tego, czy preparat działa krótko, czy ma przedłużone działanie. W opiniowanym projekcie dodaje się informację, że dawkowanie rekombinowanego czynnika IX lub o przedłużonym działaniu będzie wynosić 30 do 60 jednostek międzynarodowych na kilogram masy ciała. Nie uwzględnia się ani stanu chorego, ani przyczyny krwawienia, nie ma rozpisania na poszczególne doby do momentu zatrzymania krwawienia. Ta niedoskonałość zapisów może rzutować na dawkowanie i ilość zużytego preparatu w indywidualnych przypadkach, jak również uniemożliwia prawidłową analizę ekonomiczną. Następnie odniósł się do dostępnych wyników badań naukowych, które przeprowadzane były w grupach wiekowych nieadekwatnych do wnioskowanej populacji bądź też wnioskowana populacja stanowiła 9% badanych. Według niego nie ma podstaw do pozytywnego zaopiniowania wniosku.

Andrzej Śliwczyński zgodził się, że dawkowanie czynników krzepnięcia jest bardzo zindywidualizowane, w związku z czym niektórzy pacjenci będą potrzebowali częstszego, a inni rzadszego podawania preparatu.

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

- 1) Alprolix (eftrenonakog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 250 IU, 1 zestaw, kod EAN: 5909991273897 - w wyniku głosowania, 10 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi,
- 2) Alprolix (eftrenonakog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 500 IU, 1 zestaw, kod EAN: 5909991273903 - w wyniku głosowania, 10 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi,
- 3) Alprolix (eftrenonakog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 1 000 IU, 1 zestaw, kod EAN: 5909991273910 - w wyniku głosowania, 10 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi,
- 4) Alprolix (eftrenonakog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 2 000 IU, 1 zestaw, kod EAN: 5909991273927 - w wyniku głosowania, 10 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi,

5) Alprolix (eftrenonakog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 3 000 IU, 1 zestaw, kod EAN: 5909991273934 - w wyniku głosowania, 10 głosów za projektem stanowiska Rady, 0 głosów przeciw projektowi.

Ad 7. Następnie, analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.4350.15.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Lipancrea 16 000 (pancreatinum) we wskazaniu: stany zewnątrzwydzielniczej niewydolności trzustki spowodowane: przewlekłym zapaleniem trzustki, resekcją żołądka, zwężeniem dróg żółciowych spowodowanym chorobą nowotworową”.

Tomasz Pasierski zauważył, że dostępne dowody naukowe nie są przekonujące.

Następnie, swoją propozycję stanowiska przedstawiła Aleksandra Michowicz, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Zaproponowała objęcie leku refundacją wyłącznie w populacji osób dorosłych. Przedstawiona analiza nie pozwala na rozpatrywanie zasadności refundacji leku w populacji pediatrycznej, ponieważ w zakresie skuteczności klinicznej i praktycznej nie odnosi się ona do niej w żaden sposób. Podkreśliła, że opiniowany lek jest generykiem Creonu, a więc nie jest to innowacyjna technologia. Jest to wyciąg zawierający enzymy trzustkowe. Lek jest obecnie refundowany w dwóch innych wskazaniach: mukowiscydoza oraz stan po resekcji trzustki. Preparat Lipancrea nie był dotychczas opiniowany przez Radę, natomiast w podobnych bądź identycznych wskazaniach oceniany był produkt leczniczy Creon, w przypadku którego opinie z 2012 r. oraz 2016 r. były pozytywne. Zaznaczyła, że istnieje 9 rekomendacji postępowania klinicznego, z których wszystkie wskazują na potrzebę stosowania enzymatycznej terapii zastępczej. Zwróciła uwagę na to, że, mimo istnienia alternatywnych technologii medycznych zawierających pankreatynę, żaden lek nie jest obecnie refundowany w ocenianym wskazaniu. Następnie, odniosła się do dostępnych wyników badań, które, mimo pewnych wad (np. zbyt krótki czas trwania, mała populacja), wskazują na skuteczność stosowania pankreatyny. Podkreśliła także, że z uwagi na fakt, iż Lipancrea jest generykiem, w odniesieniu do niej nie ma wskazań refundacyjnych. Istnieją natomiast pozytywne rekomendacje refundacyjne dotyczące leku Creon. Zaznaczyła, że w przypadku opiniowanego wniosku wątpliwości budzi populacja docelowa i związana z nią niepewność w zakresie wpływu wnioskowanej technologii na budżet. W analizie wnioskodawcy nie przedstawiono informacji dotyczących bezpieczeństwa, czy zdarzeń niepożądanych, jednakże długoletnia praktyka kliniczna wskazuje na akceptowalny profil bezpieczeństwa pankreatyny.

Wobec braku innych głosów, 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.

W tym miejscu Tomasz Pasierski zauważył, że istnieje konieczność zwołania obrad Rady w pełnym składzie. Rada powinna omówić zagadnienie wydawania opinii w trybie ratunkowego dostępu do technologii lekowych. Zaproponował, aby przedmiotem obrad był lek Keytruda w czerniaku u pacjenta pediatrycznego omawiany na posiedzeniu w dniu 20 listopada br. Rada jednogłośnie przyjęła propozycję przedstawioną przez Przewodniczącego.

Ad 8. Swoją propozycję opinii przedstawiła Agata Maciejczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii. Zwróciła uwagę, że dostępne są dwa preparaty zawierające opiniowaną substancję czynną i pomimo negatywnej opinii Rady wskazującej na brak dowodów na skuteczność leków we wskazaniach rejestracyjnych, tj. rozpuszczenie kamieni cholesterolowych i marskość wątroby w przebiegu mukowiscydozy, obydwa są refundowane. Obecnie opiniowany wniosek dotyczy wskazań pozarejestracyjnych. Pierwotne stwardniające

zapalenie dróg żółciowych jest chorobą rzadką. Jest to przewlekła choroba cholestatyczna wątroby i dróg żółciowych. Charakteryzuje się wystąpieniem nacieków i włóknienia dróg żółciowych, które prowadzą do ich uszkodzenia. Występuje głównie u młodych mężczyzn chorujących na nieswoiste zapalenie jelit i jest procesem nieodwracalnym, który prowadzi do marskości wątroby i jej powikłań. W przypadku 6 – 12% chorych rozwija się rak dróg żółciowych, natomiast chorzy, u których współwystępuje ona z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego, zagrożeni są rozwojem dysplazji raka okrężnicy. Szacuje się, że w Polsce populacja chorych na pierwotne stwardniające zapalenie dróg żółciowych wynosi od 3200 do 5000 osób. Etiologia choroby nie jest do końca poznana. Za mechanizmem autoimmunologicznym przemawia fakt, że choroba często występuje z innymi chorobami o udowodnionej etiopatogenezie autoimmunologicznej, natomiast przeciwko tej hipotezie przemawia to, że brakuje skuteczności leczenia immunosupresyjnego oraz to, że rzadziej dotyka ona kobiet. Podkreśliła, że kwestia ta jest o tyle ważna, że pomysł podawania kwasu ursodeoksycholowego opiera się na przeświadczeniu, iż jest to lek wpływający na regulowanie procesów autoimmunologicznych.

Tomasz Pasierski zapytał, czy substancja wiąże kwasy żółciowe i zmniejsza świąd.

Agata Maciejczyk potwierdziła, ale zaznaczyła również, że wpływa ona także na regulację procesów immunologicznych i właśnie to działanie leku ma umożliwiać stosowanie leku w opiniowanej chorobie. Podkreśliła, że nie ma skutecznego leczenia pierwotnego stwardniającego zapalenia dróg żółciowych. Leczenie kwasem jest nieskuteczne. U chorych, u których dominuje zwężenie dróg żółciowych leczeniem z wyboru jest rozszerzenie endoskopowe, a chorzy z niewydolnością wątroby albo podejrzeniem raka dróg żółciowych są kandydatami do przeszczepiania wątroby. Szacuje się, że około połowa chorych po 10-15 latach wymaga przeszczepiania wątroby. Wytyczne klinicznie nie wskazują jednoznacznie na korzyści z leczenia farmakologicznego. Podkreślić jednak należy, że operacja endoskopowa przeszczepiania wątroby może zostać przeprowadzona tylko w wybranej grupie pacjentów z zaawansowanym stadium choroby, nie istnieje zatem alternatywą dla kwasu ursodeoksycholowego, ponieważ nie ma innych leków, które można byłoby podawać pacjentom. Zaznaczyła, że wyniki randomizowanych badań klinicznych wskazują, iż kwas ursodeoksycholowy nie jest technologią bardziej skuteczną od placebo w odniesieniu do istotnych klinicznie punktów końcowych, czyli zmniejszenia śmiertelności, konieczności przeprowadzenia przeszczepiania wątroby, poprawy objawów i obrazu cholangriograficznego oraz ryzyka rozwoju nowotworów przewodów żółciowych. Pozytywne są jedynie surogatowe punkty końcowe tj.: zmniejszenie aktywności enzymów wątrobowych i poziomu bilirubiny, jednakże nie ma powiązania z istotnymi punktami klinicznymi. Zaproponowała opinię negatywną.

Tomasz Pasierski, biorąc pod uwagę brak dowodów naukowych, poparł opinię negatywną.

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 9. 1) Swoją propozycję opinii przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii. Zwróciła uwagę, że identyczny program otrzymał pozytywną rekomendację Prezesa AOTMiT w 2012 roku i był już realizowany w powiecie starogardzkim w latach 2012-2017. Populację docelową stanowią 12-letnie dziewczynki. Projekt zakłada przeprowadzenie akcji informacyjno – edukacyjnej skierowanej zarówno do ww. populacji, jak i do chłopców oraz opiekunów. Wnioskodawca zaplanował zastosowanie wśród dziewcząt z populacji docelowej szczepionki przeciw zakażeniom wirusem HPV typu 16 i 18. Program stanowi uzupełnienie świadczeń gwarantowanych, szczepienie przeciwko HPV jest bowiem szczepieniem

zalecanym. Następnie, odniosła się do elementów projektu wymagających poprawy. Podkreśliła, że przeformułowania wymaga cel główny, gdyż nie jest możliwy do osiągnięcia podczas trwania programu. Doprecyzować należy liczbę rodziców kwalifikujących się do programu w zakresie działań edukacyjnych. Pewne niejasności związane są także z kosztami. Zapisy programu mówią, że finansowany będzie on ze środków finansowych poszczególnych gmin z terenu powiatu, możliwa jest także dotacja z funduszy unijnych, z województwa lub z organizacji pozarządowych.

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.

2) Swoją propozycję opinii przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii. Program adresowany jest do osób powyżej 65 roku życia. Lata realizacji wyznaczono na lata 2017-2018. Zaproponowała opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT. Wadą programu jest brak zaplanowanych działań edukacyjnych, które są zalecane zarówno przez ekspertów klinicznych, jak i rekomendacje. Ponadto, doprecyzowania wymagają cele i 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.

3) Swoją propozycję opinii przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii. Program stanowi kontynuację wcześniejszych programów. Populacja docelowa obejmuje osoby powyżej 65 roku życia. Realizację programu zaplanowano na lata 2017-2020. Wnioskodawca zakłada zaszczepienie na gripę sezonową około 10% populacji, co uwiarygadniają wyniki wcześniej realizowanych programów, w których odsetek zaszczepionych wynosił od 8,2% do 8,4% w 2014 roku.

Tomasz Pasiński zauważył, że problem przychodzenia ludzi na szczepienia jest bardzo powszechny. W Danii tylko 20% dziewczynek było szczepionych przeciwko HPV, które jest szczepieniem państwowym. Dopiero przeprowadzenie akcji internetowej zwiększyło ten odsetek.

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) Swoją propozycję opinii przedstawił Konrad Maruszczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii. Program został kiepsko przygotowany. Wiele kwestii jest niedoprecyzowanych, pominiętych lub błędnie opisanych. Nie jest zbieżna liczba osób mogących wziąć udział w programie zadeklarowana w projekcie i wynikająca ze sprawozdawczości GUS. Nie są planowane żadne działania edukacyjne, nie ma także budżetu. Brakuje odpowiednio sformułowanych celów i mierników efektywności. Nie wiadomo także, w jakich miesiącach szczepienia miałyby być realizowane. Zaproponował opinię negatywną.

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) Swoją propozycję opinii przedstawił Konrad Maruszczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii. Podkreślił, że w projekcie nie przewidziano działań edukacyjnych, nieprecyzyjnie określono liczbę osób, które miałyby być objęta programem, brakuje także informacji o kosztach jednostkowych. Zaproponował opinię negatywną.

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) Swoją propozycję opinii przedstawił Zbigniew Szawarski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii. Zaproponował opinię negatywną. Zauważył, że Rada nie rekomenduje stosowania badań przesiewowych w kierunku wczesnego wykrycia raka piersi metodą USG, ponieważ w świetle najnowszych badań nie ma wystarczającej pewności, czy przynoszą one więcej pożytku niż szkody. Tego typu działania mają znikomy wpływ na ogólne zmniejszenie śmiertelności z powodu raka piersi. Mają natomiast wiele nieprzewidywanych i szkodliwych psychologicznych skutków ubocznych, spowodowanych przez nadmierną liczbę wyników fałszywie pozytywnych.

Tomasz Pasierski zauważył, że badanie USG jest mniej czułe niż mammografia i może nie wykryć nowotworu.

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) Swoją propozycję opinii przedstawił Zbigniew Szawarski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii. Zaproponował opinię negatywną. Według niego nie ma sensu zaplanowany w projekcie instruktaż samobadania piersi u młodych dziewcząt po gimnazjum.

Tomasz Pasierski zauważył, że w przypadku wykrycia guzka podczas samobadania młoda dziewczyna będzie przerażona, że ma raka, a prawdopodobnie będzie to fibroma. Częstość występowania raka w tej populacji jest bardzo niska.

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.

8) Swoją propozycję opinii przedstawił Andrzej Śliwczyński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii. Z uwagi na to, że program jest dobrze napisany zaproponował opinię pozytywną. Projekt zakłada ciekawe interwencje, polegające nie tylko na wykonywaniu badań pozwalających na stwierdzenie wad postawy u dzieci, ale także na przeprowadzeniu ćwiczeń korekcyjnych. Program ma objąć wszystkie dzieci z klas pierwszych (8600 dzieci w ciągu 3 lat trwania programu). Przyznał, że wytyczne wskazują na zasadność wykonywania tego typu badań u starszych dzieci, jednakże program jest na tyle dobrze opracowany, że warty jest poparcia.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami za projektem opinii Rady, przy 3 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

9) Swoją propozycję opinii przedstawił Andrzej Śliwczyński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii. zaproponował opinię negatywną, ponieważ program zakłada wykonywanie interwencji powielających świadczenia gwarantowane. Program sprawia wrażenie niedokończonego projektu, głównie z uwagi na to, że zaplanowane interwencje polegają wyłącznie na badaniu przez pielęgniarki szkolne i przeprowadzeniu akcji edukacyjnej.

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 10. Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 04.12.2017 r.

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

Protokół sporządził Tomasz Pasierski
Przewodniczący Rady Przejrzystości

.....
(data i podpis)

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem żółtym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Celgene Europe Limited).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Celgene Europe Limited o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Celgene Europe Limited



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 121/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku
w sprawie oceny leku VIDAZA (azacytydyna)
kod EAN: 5909990682706, we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa
(AML) z >30% blastów w szpiku, zgodnie z klasyfikacją WHO

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Vidaza (azacytydyna) 25 mg/ml, proszek do sporządzania zawiesiny do wstrzykiwań; biały liofilizowany proszek, 1 fiol. a 100mg, EAN 5909990682706, we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa (AML) z >30% blastów w szpiku, zgodnie z klasyfikacją WHO, w grupie chorych powyżej 65. r.ż. z dużym ryzykiem cytogenetycznym, niekwalifikujących się do przeszczepu komórek macierzystych, w ramach istniejącej grupy limitowej, jako leku stosowanego w ramach chemioterapii i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości nie akceptuje propozycji instrumentu dzielenia ryzyka.

Uzasadnienie

Vidaza lek hipometylujący stanowi alternatywę do tradycyjnie stosowanej w tym wskazaniu intensywnej chemioterapii (antracykliny + arabinozyd cytozyny), która stanowi opcję dla chorych ze sprawnością 0-2 ECOG. Niektóre wytyczne ograniczają stosowanie leku do grupy chorych nie kwalifikujących się do przeszczepu komórek macierzystych.

Dowody naukowe na skuteczność i bezpieczeństwo pochodzą z badań uwzględniających szersze wskazania, ale wydaje się, że można je bezpiecznie ekstrapolować na wnioskowaną populację.

Lek nie jest efektywny kosztowo, pomimo zastosowania mechanizmu podziału ryzyka.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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.4352.2.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku VIDAZA (azacytydyna) we wskazaniu: Ostra białaczka szpikowa (AML) z >30% blastów w szpiku, zgodnie z klasyfikacją WHO”. Data ukończenia: 27.10.2017.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 122/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku

w sprawie oceny leku Ofev (nintedanib) kod EAN: 5909991206444,
w ramach programu lekowego „Leczenie idiopatycznego włóknienia
płuc z zastosowaniem nintedanibu (ICD-10 J 84.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Ofev (nintedanib), 100 mg; kapsułki miękkie; 60 kapsułek; kod EAN: 5909991206444, w ramach programu lekowego „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc z zastosowaniem nintedanibu (ICD-10 J 84.1)”.

Jednocześnie Rada uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Ofev (nintedanib), 100 mg; kapsułki miękkie; 60 kapsułek; kod EAN: 5909991206444, w ramach istniejącego programu lekowego „Leczenie Idiopatycznego Włóknienia Płuc (ICD-10 J84.1)”, w ramach osobnej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości akceptuje instrument dzielenia ryzyka pod warunkiem, że koszt terapii nintedanibem nie będzie wyższy niż koszt terapii pirfenidonem.

Uzasadnienie

Idiopatyczne włóknienie płuc (IPF) jest specyficzną postacią śródmiąższowego zapalenia płuc, przebiegającego z włóknieniem. Choroba ma charakter przewlekły i postępujący z niekorzystnym rokowaniem. Średni czas przeżycia wynosi około 3 lat (2,5-3,5) od chwili postawienia rozpoznania. Podczas przebiegu choroby mogą występować zaostrzenia, charakteryzujące się złym rokowaniem i znaczną śmiertelnością (80 – 90%). W chwili obecnej w Polsce w farmakologicznym leczeniu idiopatycznego włóknienia płuc stosuje się pirfenidon (w ramach programu lekowego). Stosowanie innych środków w tym azatiopryny, kolchicyny, cyklosporyny, bosentanu, imatynibu oraz glikokortykosteroidów jest nieskuteczne i/lub niezalecane. Alternatywnymi metodami postępowania są transplantacja płuc oraz opieka paliatywna obejmująca tlenoterapię, rehabilitację oraz leki objawowe (przeciwkaszłowe i łagodzące duszność).

Przedmiotem oceny jest stosowanie nintedanibu w ramach programu lekowego w leczeniu idiopatycznego włóknienia płuc. Dostępne dane kliniczne pochodzące z 3 randomizowanych badań klinicznych wysokiej jakości (INPULSIS-1, INPULSIS-



2, TOMORROW) wskazują, że stosowanie nintedanibu w porównaniu z placebo wiąże się z istotnym statystycznie zwolnieniem spadku natężonej pojemności życiowej płuc (FVC) wyrażoną zarówno jako odsetek wartości wyjściowej (%), jak i w wartościach bezwzględnych (ml). Metaanaliza danych pochodzących z tych badań również wykazała mniejszy roczny spadek FVC u pacjentów leczonych nintedanibem w porównaniu z pacjentami z grupy placebo, a także niższy odsetek pacjentów z pogorszeniem o więcej niż 5% w zakresie parametru FVC.

Wykazany w metaanalizie istotny statystycznie wpływ leczenia na ryzyko zgonu z dowolnej przyczyny, jak również na ryzyko zgonu z przyczyn związanych z układem oddechowym może budzić pewne wątpliwości z powodu wspólnego szacowania pacjentów leczonych różnymi dawkami nintedanibu. Analiza wpływu terapii na jakość życia nie dała spójnych wyników. Wykazano istotne mniejsze pogorszenie jakości życia w grupie leczonej nintedanibem w porównaniu z placebo w badaniu INPULSIS-2 przy równoczesnym braku istotnej różnicy między grupami w badaniu INPULSIS-1. Wstępne wyniki dotyczące skuteczności leczenia nintedanibem, w fazie przedłużonej badań, INPULSIS potwierdzają długookresową skuteczność nintedanibu pod względem opóźnienia progresji choroby.

Metaanaliza wyników badań, w zakresie częstości występowania zdarzeń niepożądanych, wykazała brak istotnej różnicy w częstości występowania poważnych zdarzeń niepożądanych, ciężkich zdarzeń niepożądanych oraz zdarzeń niepożądanych prowadzących do zgonu u pacjentów w grupie stosującej nintedanib w porównaniu z grupą placebo. Wykazała natomiast istotnie częstsze występowanie podwyższonego poziomu ALT i/lub AST ($\geq 3 \times \text{ULN}$) i ($\geq 5 \times \text{ULN}$). Przeprowadzone porównanie pośrednie nintedanibu i pirfenidonu nie wykazało istotnych statystycznie różnic pod względem efektywności i bezpieczeństwa stosowanych terapii poza istotnie większym ryzykiem wystąpienia biegunki w grupie otrzymującej nintedanib oraz istotnie większym ryzykiem wystąpienia zmęczenia w przypadku pirfenidonu.

Najnowsze wytyczne kliniczne (NICE 2017, SEPAR 2017, DGP/AWMF 2017, SPP 2016, ATS/ERS/JRS/ALAT 2015) zgodnie rekomendują stosowanie nintedanibu i pirfenidonu w leczeniu idiopatycznego włóknienia płuc. Jedynie w ocenie Prescrire (2016) stosowanie nintedanibu w leczeniu IPF jest związane z większą szkodą dla pacjenta, niż z uzyskiwanymi korzyściami leczniczymi. Rekomendacje refundacyjne również w większości przypadków są pozytywne ze zwróceniem szczególnej uwagi na podobny lub niższy koszt leczenia w porównaniu z pirfenidonem. W rekomendacjach negatywnych zwraca się głównie uwagę na brak efektywności kosztowej nintedanibu.

Analizę ekonomiczną przeprowadzono metodą minimalizacji kosztów w porównaniu do kosztów leczenia pirfenidonem. Wyniki analizy wykazały,

że koszty całkowite terapii nintedanibem wyniosły [redacted] i były niższe od kosztów terapii pirfenidonem o [redacted] (z RSS). Współczynnik CER dla nintedanibu wyniósł [redacted]/QALY i był niższy od współczynnika CER dla pirfenidonu o [redacted]/QALY (z RSS). W analizie wpływu budżet wykazano, że koszt stosowania nintedanibu (z RSS) wyniesie [redacted] w 1. roku; [redacted] w 2. roku; [redacted] w 3. roku i [redacted] w 4. roku finansowania. Wprowadzenie finansowania nintedanibu (z RSS) będzie wiązało się z: oszczędnościami NFZ wynoszącymi: [redacted] w 1. roku; [redacted] w 2. roku; [redacted] w 3. roku i [redacted] w 4. roku refundacji.

Podsumowując, wyniki badań klinicznych, pomimo braku bezpośrednich dowodów dotyczących wpływu na przeżycie, wskazują na użyteczność nintedanibu w leczeniu idiopatycznego włóknienia płuc, przy równoczesnym akceptowalnym profilu bezpieczeństwa. Wytyczne kliniczne oraz eksperci kliniczni zgodnie rekomendują stosowanie nintedanibu we wnioskowanym wskazaniu.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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.4351.31.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Ofev (nintedanib) w ramach programu lekowego: »Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc z zastosowaniem nintedanibu (ICD-10 J 84.1)«”. Data ukończenia: 27.10.2017 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem żółtym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Boehringer Ingelheim Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Boehringer Ingelheim Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Boehringer Ingelheim Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 122/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku

w sprawie oceny leku Ofev (nintedanib) kod EAN: 5909991206444,
w ramach programu lekowego „Leczenie idiopatycznego włóknienia
płuc z zastosowaniem nintedanibu (ICD-10 J 84.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Ofev (nintedanib), 100 mg; kapsułki miękkie; 60 kapsułek; kod EAN: 5909991206444, w ramach programu lekowego „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc z zastosowaniem nintedanibu (ICD-10 J 84.1)”.

Jednocześnie Rada uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Ofev (nintedanib), 100 mg; kapsułki miękkie; 60 kapsułek; kod EAN: 5909991206444, w ramach istniejącego programu lekowego „Leczenie Idiopatycznego Włóknienia Płuc (ICD-10 J84.1)”, w ramach osobnej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości akceptuje instrument dzielenia ryzyka pod warunkiem, że koszt terapii nintedanibem nie będzie wyższy niż koszt terapii pirfenidonem.

Uzasadnienie

Idiopatyczne włóknienie płuc (IPF) jest specyficzną postacią śródmiąższowego zapalenia płuc, przebiegającego z włóknieniem. Choroba ma charakter przewlekły i postępujący z niekorzystnym rokowaniem. Średni czas przeżycia wynosi około 3 lat (2,5-3,5) od chwili postawienia rozpoznania. Podczas przebiegu choroby mogą występować zaostrzenia, charakteryzujące się złym rokowaniem i znaczną śmiertelnością (80 – 90%). W chwili obecnej w Polsce w farmakologicznym leczeniu idiopatycznego włóknienia płuc stosuje się pirfenidon (w ramach programu lekowego). Stosowanie innych środków w tym azatiopryny, kolchicyny, cyklosporyny, bosentanu, imatynibu oraz glikokortykosteroidów jest nieskuteczne i/lub niezalecane. Alternatywnymi metodami postępowania są transplantacja płuc oraz opieka paliatywna obejmująca tlenoterapię, rehabilitację oraz leki objawowe (przeciwkaszłowe i łagodzące duszność).

Przedmiotem oceny jest stosowanie nintedanibu w ramach programu lekowego w leczeniu idiopatycznego włóknienia płuc. Dostępne dane kliniczne pochodzące z 3 randomizowanych badań klinicznych wysokiej jakości (INPULSIS-1, INPULSIS-



2, TOMORROW) wskazują, że stosowanie nintedanibu w porównaniu z placebo wiąże się z istotnym statystycznie zwolnieniem spadku natężonej pojemności życiowej płuc (FVC) wyrażoną zarówno jako odsetek wartości wyjściowej (%), jak i w wartościach bezwzględnych (ml). Metaanaliza danych pochodzących z tych badań również wykazała mniejszy roczny spadek FVC u pacjentów leczonych nintedanibem w porównaniu z pacjentami z grupy placebo, a także niższy odsetek pacjentów z pogorszeniem o więcej niż 5% w zakresie parametru FVC.

Wykazany w metaanalizie istotny statystycznie wpływ leczenia na ryzyko zgonu z dowolnej przyczyny, jak również na ryzyko zgonu z przyczyn związanych z układem oddechowym może budzić pewne wątpliwości z powodu wspólnego szacowania pacjentów leczonych różnymi dawkami nintedanibu. Analiza wpływu terapii na jakość życia nie dała spójnych wyników. Wykazano istotne mniejsze pogorszenie jakości życia w grupie leczonej nintedanibem w porównaniu z placebo w badaniu INPULSIS-2 przy równoczesnym braku istotnej różnicy między grupami w badaniu INPULSIS-1. Wstępne wyniki dotyczące skuteczności leczenia nintedanibem, w fazie przedłużonej badań, INPULSIS potwierdzają długookresową skuteczność nintedanibu pod względem opóźnienia progresji choroby.

Metaanaliza wyników badań, w zakresie częstości występowania zdarzeń niepożądanych, wykazała brak istotnej różnicy w częstości występowania poważnych zdarzeń niepożądanych, ciężkich zdarzeń niepożądanych oraz zdarzeń niepożądanych prowadzących do zgonu u pacjentów w grupie stosującej nintedanib w porównaniu z grupą placebo. Wykazała natomiast istotnie częstsze występowanie podwyższonego poziomu ALT i/lub AST ($\geq 3 \times \text{ULN}$) i ($\geq 5 \times \text{ULN}$). Przeprowadzone porównanie pośrednie nintedanibu i pirfenidonu nie wykazało istotnych statystycznie różnic pod względem efektywności i bezpieczeństwa stosowanych terapii poza istotnie większym ryzykiem wystąpienia biegunki w grupie otrzymującej nintedanib oraz istotnie większym ryzykiem wystąpienia zmęczenia w przypadku pirfenidonu.

Najnowsze wytyczne kliniczne (NICE 2017, SEPAR 2017, DGP/AWMF 2017, SPP 2016, ATS/ERS/JRS/ALAT 2015) zgodnie rekomendują stosowanie nintedanibu i pirfenidonu w leczeniu idiopatycznego włóknienia płuc. Jedynie w ocenie Prescrire (2016) stosowanie nintedanibu w leczeniu IPF jest związane z większą szkodą dla pacjenta, niż z uzyskiwanymi korzyściami leczniczymi. Rekomendacje refundacyjne również w większości przypadków są pozytywne ze zwróceniem szczególnej uwagi na podobny lub niższy koszt leczenia w porównaniu z pirfenidonem. W rekomendacjach negatywnych zwraca się głównie uwagę na brak efektywności kosztowej nintedanibu.

Analizę ekonomiczną przeprowadzono metodą minimalizacji kosztów w porównaniu do kosztów leczenia pirfenidonem. Wyniki analizy wykazały,

że koszty całkowite terapii nintedanibem wyniosły [redacted] i były niższe od kosztów terapii pirfenidonem o [redacted] (z RSS). Współczynnik CER dla nintedanibu wyniósł [redacted]/QALY i był niższy od współczynnika CER dla pirfenidonu o [redacted]/QALY (z RSS). W analizie wpływu budżet wykazano, że koszt stosowania nintedanibu (z RSS) wyniesie [redacted] w 1. roku; [redacted] w 2. roku; [redacted] w 3. roku i [redacted] w 4. roku finansowania. Wprowadzenie finansowania nintedanibu (z RSS) będzie wiązało się z: oszczędnościami NFZ wynoszącymi: [redacted] w 1. roku; [redacted] w 2. roku; [redacted] w 3. roku i [redacted] w 4. roku refundacji.

Podsumowując, wyniki badań klinicznych, pomimo braku bezpośrednich dowodów dotyczących wpływu na przeżycie, wskazują na użyteczność nintedanibu w leczeniu idiopatycznego włóknienia płuc, przy równoczesnym akceptowalnym profilu bezpieczeństwa. Wytyczne kliniczne oraz eksperci kliniczni zgodnie rekomendują stosowanie nintedanibu we wnioskowanym wskazaniu.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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.4351.31.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Ofev (nintedanib) w ramach programu lekowego: »Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc z zastosowaniem nintedanibu (ICD-10 J 84.1)«”. Data ukończenia: 27.10.2017 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem żółtym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Boehringer Ingelheim Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Boehringer Ingelheim Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Boehringer Ingelheim Sp. z o.o.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem żółtym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Boehringer Ingelheim Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Boehringer Ingelheim Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Boehringer Ingelheim Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 124/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku
w sprawie oceny leku Alprolix (eftrenonakog alfa)
kod EAN: 5909991273897, w ramach programu lekowego
„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B
(ICD-10 D66, D67)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Alprolix (eftrenonakog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 250 IU, 1 zestaw, kod EAN: 5909991273897, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)”.

Uzasadnienie

Problem zdrowotny jest znany i dobrze zdefiniowany. Populacja chorych oraz liczba wykonywanych u nich świadczeń jest dokładnie określona na podstawie danych sprawozdawczych posiadanych przez płatnika publicznego oraz dzięki rejestrowi Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. Świadczenia realizowane są w ramach programu lekowego B.15 „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)”. Program ten wpisuje się w założenia „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne” w Polsce. W dostępnych doniesieniach naukowych oraz w opiniach ekspertów dominuje pogląd o koniecznym zindywidualizowaniu dawkowania czynników krzepnięcia zależnie od wieku, masy ciała, indywidualnej farmakokinetyki działania podanych czynników, cech charakterologicznych dziecka i związanego z tym trybem życia. Pacjenci wymagają stałej obserwacji i indywidualnego dostosowywania dawek zależnie od potrzeb. W dostępnych rekomendacjach od szeregu lat zwraca się również uwagę na konieczność zastępowania czynników krzepnięcia pochodzenia osocznego czynnikami rekombinowanymi, ze względu na większe bezpieczeństwo ich stosowania, choć wciąż wysokie ceny zbytu. Czynniki rekombinowane o przedłużonym okresie biologicznego półtrwania, a tym samym przedłużonym działaniu, są pewnego rodzaju nowością. Lek opiniowany przez Radę jest obecnie refundowany jedynie w 3 państwach europejskich. Dla części chorych stanowi o szansie mniejszej liczby iniekcji dożylnych w długoterminowej profilaktyce krwawień. Wydaje się jednak, że odstęp



czasowy między kolejnymi iniekcjami podany w projekcie programu lekowego może być określony zbyt optymistycznie w indywidualnych przypadkach i nie znajduje potwierdzenia w praktyce klinicznej. Zwraca również uwagę fakt, że wśród wyników badań naukowych brak jest dotychczas doniesień dotyczących populacji odpowiadającej strukturą wiekową populacji określonej w programie lekowym, w ramach którego miałyby zastosowanie wnioskowana technologia. Istniejące dowody naukowe dotyczą, w poszczególnych doniesieniach, grup pacjentów bardzo zróżnicowanych wiekowo. Nie zawsze w sposób jednoznaczny podawane są informacje, czy badania dotyczyły chorych nowodiagnostowanych i nie poddawanych dotychczas terapii innymi preparatami zawierającymi czynniki krzepnięcia. Brak jest bezpośrednich badań porównawczych z komparatorami aktualnie stosowanymi w ramach programu lekowego B.15. Dostępne wyniki badań dotyczą niejednokrotnie różnych punktów końcowych, choć wydaje się, że u części chorych stosowanie wnioskowanej technologii może wpłynąć na mniejszą liczbę krwawień w skali roku. Nie ma też podstaw aby sądzić, że profil bezpieczeństwa opiniowanego leku odbiegał w istotny sposób od profilu działań niepożądanych obecnie wykorzystywanych komparatorów.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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.4351.26.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Alprolix (eftrenonakog alfa) w ramach programu lekowego: »Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)«”. Data ukończenia: 27 października 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 125/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku
w sprawie oceny leku Alprolix (eftrenonakog alfa)
kod EAN: 5909991273903, w ramach programu lekowego
„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B
(ICD-10 D66, D67)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Alprolix (eftrenonakog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 500 IU, 1 zestaw, kod EAN: 5909991273903, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)”.

Uzasadnienie

Problem zdrowotny jest znany i dobrze zdefiniowany. Populacja chorych oraz liczba wykonywanych u nich świadczeń jest dokładnie określona na podstawie danych sprawozdawczych posiadanych przez płatnika publicznego oraz dzięki rejestrowi Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. Świadczenia realizowane są w ramach programu lekowego B.15 „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)”. Program ten wpisuje się w założenia „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne” w Polsce. W dostępnych doniesieniach naukowych oraz w opiniach ekspertów dominuje pogląd o koniecznym zindywidualizowaniu dawkowania czynników krzepnięcia zależnie od wieku, masy ciała, indywidualnej farmakokinetyki działania podanych czynników, cech charakterologicznych dziecka i związanego z tym trybem życia. Pacjenci wymagają stałej obserwacji i indywidualnego dostosowywania dawek zależnie od potrzeb. W dostępnych rekomendacjach od szeregu lat zwraca się również uwagę na konieczność zastępowania czynników krzepnięcia pochodzenia osocznego czynnikami rekombinowanymi, ze względu na większe bezpieczeństwo ich stosowania, choć wciąż wysokie ceny zbytu. Czynniki rekombinowane o przedłużonym okresie biologicznego półtrwania, a tym samym przedłużonym działaniu, są pewnego rodzaju nowością. Lek opiniowany przez Radę jest obecnie refundowany jedynie w 3 państwach europejskich. Dla części chorych stanowi o szansie mniejszej liczby iniekcji dożylnych w długoterminowej profilaktyce krwawień. Wydaje się jednak, że odstęp



czasowy między kolejnymi iniekcjami podany w projekcie programu lekowego może być określony zbyt optymistycznie w indywidualnych przypadkach i nie znajduje potwierdzenia w praktyce klinicznej. Zwraca również uwagę fakt, że wśród wyników badań naukowych brak jest dotychczas doniesień dotyczących populacji odpowiadającej strukturą wiekową populacji określonej w programie lekowym, w ramach którego miałyby zastosowanie wnioskowana technologia. Istniejące dowody naukowe dotyczą, w poszczególnych doniesieniach, grup pacjentów bardzo zróżnicowanych wiekowo. Nie zawsze w sposób jednoznaczny podawane są informacje, czy badania dotyczyły chorych nowodiagnostowanych i nie poddawanych dotychczas terapii innymi preparatami zawierającymi czynniki krzepnięcia. Brak jest bezpośrednich badań porównawczych z komparatorami aktualnie stosowanymi w ramach programu lekowego B.15. Dostępne wyniki badań dotyczą niejednokrotnie różnych punktów końcowych, choć wydaje się, że u części chorych stosowanie wnioskowanej technologii może wpłynąć na mniejszą liczbę krwawień w skali roku. Nie ma też podstaw aby sądzić, że profil bezpieczeństwa opiniowanego leku odbiegał w istotny sposób od profilu działań niepożądanych obecnie wykorzystywanych komparatorów.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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.4351.26.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Alprolix (eftrenonakog alfa) w ramach programu lekowego: »Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)«”. Data ukończenia: 27 października 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 126/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku
w sprawie oceny leku Alprolix (eftrenonakog alfa)
kod EAN: 5909991273910, w ramach programu lekowego
„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B
(ICD-10 D66, D67)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Alprolix (eftrenonakog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 1 000 IU, 1 zestaw, kod EAN: 5909991273910, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)”.

Uzasadnienie

Problem zdrowotny jest znany i dobrze zdefiniowany. Populacja chorych oraz liczba wykonywanych u nich świadczeń jest dokładnie określona na podstawie danych sprawozdawczych posiadanych przez płatnika publicznego oraz dzięki rejestrowi Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. Świadczenia realizowane są w ramach programu lekowego B.15 „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)”. Program ten wpisuje się w założenia „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne” w Polsce. W dostępnych doniesieniach naukowych oraz w opiniach ekspertów dominuje pogląd o koniecznym zindywidualizowaniu dawkowania czynników krzepnięcia zależnie od wieku, masy ciała, indywidualnej farmakokinetyki działania podanych czynników, cech charakterologicznych dziecka i związanego z tym trybem życia. Pacjenci wymagają stałej obserwacji i indywidualnego dostosowywania dawek zależnie od potrzeb. W dostępnych rekomendacjach od szeregu lat zwraca się również uwagę na konieczność zastępowania czynników krzepnięcia pochodzenia osocznego czynnikami rekombinowanymi, ze względu na większe bezpieczeństwo ich stosowania, choć wciąż wysokie ceny zbytu. Czynniki rekombinowane o przedłużonym okresie biologicznego półtrwania, a tym samym przedłużonym działaniu, są pewnego rodzaju nowością. Lek opiniowany przez Radę jest obecnie refundowany jedynie w 3 państwach europejskich. Dla części chorych stanowi o szansie mniejszej liczby iniekcji dożylnych w długoterminowej profilaktyce krwawień. Wydaje się jednak, że odstęp



czasowy między kolejnymi iniekcjami podany w projekcie programu lekowego może być określony zbyt optymistycznie w indywidualnych przypadkach i nie znajduje potwierdzenia w praktyce klinicznej. Zwraca również uwagę fakt, że wśród wyników badań naukowych brak jest dotychczas doniesień dotyczących populacji odpowiadającej strukturą wiekową populacji określonej w programie lekowym, w ramach którego miałyby zastosowanie wnioskowana technologia. Istniejące dowody naukowe dotyczą, w poszczególnych doniesieniach, grup pacjentów bardzo zróżnicowanych wiekowo. Nie zawsze w sposób jednoznaczny podawane są informacje, czy badania dotyczyły chorych nowodiagnostowanych i nie poddawanych dotychczas terapii innymi preparatami zawierającymi czynniki krzepnięcia. Brak jest bezpośrednich badań porównawczych z komparatorami aktualnie stosowanymi w ramach programu lekowego B.15. Dostępne wyniki badań dotyczą niejednokrotnie różnych punktów końcowych, choć wydaje się, że u części chorych stosowanie wnioskowanej technologii może wpłynąć na mniejszą liczbę krwawień w skali roku. Nie ma też podstaw aby sądzić, że profil bezpieczeństwa opiniowanego leku odbiegał w istotny sposób od profilu działań niepożądanych obecnie wykorzystywanych komparatorów.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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.4351.26.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Alprolix (eftrenonakog alfa) w ramach programu lekowego: »Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)«”. Data ukończenia: 27 października 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 127/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku
w sprawie oceny leku Alprolix (eftrenonakog alfa)
kod EAN: 5909991273927, w ramach programu lekowego
„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66,
D67)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Alprolix (eftrenonakog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 2 000 IU, 1 zestaw, kod EAN: 5909991273927, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)”.

Uzasadnienie

Problem zdrowotny jest znany i dobrze zdefiniowany. Populacja chorych oraz liczba wykonywanych u nich świadczeń jest dokładnie określona na podstawie danych sprawozdawczych posiadanych przez płatnika publicznego oraz dzięki rejestrowi Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. Świadczenia realizowane są w ramach programu lekowego B.15 „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)”. Program ten wpisuje się w założenia „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne” w Polsce. W dostępnych doniesieniach naukowych oraz w opiniach ekspertów dominuje pogląd o koniecznym zindywidualizowaniu dawkowania czynników krzepnięcia zależnie od wieku, masy ciała, indywidualnej farmakokinetyki działania podanych czynników, cech charakterologicznych dziecka i związanego z tym trybem życia. Pacjenci wymagają stałej obserwacji i indywidualnego dostosowywania dawek zależnie od potrzeb. W dostępnych rekomendacjach od szeregu lat zwraca się również uwagę na konieczność zastępowania czynników krzepnięcia pochodzenia osocznego czynnikami rekombinowanymi, ze względu na większe bezpieczeństwo ich stosowania, choć wciąż wysokie ceny zbytu. Czynniki rekombinowane o przedłużonym okresie biologicznego półtrwania, a tym samym przedłużonym działaniu, są pewnego rodzaju nowością. Lek opiniowany przez Radę jest obecnie refundowany jedynie w 3 państwach europejskich. Dla części chorych stanowi o szansie mniejszej liczby iniekcji dożylnych w długoterminowej profilaktyce krwawień. Wydaje się jednak, że odstęp



czasowy między kolejnymi iniekcjami podany w projekcie programu lekowego może być określony zbyt optymistycznie w indywidualnych przypadkach i nie znajduje potwierdzenia w praktyce klinicznej. Zwraca również uwagę fakt, że wśród wyników badań naukowych brak jest dotychczas doniesień dotyczących populacji odpowiadającej strukturą wiekową populacji określonej w programie lekowym, w ramach którego miałyby zastosowanie wnioskowana technologia. Istniejące dowody naukowe dotyczą, w poszczególnych doniesieniach, grup pacjentów bardzo zróżnicowanych wiekowo. Nie zawsze w sposób jednoznaczny podawane są informacje, czy badania dotyczyły chorych nowodiagnostowanych i nie poddawanych dotychczas terapii innymi preparatami zawierającymi czynniki krzepnięcia. Brak jest bezpośrednich badań porównawczych z komparatorami aktualnie stosowanymi w ramach programu lekowego B.15. Dostępne wyniki badań dotyczą niejednokrotnie różnych punktów końcowych, choć wydaje się, że u części chorych stosowanie wnioskowanej technologii może wpłynąć na mniejszą liczbę krwawień w skali roku. Nie ma też podstaw aby sądzić, że profil bezpieczeństwa opiniowanego leku odbiegał w istotny sposób od profilu działań niepożądanych obecnie wykorzystywanych komparatorów.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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.4351.26.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Alprolix (eftrenonakog alfa) w ramach programu lekowego: »Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)«”. Data ukończenia: 27 października 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 128/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku
w sprawie oceny leku Alprolix (eftrenonakog alfa)
kod EAN: 5909991273934, w ramach programu lekowego
„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66,
D67)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Alprolix (eftrenonakog alfa), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 3 000 IU, 1 zestaw, kod EAN: 5909991273934, w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)”.

Uzasadnienie

Problem zdrowotny jest znany i dobrze zdefiniowany. Populacja chorych oraz liczba wykonywanych u nich świadczeń jest dokładnie określona na podstawie danych sprawozdawczych posiadanych przez płatnika publicznego oraz dzięki rejestrowi Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie. Świadczenia realizowane są w ramach programu lekowego B.15 „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)”. Program ten wpisuje się w założenia „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne” w Polsce. W dostępnych doniesieniach naukowych oraz w opiniach ekspertów dominuje pogląd o koniecznym zindywidualizowaniu dawkowania czynników krzepnięcia zależnie od wieku, masy ciała, indywidualnej farmakokinetyki działania podanych czynników, cech charakterologicznych dziecka i związanego z tym trybem życia. Pacjenci wymagają stałej obserwacji i indywidualnego dostosowywania dawek zależnie od potrzeb. W dostępnych rekomendacjach od szeregu lat zwraca się również uwagę na konieczność zastępowania czynników krzepnięcia pochodzenia osocznego czynnikami rekombinowanymi, ze względu na większe bezpieczeństwo ich stosowania, choć wciąż wysokie ceny zbytu. Czynniki rekombinowane o przedłużonym okresie biologicznego półtrwania, a tym samym przedłużonym działaniu, są pewnego rodzaju nowością. Lek opiniowany przez Radę jest obecnie refundowany jedynie w 3 państwach europejskich. Dla części chorych stanowi o szansie mniejszej liczby iniekcji dożylnych w długoterminowej profilaktyce krwawień. Wydaje się jednak, że odstęp



czasowy między kolejnymi iniekcjami podany w projekcie programu lekowego może być określony zbyt optymistycznie w indywidualnych przypadkach i nie znajduje potwierdzenia w praktyce klinicznej. Zwraca również uwagę fakt, że wśród wyników badań naukowych brak jest dotychczas doniesień dotyczących populacji odpowiadającej strukturą wiekową populacji określonej w programie lekowym, w ramach którego miałyby zastosowanie wnioskowana technologia. Istniejące dowody naukowe dotyczą, w poszczególnych doniesieniach, grup pacjentów bardzo zróżnicowanych wiekowo. Nie zawsze w sposób jednoznaczny podawane są informacje, czy badania dotyczyły chorych nowodiagnostowanych i nie poddawanych dotychczas terapii innymi preparatami zawierającymi czynniki krzepnięcia. Brak jest bezpośrednich badań porównawczych z komparatorami aktualnie stosowanymi w ramach programu lekowego B.15. Dostępne wyniki badań dotyczą niejednokrotnie różnych punktów końcowych, choć wydaje się, że u części chorych stosowanie wnioskowanej technologii może wpłynąć na mniejszą liczbę krwawień w skali roku. Nie ma też podstaw aby sądzić, że profil bezpieczeństwa opiniowanego leku odbiegał w istotny sposób od profilu działań niepożądanych obecnie wykorzystywanych komparatorów.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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.4351.26.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Alprolix (eftrenonakog alfa) w ramach programu lekowego: »Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D66, D67)«”. Data ukończenia: 27 października 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 129/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku
w sprawie oceny leku Lipancrea 16 000 (pankreatyna)
kod EAN: 5909990723164, we wskazaniu: stany
zewnątrzwydzielniczej niewydolności trzustki spowodowane:
przewlekłym zapaleniem trzustki; resekcją żołądka; zwężeniem dróg
żółciowych spowodowanym chorobą nowotworową

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Lipancrea 16 000 (pankreatyna), kaps., 16 000 j. Ph. Eur. Lipazy, 60 kaps., kod EAN: 5909990723164, we wskazaniu: stany zewnątrzwydzielniczej niewydolności trzustki spowodowane: przewlekłym zapaleniem trzustki; resekcją żołądka; zwężeniem dróg żółciowych spowodowanym chorobą nowotworową, w ramach istniejącej grupy limitowej, jako leku dostępnego w aptece na receptę i wydawanie go za odpłatnością w wysokości 30%, pod warunkiem stosowania go jedynie w populacji dorosłych.

Uzasadnienie

Lipancrea 16 000 jest wyciągiem zawierającym zwierzęce enzymy trzustkowe-lipazę, amylazę oraz proteazy uzyskane z trzustek wieprzowych. Wnioskowana technologia została wpisana na listę leków refundowanych w drodze postępowania administracyjnego (Lipancrea 16 000 jako lek generyczny Kreonu 25 000) w ramach grupy limitowej 13.0, we wskazaniach: mukowiscydoza, stan po resekcji trzustki.

W kontekście otrzymanych danych z NFZ oraz przytoczonej opinii eksperta klinicznego należy stwierdzić, że łączna populacja docelowa skalkulowana przez wnioskodawcę w analizie wpływu na budżet wiąże się ze znaczną niepewnością, i w przybliżeniu wyniesie około 4 700 pacjentów w kolejnych latach przyjętego horyzontu czasowego (2018 r. i 2019 r.).

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania odnaleziono 9 rekomendacji postępowania klinicznego.

Niezależnie od przyczyny zewnątrzwydzielniczej niewydolności trzustki rekomendacje wskazują na potrzebę stosowania enzymatycznej terapii zastępczej, gdy u pacjenta występują objawy złego wchłaniania, tj. stolce tłuszczowe oraz niedożywienie prowadzące do utraty masy ciała (PKT 2011,



ESPEN 2016, ESPEN 2006, SPC 2013, GSGDMD 2015, APRP 2015, AISP 2013, NCCN 2017, APC 2015). Alternatywnymi technologiami medycznymi dla leku Lipancrea 16 000 są inne preparaty zawierające pankreatynę, z których żaden nie jest refundowany we wnioskowanych wskazaniach.

W analizie wnioskodawcy dla wskazania stany zewnątrzwydzielniczej niewydolności trzustki (EPI) spowodowane przewlekłym zapaleniem trzustki (CP) przedstawiono wyniki czterech badaniach randomizowanych porównujących pankreatynę z placebo: Thorat 2012, Safdi 2006, O'Keefe 2001, Malesci 1995 oraz wyniki badania obserwacyjnego D'Haese 2014. W dodatkowo włączonym do analizy przez analityków Agencji badaniu Ramesh 2013, trwającej blisko rok kontynuacji open-label jednego z badań randomizowanych przedstawionych przez wnioskodawcę, statystycznie istotne zmiany względem wartości wyjściowej na korzyść pankreatyny zaobserwowano względem takich parametrów jak współczynnik wchłaniania tłuszczu, czy zawartość tłuszczu w stolcu, przekładały się one na wzrost masy ciała pacjentów i wzrost BMI. Na skuteczność pankreatyny wskazują też wyniki prospektywnego badania obserwacyjnego D'Haese. Przedstawione w analizie dowody dotyczące stosowania pankreatyny u pacjentów EPI spowodowanej resekcją żołądka, czy zwężeniem dróg żółciowych przez nowotwór są dużo bardziej ograniczone. Niemniej jednak wyniki badania randomizowanego Bruno 1998 wskazują na korzystny wpływ pankreatyny w porównaniu do placebo pod względem masy ciała pacjentów, co w przypadku pacjentów onkologicznych jest jednym z głównych celów leczenia wspomagającego.

W analizie wnioskodawcy nie przedstawiono informacji dotyczących bezpieczeństwa, czy zdarzeń niepożądanych stosowania pankreatyny u pacjentów w rozpatrywanych wskazaniach. Jednak długoletnia praktyka kliniczna wskazuje na akceptowalny profil bezpieczeństwa pankreatyny u pacjentów.

Według obliczeń analityków Agencji z perspektywy NFZ podjęcie pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego Lipancrea 16 000 (pancreatinum) spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego o ok. 3,3 mln zł zarówno w pierwszym, jak i w drugim roku przyjętego horyzontu czasowego. Z kolei z perspektywy wspólnej spowoduje spadek wydatków o ok. 1,5 mln zł w kolejnych latach przyjętego horyzontu czasowego. Względem analizy podstawowej wnioskodawcy przyjęcie powyższego wariantu powoduje wzrost kosztów inkrementalnych z perspektywy NFZ o ok. 135%.

Nie odnaleziono rekomendacji refundacyjnych dotyczących preparatu Lipancrea 16 000. Odnaleziono rekomendacje refundacyjne dwóch instytucji dotyczące leku oryginalnego dla preparatu Lipancrea, tj. leku Kreon 25 000 – HAS 2016, HAS 2012, HAS 2010 i HAS 2006 PBS 2008. Produkt leczniczy Lipancrea 16 000 nie był dotychczas przedmiotem oceny w AOTMiT, jednak w podobnych

wskazaniach oceniano produkt leczniczy Kreon 25 000 w 2008, 2012 oraz 2016 roku. Opinia Rady Konsultacyjnej z 2008 r. była negatywna ze względu na brak badań klinicznych potwierdzających skuteczność pankreatyny w leczeniu przewlekłego zapalenia trzustki oraz w zaburzeniach wchłaniania po resekcji trzustki. Opinie Rady Przejrzystości z 2012 r. i 2016 r. były pozytywne.

Analiza skuteczności klinicznej i praktycznej przedstawiona przez wnioskodawcę dotyczy wyłącznie pacjentów dorosłych – nie odniesiono się do populacji pediatrycznej. Ocena bezpieczeństwa w populacji pediatrycznej w analizie wnioskodawcy ograniczyła się jedynie do zacytowania fragmentów Charakterystyki Produktu Leczniczego (ChPL) Lipancrea 16 000, a w przystanych uzupełnieniach – dodatkowo ChPL Kreon 25 000. Stąd rozpatrywanie zasadności refundacji leku Lipancrea 16000 w populacji pediatrycznej nie było możliwe.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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.4350.15.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Lipancrea 16 000 (pancreatinum) we wskazaniu: stany zewnątrzwydzielniczej niewydolności trzustki spowodowane: przewlekłym zapaleniem trzustki, resekcją żołądka, zwężeniem dróg żółciowych spowodowanym chorobą nowotworową”. Data ukończenia: 26.10.2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 360/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku

w sprawie substancji czynnej kwas ursodeoksycholowy, we wskazaniu pozarejestacyjnym: pierwotne stwardniające zapalenie dróg żółciowych (PSC)

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną kwas ursodeoksycholowy we wskazaniu pozarejestacyjnym: pierwotne stwardniające zapalenie dróg żółciowych (PSC).

Uzasadnienie

Pierwotne stwardniające zapalenie dróg żółciowych (primary sclerosing cholangitis- PSC) jest rzadką, przewlekłą cholestatyczną chorobą wątroby i dróg żółciowych. Występuje głównie u młodych mężczyzn chorujących na nieswoiste zapalenie jelit i jest procesem nieodwracalnym, prowadzącym do marskości wątroby i jej powikłań. U 6-20% chorych rozwija się rak dróg żółciowych. Chorzy, u których PSC współwystępuje z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) zagrożeni są rozwojem dysplazji i raka okrężnicy.

Zapadalność na PSC na świecie szacuje się na 0,9 do 1,3 przypadków na 100 000 osób. W Polsce populacja chorych może obejmować od 3266 do 4995 osób.

Etiologia choroby nie jest do końca poznana. Za mechanizmem autoimmunologicznym przemawia fakt, że PSC często występuje z innymi chorobami o udowodnionej autoimmunologicznej etiopatogenezie, argumentem przeciw tej hipotezie, jest brak skuteczności leczenia immunosupresyjnego i to, że choroba rzadziej dotyka kobiet.

Nie ma skutecznego leczenia PSC. Leczenie farmakologiczne kwasem ursodeoksycholowym (UDCA- ursodeoxycholic acid) jest nieskuteczne. U chorych z PSC i „dominującym” zwężeniem dróg żółciowych leczeniem z wyboru jest rozszerzenie endoskopowe. Chorzy z PSC i niewydolnością wątroby albo podejrzeniem raka dróg żółciowych są kandydatami do przeszczepiania wątroby.

Wytyczne kliniczne nie wskazują jednoznacznie na korzyści leczenia farmakologicznego. Zalecane interwencje (operacja endoskopowa, przeszczepienie wątroby) mogą zostać przeprowadzone tylko u wybranych



pacjentów w zaawansowanym stadium choroby. Postępowaniem, jakie może zostać zastąpione przez podawanie UDCA jest obserwacja pacjentów.

Wyniki 5 przeglądów systematycznych (Saffioti 2017, Zhu 2015, Othman 2012, Poroprat 2011, Shi 2009), obejmujących 9 randomizowanych badań klinicznych wskazują, że UDCA nie jest technologią bardziej skuteczną od placebo w odniesieniu do zmniejszenia śmiertelności, konieczności przeprowadzenia przeszczepienia wątroby, poprawy objawów i obrazu cholangiograficznego, ryzyka rozwoju nowotworów przewodów żółciowych. Wyniki badań przemawiające na korzyść leku dotyczą surogatowych punktów końcowych - zmniejszenia aktywności ALP, AST, GGTP i poziomu bilirubiny, których związek z istotnymi klinicznie punktami końcowymi nie został udowodniony w badaniach. Na podstawie dostępnych badań nie można ocenić skuteczności stosowania UDCA w subpopulacji dotkniętej jednocześnie PSC i WZJG. W przeglądzie nie uwzględniono również, jako punktu końcowego, ryzyka rozwoju nowotworu jelita grubego.

W badaniu Olsson 2005, w którym oceniano m.in. jakość życia, nie stwierdzono istotnych statystycznie różnic pomiędzy grupami przyjmującymi UDCA i placebo. W wieloletnich, wielośrodkowych badaniach nad skutecznością dużych dawek UDCA wykazano, że pomimo poprawy parametrów laboratoryjnych końcowy efekt leczenia był gorszy niż w grupie kontrolnej (u większej liczby chorych rozwinęła się marskość wątroby, żylaki przełyku, rak dróg żółciowych, było więcej przeciwwskazań do przeszczepienia wątroby). W wyniku tych doniesień American College of Gastroenterology 2015 sformułował przeciwwskazania do stosowania dawek powyżej 28 mg/kg/dobę. Amerykańskie Towarzystwo do Badań Chorób Wątroby (AASLD, American Association for the Study of Liver Disease) w zaleceniach z 2010 r. nie rekomendowało stosowaniu tego leku w PSC.

Istnieją rozbieżności między stanowiskiem towarzystwa europejskiego (European Association for the Study of the Liver- EASL) z 2009 r. i amerykańskiego AASLD z 2010 r. w kwestii stosowania UDCA w prewencji raka jelita grubego u chorych z PSC. Europejskie Towarzystwo do Badań nad Wątrobą dopuszcza, a AASLD nie zaleca takiego postępowania.

Sekcja Hepatologiczna Polskiego Towarzystwa Gastroenterologii z 2013 r., uwzględniając wytyczne europejskie stwierdziła, że brak jest jednoznacznych rekomendacji do stosowania UDCA w leczeniu PSC. Lek w dawce 15-20 mg/kg/dobę poprawia parametry biochemiczne, ale pozostaje bez wpływu na czas przeżycia. Zastosowanie UDCA należy rozważyć, szczególnie u chorych z PSC z wysokim ryzykiem wystąpienia raka jelita grubego. Wniosek, że UDCA może wpływać na zmniejszenie ryzyka wystąpienia nowotworu jelita grubego u pacjentów z PSC sformułowano na podstawie dowodów niskiej jakości.

Nie odnaleziono rekomendacji refundacyjnych dla UDCA w PSC.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLA.4604.732.2017.2.MB z dnia 23.10.2017 r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie substancji czynnej kwas ursodeoksycholowy, we wskazaniu pozarejestryjnym: pierwotne stwardniające zapalenie dróg żółciowych (PSC).

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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 objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr OT.4321.6.2017 „Kwas ursodeoksycholowy we wskazaniu: pierwotne stwardniające zapalenie dróg żółciowych (PSC)”. Data ukończenia: 2 listopada 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 361/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku
o projekcie programu „Powiatowy program profilaktyki zakażeń
wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) na lata 2018-2022”
(pow. starogardzki)

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Powiatowy program profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) na lata 2018-2022” (pow. starogardzki), pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Program jest kontynuacją Powiatowego Programu Polityki Zakażeń Wirusem Brodawczaka Ludzkiego (HPV) na lata 2012-2017. W programie przedstawiono wnioski z opinii Prezesa AOTMiT nr 128/2012 z dnia 25.06.2012 r. dotyczące wcześniej realizowanego programu. Oceniany program odnosi się do konkretnego, dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego – profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego, który odgrywa najważniejszą rolę w etiologii raka szyjki macicy (RSZM). Wnioskodawca przedstawił problem zdrowotny w sposób prawidłowy, wymienia czynniki, które sprzyjają wystąpieniu infekcji HPV oraz objawy RSZM oraz zamieścił stosowne referencje bibliograficzne, materiały źródłowe, na podstawie których została przygotowana treść problemu zdrowotnego. Program realizuje dwa priorytety zdrowotne: zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych oraz zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, należące do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. (Dz. U. 2009, Nr 137, poz. 1126).

W ramach programu zaplanowano edukację zdrowotną skierowaną do dzieci, w tym również chłopców i ich rodziców/opiekunów prawnych oraz wykonanie cyklu szczepień przeciwko zakażeniom wirusem brodawczaka ludzkiego dla 12-letnich dziewcząt z grupy docelowej. Szczepienia poprzedzone będą badaniem lekarskim. Należy mieć na uwadze, że skuteczna edukacja młodzieży, jak i ich rodziców/opiekunów, zapewni trwałość efektów zdrowotnych. Wnioskodawca zaplanował zastosowanie wśród dziewcząt z populacji



docelowej szczepionki przeciw zakażeniom wirusem HPV typu 16 i 18. Program stanowi uzupełnienie świadczeń gwarantowanych. Szczepienie przeciwko HPV jest zalecane w Program Szczepień Ochronnych na 2017 rok. Eksperti zgodnie stwierdzają, że programy z zakresu profilaktyki raka szyjki macicy w postaci szczepień przeciwko zakażeniom HPV powinny być prowadzone oraz finansowane przez jst, szczególnie ze względu na skuteczność i opłacalność profilaktyki w porównaniu z leczeniem oraz złą sytuacją epidemiologiczną raka szyjki macicy w Polsce i na świecie. Eksperti wskazywali również na prognozowane długoterminowe korzyści z zastosowania szczepień przeciwko HPV w postaci redukcji umieralności na raka szyjki macicy (ok. 70% za 15-20 lat) oraz zmniejszenia liczby zabiegów i badań diagnostycznych, co przyniesie również korzyści ekonomiczne.

W programie cel główny wymaga przeformułowania, gdyż powinien być możliwy do osiągnięcia podczas trwania programu, natomiast zmniejszenie zachorowalności z powodu RSzM jest efektem długofalowym. Należy podać liczbę rodziców kwalifikujących się do programu. Oszacowano koszt całkowity programu niemniej jednak wnioskodawca wskazał, że program będzie finansowany ze środków zabezpieczonych w budżecie Powiatu Starogardzkiego, jednak wymienia również inne źródła finansowania: „środki finansowe poszczególnych gmin z terenu powiatu, przekazane w ramach udzielonej powiatowi pomocy finansowej na realizację programu; fundusze unijne; współfinansowane z poziomu wojewódzkiego; współfinansowane poprzez organizacje pozarządowe i/lub rodziców”. Ze względu na dużą liczbę potencjalnych źródeł finansowania, nie do końca jasne jest skąd będą pozyskane środki na realizację programu. Należy te kwestie doprecyzować.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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 2017 r., poz. 1938), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.311.2017 „Powiatowy program profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) na lata 2018-2022” realizowany przez: Powiat Starogardzki, Warszawa, październik 2017 oraz Aneksu „Programy przeciwdziałania zakażeniom wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) oraz rakowi szyjki macicy – wspólne podstawy oceny” z listopada 2015.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 362/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Goleniów po 65 roku życia na rok 2017 i 2018”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Goleniów po 65 roku życia na rok 2017 i 2018”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Problem zdrowotny opisany w projekcie programu polityki zdrowotnej wpisuje się w następujący priorytet zdrowotny zawarty w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. ws. priorytetów zdrowotnych (Dz.U.2009 nr 137 poz. 1126): „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom”. Głównym założeniem programu jest „zapobieganie zachorowaniom na grypę w populacji osób po 65 r.ż.”. Grupą docelową w programie są osoby powyżej 65 roku życia zameldowane na terenie Gminy Goleniów oraz u których brak jest przeciwwskazań lekarskich do szczepień przeciw grypie. Wytyczne organizacji światowych (WHO), ogólnoeuropejskich (ECDPC), poszczególnych krajów UE i państw Ameryki Północnej w większości rekomendują coroczne szczepienia przeciwko grypie osób w podeszłym wieku - skuteczność szczepień w tej grupie wiekowej uważana jest za dowiedzioną, a korzyści przeważają nad potencjalnym ryzykiem podania szczepionki. Przewidziany czas szczepień jest zgodny z zalecanym (wrzesień-listopad). W polskim Programie Szczepień Ochronnych szczepienia zaleca się osobom powyżej 55 roku życia (ze wskazań klinicznych i indywidualnych), a Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce (KLR 2016) zaleca objęcie szczepieniami osób w wieku powyżej 50 r.ż. ze wskazań medycznych.

Cel główny został sformułowany w sposób nieprawidłowy, ponieważ jest wskazaniem działania, a nie oczekiwanym stanem, który powinien wskazywać na uzyskanie konkretnie zdefiniowanej zmiany po przeprowadzeniu programu, również niektóre z celów szczegółowych zostały sformułowane nie w pełni zgodnie z regułą S.M.A.R.T. Wnioskodawca nie wskazał mierników



efektywności, które powinny umożliwić obiektywną i precyzyjną ocenę stopnia realizacji celów. Program zaplanowany został na lata 2017-2018. Programy szczepionkowe dotyczące grypy sezonowej powinny być cykliczne, aby uzyskać odporność populacyjną. Zwiększenie akceptacji społecznej w zakresie potrzeby szczepień przeciw grypie, poprzez pozytywne doświadczenia osób zaszczepionych, zapewni trwałość efektów zdrowotnych. Wnioskodawca zamieszcza informację, że w ramach możliwości budżetowych Gminy Goleniów, program będzie kontynuowany w latach kolejnych.

Wnioskodawca nie zaplanował jednak w ramach programu kwalifikacji lekarskiej, zatem nie wiadomo, na jakiej podstawie stwierdzane będą przeciwwskazania do szczepień.

W ramach programu nie zaplanowano edukacji, natomiast zarówno eksperci kliniczni, jak i rekomendacje (CDC 2009) podkreślają istotną rolę edukacji zdrowotnej w programach polityki zdrowotnej dotyczących profilaktyki grypy. Brak wiedzy nt. zapobiegania zachorowaniom oraz nieprawidłowa interpretacja informacji dot. szczepień przeciwko grypie może być ważną przyczyną nieuczestniczenia w programach szczepień ochronnych. Edukacja zdrowotna stanowi obecnie istotny element polityki zdrowia publicznego i jedno z zadań samorządów lokalnych możliwych do realizacji przy niewielkim nakładzie finansowym.

Wnioskodawca nie przedstawił kosztu jednostkowego zaszczepienia jednej osoby w ramach programu oraz kosztu kampanii promocyjnej. Należy zatem tę kwestię doprecyzować.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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 2017 r., poz. 1938), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.313.2017 „Program profilaktyki szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Goleniów po 65 roku życia na rok 2017 i 2018” realizowany przez: Gminę Goleniów, Warszawa, październik 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 363/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki grypowej wśród osób dorosłych – szczepienia ochronne przeciwko grypie sezonowej osób powyżej 65 roku życia” (m. Cieszyn)

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki grypowej wśród osób dorosłych – szczepienia ochronne przeciwko grypie sezonowej osób powyżej 65 roku życia” (m. Cieszyn), pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Wnioskodawca przedstawił charakterystykę grypy, drogę zakażenia, powikłania pogrypowe oraz profilaktykę. Ponadto wymienił osoby, którym zgodnie z PSO na rok 2017 szczepienie przeciw grypie sezonowej jest zalecane. Okres realizacji programu zaplanowano na lata 2017-2020, natomiast wykonywanie szczepień prawdopodobnie rozpocznie się w roku 2018.

Problem zdrowotny opisany w projekcie programu polityki zdrowotnej wpisuje się w następujący priorytet zdrowotny zawarty w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. ws. priorytetów zdrowotnych (Dz.U.2009 nr 137 poz.1126): „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom”. Wnioskodawca zamierza rocznie zaszczepić do 10% populacji w wieku 65+ (ok. 670 osób). Zaznaczając jednocześnie, że „pierwszeństwo w szczepieniu spośród populacji objętej programem będą miały osoby przewlekle chore”. Powyższe założenie zostało przyjęte na podstawie zdobytego dotychczas doświadczenia z realizacji programu szczepień przeciwko grypie w latach 2009-2010 oraz 2012-2014. Odsetek osób zaszczepionych kształtował się wtedy na poziomie: 8,2% w 2009 r.; 7,7% w 2010 r.; 6,9% w 2012 r. oraz 8,4% w roku 2014. Natomiast zgodnie z zaleceniami WHO szczepienia ochronne przeciwko grypie powinny być oferowane, co sezon epidemiczny wszystkim osobom zainteresowanym. W polskim Programie Szczepień Ochronnych szczepienia zaleca się osobom powyżej 55 roku życia (ze wskazań klinicznych i indywidualnych), a Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce (KLR 2016) zaleca objęcie szczepieniami osób w wieku powyżej 50 r.ż. ze wskazań medycznych.



Projekt programu zakłada prowadzenie bezpośredniej i pośredniej edukacji pacjenta. Edukacja bezpośrednia będzie realizowana poprzez rozmowę z lekarzem i pielęgniarką, a także z odpowiednio przeszkolonym pozostałym personelem, np. rejestratorami medycznym.

Zarówno eksperci kliniczni, jak i rekomendacje (CDC 2009) podkreślają istotną rolę edukacji zdrowotnej w programach polityki zdrowotnej dotyczących profilaktyki grypy. Brak wiedzy nt. zapobiegania zachorowaniom oraz nieprawidłowa interpretacja informacji dot. szczepień przeciwko grypie może być ważną przyczyną nieuczestniczenia w programach szczepień ochronnych. Edukacja zdrowotna stanowi obecnie istotny element polityki zdrowia publicznego i jedno z zadań samorządów. W ramach programu przeprowadzona zostanie kwalifikacja lekarska.

Cel główny oraz cele szczegółowe nie zostały w pełni sformułowane zgodnie z zasadą S.M.A.R.T. Wnioskodawca zaproponował również 6 mierników efektywności, jednak jedynie o charakterze ilościowym i nie pozwolą one na obiektywne i precyzyjne zmierzenie stopnia realizacji celów. Wnioskodawca zaplanował koszt całkowity i jednostkowy.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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 2017 r., poz. 1938), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.318.2017 „Program profilaktyki grypowej wśród osób dorosłych – szczepienia ochronne przeciwko grypie sezonowej osób powyżej 65 roku życia” realizowany przez: Miasto Cieszyn, Warszawa, październik 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 364/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku
o projekcie programu „Program szczepień profilaktycznych
przeciwko grypie osób powyżej 60 roku życia na lata 2017 - 2020”
(m. i gm. Człopa)

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie osób powyżej 60 roku życia na lata 2017 - 2020” (m. i gm. Człopa).

Uzasadnienie

Przedmiotowy program odnosi się do istotnego problemu zdrowotnego – profilaktyki grypy i jej powikłań, niemniej jednak projekt programu nie został przygotowany w sposób prawidłowy, zawiera liczne braki i wymaga uzupełnienia. Najpoważniejsze zastrzeżenia Rady budzi fakt braku zaplanowanych działań edukacyjnych, rozbieżności co do liczby populacji docelowej programu oraz braku informacji na temat kosztów planowanych działań.

Wnioskodawca nie odniósł się do ogólnościowych, krajowych oraz regionalnych danych dotyczących zachorowalności na grypę. Oceniany projekt programu nie zawiera stosownych referencji bibliograficznych oraz wykazu piśmiennictwa, na podstawie którego przygotowana została treść problemu zdrowotnego.

W ramach programu planowane jest wykonanie szczepień przeciwko wirusowi grypy. Wnioskodawca w ramach programu nie przewidział jednak działań edukacyjnych. Zarówno eksperci kliniczni, jak i rekomendacje (CDC 2009) podkreślają istotną rolę edukacji zdrowotnej w programach polityki zdrowotnej dotyczących profilaktyki grypy. Brak wiedzy nt. zapobiegania zachorowaniom oraz nieprawidłowa interpretacja informacji dot. szczepień przeciwko grypie może być ważną przyczyną nieuczestniczenia w programach szczepień ochronnych. Edukacja zdrowotna stanowi obecnie istotny element polityki zdrowia publicznego i jedno z zadań samorządów lokalnych możliwych do realizacji przy niewielkim nakładzie finansowym. Odpowiednio przygotowane działania edukacyjne mogą wpłynąć na zwiększenie liczby szczepień, oraz powinny skupiać się na propagowaniu prawidłowych zachowań



np. zachowaniu zasad higieny, unikaniu potencjalnych miejsc rozprzestrzeniania się choroby, możliwym unikaniu kontaktów z osobami chorymi.

Informacja wnioskodawcy dotycząca liczby mieszkańców miasta i gminy Człopa w wieku 60 lat jest niezgodna z danymi GUS co uniemożliwia oszacowanie populacji docelowej, do której kierowany jest program. Wnioskodawca nie podał także liczby osób, którą zamierza zaszczepić w każdym roku trwania programu. W treści projektu programu nie odniesiono się do kryteriów włączenia uczestników do planowanych interwencji.

Ponadto, wnioskodawca nie wskazał dokładnie okresu, w którym zostaną wykonane szczepienia w ramach programu. Natomiast należy zaznaczyć, że w przypadku szczepień przeciwko grypie, Kolegium Lekarzy Rodzinnych wskazuje, że można je podawać przez cały sezon występowania grypy, najlepiej jednak szczepić w okresie od września do połowy listopada (KLR 2016). Wnioskodawca nie określił również możliwych sposobów zakończenia udziału w programie.

Głównym założeniem programu jest „zwiększenie liczby osób zaszczepionych przeciwko grypie wśród populacji objętej programem, a tym samym zapobieganie zachorowaniu na grypę i występowaniu powikłań pogrypowych”. Cel główny nie został w pełni sformułowany zgodnie z zasadą S.M.A.R.T. Dobrze sformułowany cel powinien być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie.

Wnioskodawca nie zaproponował celów szczegółowych programu oraz mierników efektywności. Cele szczegółowe powinny stanowić uzupełnienie celu głównego, charakteryzować się dużą szczegółowością a ich osiągnięcie powinno być elementem warunkującym osiągnięcie celu nadrzędnego. Natomiast mierniki efektywności to wskaźniki, które umożliwiają obiektywną i precyzyjną ocenę stopnia realizacji celów. Mierniki powinny być obserwowalne i obiektywne, a dane do pomiaru łatwo dostępne. Należy pamiętać, aby wartości wskaźników określone były przed i po realizacji programu. Dopiero uzyskana zmiana w zakresie tych wartości i jej wielkość stanowi o wadze uzyskanego efektu programu.

W projekcie programu znajduje się informacja, że „szczepienia dzieci będą przeprowadzone z zachowaniem wszelkich warunków, określonych dla prawidłowego szczepienia”. Kwestia ta wymaga wyjaśnienia, ponieważ program docelowo skierowany jest do osób powyżej 60 r.ż.

Projekt programu zawiera rozproszone informacje na temat składowych, etapów i działań organizacyjnych programu. Projekt programu powinien być przedstawiony w sposób jasny, przejrzysty i spójny z rekomendowanym przez AOTMiT schematem PPZ. Realizator programu nie zaplanował akcji informacyjnej, nie wiadomo więc w jaki sposób osoby kwalifikujące się

do programu będą zapraszane do udziału w programie. Realizatorem programu będzie podmiot leczniczy/podmioty lecznicze, wyłoniony/e w drodze konkursu ofert. Wnioskodawca nie przedstawił kompetencji/warunków niezbędnych do realizacji programu.

Wnioskodawca nie oszacował kosztu jednostkowego wykonania szczepienia. Zaznaczył jednak, że cena jednostkowa brutto za wykonanie pojedynczego świadczenia w ramach programu zdrowotnego nie może być wyższa niż 30 zł. Natomiast informacje znajdujące się w dostanym przez wnioskodawcę piśmie z dnia 25.10.2017 r. wskazują, że wnioskodawca po zasięgnięciu opinii lekarskich „nie będzie w stanie za tę kwotę nabyć szczepionek”. W związku z powyższym nie jest znany ani koszt jednostkowy wykonania szczepienia ani liczba szczepień, która mogłaby zostać wykonana w ramach programu.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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 2017 r., poz. 1938), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.322.2017 „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie osób powyżej 60 roku życia na lata 2017 - 2020”, realizowany przez: Miasto i Gminę Człopa, Warszawa, październik 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 365/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku o projekcie programu „Grypa 65+” (gm. Młodzieszyn)

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Grypa 65+” (gm. Młodzieszyn).

Uzasadnienie

Przedmiotowy program odnosi się do istotnego problemu zdrowotnego – profilaktyki grypy i jej powikłań, niemniej jednak projekt programu nie został przygotowany w sposób prawidłowy, zawiera braki i wymaga uzupełnienia. Najpoważniejsze zastrzeżenia Rady budzi fakt braku zaplanowanych działań edukacyjnych oraz informacji na temat kosztów planowanych działań, a także nieprecyzyjne dane co do liczebności populacji docelowej.

Wnioskodawca podał informację, że przewidywana liczba osób powyżej 65 r.ż. zamieszkałych na terenie Gminy Młodzieszyn wynosi ok. 892 osoby. Wnioskodawca zamierza rocznie zaszczepić ok. 1000 osób spełniających kryteria włączenia. W związku z tym liczba przewidywanych szczepień przewyższa liczbę osób, która kwalifikuje się do szczepienia. Ponadto, wnioskodawca zaznacza, że liczba szczepień uzależniona będzie od środków finansowych zaplanowanych na realizację programu w danym roku oraz liczby chętnych do zaszczepienia.

Ponadto, wnioskodawca nie zaplanował w ramach programu działań edukacyjnych. W treści projektu programu pojawia się jednak sformułowanie, że uczestnictwo w programie polegać będzie m.in. na „edukacji na temat zachorowań na grypę oraz szczepień profilaktycznych przeciwko grypie”. Zarówno eksperci kliniczni (Aneks [Załącznik 1]), jak i rekomendacje (CDC 2009) podkreślają istotną rolę edukacji zdrowotnej w programach polityki zdrowotnej dotyczących profilaktyki grypy. Brak wiedzy nt. zapobiegania zachorowaniom oraz nieprawidłowa interpretacja informacji dot. szczepień przeciwko grypie może być ważną przyczyną nieuczestniczenia w programach szczepień ochronnych. Edukacja zdrowotna stanowi obecnie istotny element polityki zdrowia publicznego i jedno z zadań samorządów lokalnych możliwych do realizacji przy niewielkim nakładzie finansowym. Odpowiednio przygotowane działania mogą wpłynąć na zwiększenie liczby szczepień oraz powinny skupiać się na propagowaniu prawidłowych zachowań np. zachowaniu zasad higieny,



unikaniu potencjalnych miejsc rozprzestrzeniania się choroby, możliwym unikaniu kontaktów z osobami chorymi.

Cele programu nie zostały w pełni sformułowane zgodnie z zasadą S.M.A.R.T. Dobrze sformułowany cel powinien być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie. Wnioskodawca zaproponowane cele powinien odnieść do populacji określonej w programie. Dodatkowo, zaproponowane mierniki efektywności nie pozwolą na obiektywne i precyzyjne zmierzenie stopnia realizacji celów.

Należy zaznaczyć, że w przypadku szczepień przeciwko grypie, Kolegium Lekarzy Rodzinnych wskazuje, że można je podawać przez cały sezon występowania grypy, najlepiej jednak szczepić w okresie od września do połowy listopada (KLR 2016). Wnioskodawca nie określił okresu w którym zostaną wykonane szczepienia w ramach programu.

Wnioskodawca nie oszacował kosztu jednostkowego wykonania szczepienia oraz kampanii informacyjnej. Natomiast wskazał, co będzie obejmował koszt jednostkowy: koszt zakupu jednej dawki szczepionki, wykonanie szczepienia oraz edukację. Biorąc pod uwagę liczebność osób, które kwalifikują się do programu, tj. 892 osoby oraz koszt realizacji programu w okresie jednego roku (10 000 zł), koszt jednostkowy można oszacować na ok. 11 zł. Jest mało prawdopodobne, aby ta kwota była wystarczająca do dokonania zakupu szczepionki. W związku z powyższym liczba osób mających zostać objętych programem nie jest znana.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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 2017 r., poz. 1938), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.326.2017 „Grypa 65+” realizowany przez: Gminę Młodzieszyn, Warszawa, październik 2017 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktycznych szczepień przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka – wspólne podstawy oceny”, z listopada 2015 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 366/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku
o projekcie programu „Profilaktyka raka piersi – badania USG dla
kobiet w wieku 35-45 lat” (pow. wolsztyński)

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Profilaktyka raka piersi – badania USG dla kobiet w wieku 35-45 lat” (pow. wolsztyński).

Uzasadnienie

Celem programu jest przeprowadzenie akcji edukacyjno-informacyjnej oraz badań USG u kobiet w wieku 35-45 lat, które wcześniej nie były leczone z powodu choroby nowotworowej piersi. Planuje się objąć programem ok. 200 kobiet rocznie. Program będzie realizowany w latach 2017-2022. Przewidywany koszt całkowity programu – 15 000 zł.

Rada Przejrzystości nie rekomenduje stosowania badań przesiewowych w kierunku wczesnego wykrycia raka piersi metodą USG, ponieważ w świetle najnowszych badań nie ma wystarczającej pewności, czy przynoszą one więcej pożytku niż szkody. Jak się okazuje, takie działania profilaktyczne mają znikomy wpływ na ogólne zmniejszenie śmiertelności z powodu raka piersi; mają jednak wiele nieprzewidywanych i szkodliwych psychologicznych skutków ubocznych spowodowanych przez nadmierną liczbą wyników fałszywie pozytywnych.

Odette Wegwarth, Gerd Gigerenzer, Overdiagnosis and Overtreatment: Evaluation of What Physicians Tell Their Patients About Screening Harms, JAMA Internal Medicine December 9/23, 2013 Volume 173, Number 22:

Table. Demographics of Survey Respondents, Their Information Status, and Tolerance of Overtreatment

Characteristic	No. (%) of Survey Respondents	2008 US Census ^a	%	
			Informed of Overtreatment by Their Physicians	Would Not Start Cancer Screening If It Resulted in >1 Overtreated Person per 1 Life Saved
Overall	317 (100.0)	100	9.5	51.2
Sex				
Female	166 (52.4)	52	8.4	51.2
Male	151 (47.6)	48	10.6	52.3
Age, y				
50-59	192 (60.6)	61	9.4	47.9
60-69	125 (39.4)	39	9.6	55.2
Educational level				
Less than high school	22 (6.9)	13	9.1	45.4
High school/some college	203 (64.0)	58	10.3	82.8
College degree	92 (29.0)	29	7.6	50.0
Ethnicity				
White	269 (84.9)	85	8.9	52.0
African American /Asian/other minority	48 (15.1)	15	12.5	39.6

^a Data obtained from the US Census Bureau, Current Population Survey, 2008 Annual Social and Economic Supplement.¹

Przewodniczący Rady Przejrzystości



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 2017 r., poz. 1938), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.312.2017 „Profilaktyka raka piersi – badania USG dla kobiet w wieku 35-45 lat” realizowany przez: powiat wolsztyński, Warszawa, październik 2017 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki raka piersi – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 367/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku o projekcie programu „Twoje zdrowie w Twoich dłoniach” (pow. mikołowski)

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Twoje zdrowie w Twoich dłoniach” (pow. mikołowski).

Uzasadnienie

Oceniany projekt dotyczy działań edukacyjnych z zakresu profilaktyki nowotworów piersi. Populację bezpośrednią programu stanowią uczennice szkół ponadgimnazjalnych na terenie powiatu (min. 800 uczestniczek rocznie). Program ma być realizowany w latach 2017-2020. W ramach programu planuje się przeprowadzenie dwóch interwencji: akcji informacyjno-edukacyjnej oraz instruktażu samobadania piersi. Całkowity koszt programu został oszacowany na kwotę 10 000 zł. Program będzie w całości finansowany z budżetu powiatu.

W pełni doceniając wartość edukacji prozdrowotnej, Rada Przejrzystości nie rekomenduje jednak instruktażu samobadania piersi, ponieważ w świetle najnowszych badań nie ma wystarczającej pewności, czy stosowanie tej umiejętności przynosi kobietom więcej pożytku niż szkody. Jak się okazuje takie działania profilaktyczne mają znikomy wpływ na ogólne zmniejszenie śmiertelności z powodu raka piersi, mają jednak wiele nieprzewidywanych i szkodliwych psychologicznych skutków ubocznych.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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 2017 r., poz. 1938), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.315.2017 „Twoje zdrowie w Twoich dłoniach” realizowany przez: powiat mikołowski, Warszawa, październik 2017 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki raka piersi – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2015 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Jan Peter Kösters, Peter C Gøtzsche, „Regular self-examination or clinical examination for early detection of breast cancer, The Cochrane Library, DOI: 10.1002/14651858.CD003373.





Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 368/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki wad postawy
i schorzeń narządu ruchu wśród
uczniów klas I szczecińskich szkół podstawowych”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki wad postawy i schorzeń narządu ruchu wśród uczniów klas I szczecińskich szkół podstawowych”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Wnioskowany projekt programu wpisuje się w priorytet: „zapobieganie najczęstszymi problemom zdrowotnym i zaburzeniom rozwoju fizycznego i psychospołecznego dzieci i młodzieży objętych obowiązkiem szkolnym i obowiązkiem nauki oraz kształcących się w szkołach ponadgimnazjalnych do ich ukończenia” oraz „zmniejszenie przedwczesnej zachorowalności i ograniczenie negatywnych skutków przewlekłych schorzeń układu kostno-stawowego”, wskazany w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. (Dz.U. 2009, Nr 137, poz. 1126).

Celem programu jest identyfikacja dzieci zagrożonych wadami postawy i schorzeniami narządu ruchu oraz podjęcie działań terapeutycznych i edukacyjnych w zakresie programu. Czas trwania programu przewidziano na 3 lata (wrzesień 2017 r. do sierpnia 2020 r.). W trakcie programu zakłada się objęcie nim wszystkich uczniów klas I uczęszczających do szczecińskich szkół podstawowych (ok. 8 649 osób w trakcie 3 lat trwania programu), a także ich rodzice/opiekunowie prawni. Proponowanymi interwencjami są:

- spotkania informacyjne z rodzicami/opiekunami prawnymi, pielęgniarzkami szkolnymi oraz nauczycielami,*
- ocena postawy ciała (prowadzona przez ortopedę lub fizjoterapeutę), oparta na teście zgięciowym Adamsa, ocenie kąta rotacji tułowia oraz ocenie fotogrametrycznej Moire’a,*
- zajęcia korekcyjne (raz w tygodniu przez 12 tygodni),*
- wizyty kontrolne – weryfikacja postępów rehabilitacji (po 3 miesiącach),*



- zajęcia korekcyjne utrwalające (raz w miesiącu przez 3 miesiące).

Cel główny oraz cele szczegółowe zawarte w opisie programu są nieprecyzyjne i wymagają przeformułowania. Rada proponuje również zmianę populacji docelowej, ponieważ rekomendacje oraz wytyczne w zakresie zasadności przeprowadzania badań w kierunku wad postawy w populacji ogólnej dzieci i młodzieży nie są jednoznaczne. Część z nich nie zaleca prowadzenia skryningu (USPSTF 2014, UK NSC 2016). Natomiast w rekomendacjach pozytywnych w zakresie grup wiekowych, jakie należy objąć skryningiem w kierunku wad postawy wskazuje się, że badania powinny być wykonywane dwukrotnie u dziewczynek – w 10. i w 12. r.ż. oraz jednokrotnie u chłopców – w 13. lub w 14. r.ż. (AAOS/SRS/POSNA/AAP 2015). Eksperti kliniczni w swoich opiniach wskazują natomiast, że diagnostyka powinna obejmować dzieci w wieku przedszkolnym, w przedziale wiekowym 3-6 lat, szczególnej opieki i nadzoru wymagają dzieci i młodzież w okresie pokwitaniowego skoku wzrostowego: dziewczęta 11-14 lat, chłopcy 12-15 lat (Konsultant Wojewódzki w dziedzinie pediatrii, 2016). Natomiast we wnioskach z przeglądu systematycznego Sabirin 2010, zasugerowano prowadzenie badań przesiewowych w kierunku wykrywania skoliozy w grupach wysokiego ryzyka tj. u dziewcząt w wieku 12 lat. Grupa wiekowa jaką wnioskodawca zamierza objąć badaniami w ramach programu - uczniowie klas I - nie wpisuje się w powyższe zalecenia. Istnieje potrzeba prowadzenia skutecznych badań przesiewowych, w zakresie wad postawy jednak wyniki fałszywie dodatnie mogą prowadzić do tworzenia niepotrzebnych zaleceń oraz skierowań na dodatkową, niepotrzebną lub obciążającą diagnostykę (np. RTG kręgosłupa).

Treść projektu w sposób niewystarczający odnosi się do kwestii planowanych działań edukacyjnych.

W zadaniach, które ma realizować niniejszy projekt programu, wnioskodawca odniósł się do edukacji dzieci oraz ich rodziców/opiekunów prawnych. Planowane interwencje uwzględniają „wygłoszenie w placówkach szkolnych wykładów informacyjnych o wadach postawy i ich prewencji dla zainteresowanych rodziców”. Harmonogram realizacji programu wskazuje natomiast, że spotkania informacyjne będą skierowane do rodziców/opiekunów prawnych, pielęgniarek szkolnych oraz nauczycieli. W uwagach zaznaczono natomiast co następuje: „organizacja spotkań edukacyjnych dla rodziców w szkołach wraz z ankietami. Podczas spotkania zostaną przekazane rodzicom cele programu i tematyka profilaktyki wad postawy. Przedstawienie specjalnej platformy internetowej programu”. Wnioskodawca powinien sprecyzować do kogo skierowane zostaną planowane działania o charakterze edukacyjnym. Uzupelnienia wymaga także poruszany zakres tematyczny. Warto podkreślić, że odnalezione rekomendacje kładą szczególny nacisk na rolę edukacji nie tylko dziecka, ale i jego opiekunów. Niski poziom motywacji do ćwiczeń, typowy

dla młodych osób, można podnieść poprzez uświadomienie dziecka i rodziców co do charakteru choroby, jej przewidywanego przebiegu, potencjalnych konsekwencji braku leczenia itd. W uzasadnionych przypadkach warto uzupełnić leczenie o konsultację psychoterapeutyczną (SOSORT 2014). Zasadnym wydaje się zatem prowadzenie działań edukacyjnych obejmujących swym zakresem zarówno dzieci/młodzieży, jak i rodziców oraz opiekunów prawnych uczestników programu.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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 2017 r., poz. 1938), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.317.2017 „Program profilaktyki wad postawy i schorzeń narządu ruchu wśród uczniów klas I szczecińskich szkół podstawowych” realizowany przez: Miasto Szczecin, Warszawa, październik 2017 oraz Aneksów „Programy profilaktyki i korekcji wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny” ze stycznia 2017 r., „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” sierpień 2016.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 369/2017 z dnia 6 listopada 2017 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki wad postawy u dzieci i młodzieży w wieku szkolnym” (m. Kędzierzyn-Koźle)

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki wad postawy u dzieci i młodzieży w wieku szkolnym” (m. Kędzierzyn-Koźle).

Uzasadnienie

Wnioskowany projekt programu wpisuje się w priorytet: „zapobieganie najczęstszemu 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”, wskazany w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. (Dz.U. 2009, Nr 137, poz. 1126).

Celem programu jest skuteczna identyfikacja dzieci zagrożonych wadami postawy, która doprowadzi do podjęcia działań w kierunku korekty wady, a w przypadku zmian chorobowych podjęcia leczenia specjalistycznego w ramach ubezpieczenia w Narodowym Funduszu Zdrowia.

Czas trwania programu przewidziano na 2 lata: 2017 r. do sierpnia 2019 r. W trakcie programu zakłada się objęcie nim uczniów klas I szkół podstawowych zameldowanych na pobyt stały lub czasowy (co najmniej 12 miesięcy przed wykonaniem badania) na terenie gminy Kędzierzyn-Koźle (ok. 468 uczniów rocznie; ok. 1 405 osób w trakcie 3 lat realizacji programu); w zakresie działania edukacyjnego wszyscy mieszkańcy gminy.

Proponowanymi interwencjami są:

- badania przesiewowe w kierunku wykrycia wad postawy (z wykorzystaniem skoliometru oraz podoskopu komputerowego),*
- działania edukacyjne.*

W części projektu poświęconej wskaźnikom epidemiologicznym wnioskodawca częściowo powielił informacje przedstawione uprzednio w treści problemu



zdrowotnego. Zaznaczono jedynie, że „wyniki badań epidemiologicznych wskazują, że liczba dzieci i młodzieży z otyłością stale wzrasta. Pojawiający się problem nadwagi i otyłości utrudnia dziecku podejmowanie aktywności fizycznej i zwiększa urazowość na lekcjach wychowania fizycznego. Otyłości i nadwadze często towarzyszą wady postawy ciała, które są przyczyną licznych dolegliwości bólowych ze strony aparatu ruchu i jeszcze większego unikania aktywności fizycznej”. W opisie sytuacji epidemiologicznej, na podstawie danych globalnych (świat), krajowych (Polska) oraz regionalnych (województwo opolskie), wskazana powinna zostać np. zapadalności/chorobowości, ze szczególnym uwzględnieniem populacji, której dotyczy oceniany program (dzieci w wieku 7 lat). Przedstawione dane powinny być jak najbardziej aktualne. Wskazane powinny zostać również źródła z jakich pochodzą odnalezione informacje. Skolioza, jako objaw wtórny innego procesu patologicznego, dotyczy ok. 20% przypadków, 80% przypadków skolioz stanowią skoliozy idiopatyczne. Projekt programu zawiera opis jego organizacji, jednak został on przygotowany na dużym poziomie ogólności.

Rekomendacje oraz wytyczne w zakresie zasadności przeprowadzania badań w kierunku wad postawy w populacji ogólnej dzieci i młodzieży nie są jednoznaczne, część z nich nie zaleca prowadzenia skryningu (USPSTF 2014, UK NSC 2016). Natomiast w rekomendacjach pozytywnych, dotyczących badań skryningowych wad postawy, wskazuje się, że badania powinny być wykonywane dwukrotnie u dziewczynek – w 10. i w 12. r.ż. oraz jednokrotnie u chłopców – w 13. lub w 14. r.ż. (AAOS/SRS/POSNA/AAP 2015). Eksperti kliniczni w swoich opiniach wskazują natomiast, że diagnostyka powinna obejmować dzieci w wieku przedszkolnym, w przedziale wiekowym 3-6 lat, szczególnej opieki i nadzoru wymagają dzieci i młodzież w okresie pokwitaniowego skoku wzrostowego: dziewczęta 11-14 lat, chłopcy 12-15 lat (Konsultant Wojewódzki w dziedzinie pediatrii, 2016). Natomiast we wnioskach z przeglądu systematycznego Sabirin 2010, zasugerowano prowadzenie badań przesiewowych w kierunku wykrywania skoliozy w grupach wysokiego ryzyka tj. u dziewcząt w wieku 12 lat. Grupa wiekowa jaką wnioskodawca zamierza objąć badaniami w ramach programu - uczniowie klas I - nie wpisuje się zatem w powyższe zalecenia.

Przewodniczący Rady Przejrzystości

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 2017 r., poz. 1938), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.319.2017 „Program profilaktyki wad postawy u dzieci i młodzieży w wieku szkolnym” realizowany przez: Miasto Kędzierzyn-Koźle, Warszawa, październik 2017 oraz Aneksów „Programy profilaktyki i korekcji

wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny” ze stycznia 2017 r., „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” sierpień 2016.