



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Protokół nr 49/2017
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 11 grudnia 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. Barbara Jaworska-Łuczak
4. Andrzej Kokoszka
5. Michał Myśliwiec – prowadził posiedzenie
6. Tomasz Pasierski
7. Jakub Pawlikowski – uczestniczył w posiedzeniu od pkt 4.
8. Piotr Szymański
9. Andrzej Śliwczyński
10. Marek Wroński

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku DACEPTON (chlorowodorek apomorfiny półwodny) w ramach programu lekowego »Leczenie zaawansowanej choroby Parkinsona za pomocą apomorfiny podawanej w ciągłym wlewie podskórnym (ICD-10 G20)«.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego produktu leczniczego SULFADIAZIN-HEYL (sulfadiazinum) we wskazaniu: toksoplazmoza wrodzona, toksoplazmoza oczna, toksoplazmoza OUN w przebiegu zakażenia HIV.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego produktu leczniczego DARAPRIM (pirymethaminum) we wskazaniu: toksoplazmoza wrodzona, toksoplazmoza oczna, toksoplazmoza OUN w przebiegu zakażenia HIV.
7. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku NPLATE(romiplostim) we wskazaniu: pierwotna małopłytkowość immunologiczna (ICD-10 D69.3).
8. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego „ZABEZPIECZENIE PROFILAKTYCZNE BRUZZD INNYMI MATERIAŁAMI”.



9. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego „LECZENIE STOMATOLOGICZNE DZIECI NIEWSPÓŁPRACUJĄCYCH W ZNIECZULENIU OGÓLNYM”.
10. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej cetuximabum we wskazaniach pozarejestacyjnych: w programie lekowym „Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego (ICD-10 C18-20)” jako dodatkowy schemat dawkowania: brak dawki początkowej, lek podawany co 2 tygodnie w dawce 500 mg/m² powierzchni ciała.
11. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej mitoxantronum we wskazaniach pozarejestacyjnych: leczenie wznowy ostrej białaczki limfoblastycznej u dzieci.
12. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Ząbki moje muszą o was dbać, by wszystkim piękny uśmiech dać” (m. Leszno),
 - 2) „Program profilaktyki próchnicy zębów u dzieci z Gminy Legnickie Pole”,
 - 3) „Program profilaktyki próchnicy zębów u dzieci z powiatu lubińskiego”,
 - 4) „Program profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV 6,11,16,18,31,33,45,52,58) w Gminie Grodzisk Wielkopolski”,
 - 5) „Program szczepień przeciwko ludzkiemu wirusowi brodawczaka (HPV)” (gm. Wisznia Mała),
 - 6) „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Gniezna w wieku 60 lat i więcej”,
 - 7) „Program profilaktyki grypy dla mieszkańców miasta Chełm w wieku 65+ na lata 2018-2020”.
13. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
14. Zamknięcie posiedzenia.

Ad 1. Posiedzenie o godzinie 10:03 otworzył Wiceprzewodniczący Rady Michał Myśliwiec.

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

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

Ad 4. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.4351.36.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Dacepton (apomorfina) we wskazaniu: leczenie obniżających sprawność fluktuacji ruchowych (zjawisk on/off) u osób z chorobą Parkinsona, które utrzymują się pomimo stosowania doustnych leków przeciw chorobie Parkinsona”.

Następnie, swoją propozycję stanowiska przedstawił Andrzej Kokoszka, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Poinformował, iż w analizie przedstawionej przez wnioskodawcę jako technologia alternatywna nie został uwzględniony obecnie refundowany lek Duodopa. Stwierdził, iż oceniany lek ma dużą przewagę nad Duodopą, ale u pacjentów w lepszym stanie klinicznym. Droga podania apomorfiny jest mniej uciążliwa i jest dobrym rozwiązaniem dla pacjentów samodzielnie funkcjonujących. Dlatego też jeden z ekspertów zasugerował usunięcie kryterium włączenia do programu pacjentów z zaawansowaniem choroby równym lub powyżej 3 stopnia w skali Hoehn-Yahra, który oznacza ciężką niepełnosprawność. Jednocześnie zniesienie ograniczenia do tylko dwóch najcięższych stopni niepełnosprawności spowoduje ogromne zwiększenie liczby pacjentów, dlatego zaproponował stanowisko negatywne. Wyraził także wątpliwość dotyczącą rzeczywistej skuteczności leczenia

pacjentów z zaawansowanym stadiem choroby w proponowanej populacji, z uwagi na niewielką liczebność pacjentów w badaniach.

Andrzej Śliwczyński zaproponował, aby zgłosić uwagi do opisu programu lekowego zamiast oceniać lek negatywnie.

Michał Myśliwiec przyznał rację Andrzejowi Kokoszce, że dopuszczenie ocenianej technologii do refundacji znacznie zwiększy populację chorych. Dlatego ze względów ekonomicznych popiera jej ograniczenie.

Piotr Szymański zasugerował zmianę instrumentu dzielenia ryzyka (RSS) na bardziej korzystny – w ten sposób kryteria włączenia do programu lekowego będą swobodniejsze.

Andrzej Śliwczyński zastanawiał się nad pozytywną oceną wnioskowanej technologii ze względu na niższe koszty leczenia, w porównaniu z dostępnym, refundowanym, alternatywnym sposobem leczenia systemem Duodopa. Dodał, że w analizie założono podział populacji w programie pomiędzy obydwie leki i zasugerował, żeby Rada w pozytywnym stanowisku zawarła warunek korzystniejszego RSS oraz zmiany kryteriów włączenia do programu. W ten sposób chorzy będą mieli alternatywę wobec obecnie stosowanej terapii.

Michał Myśliwiec poparł propozycję przedmówcy.

Andrzej Kokoszka wyjaśnił, iż negatywna propozycja stanowiska Rady, mimo faktu, iż jest to alternatywny lek dla chorych, wynika z wysokiej ceny leku oraz szeregu słabych punktów: braku randomizowanych badań klinicznych, możliwości przeprowadzenia metaanalizy, niewielkiej liczby chorych uczestniczących w badaniu, rozbieżności pomiędzy populacją badaną i wnioskowaną. Jego zdaniem jest to precedens w stosunku do innych programów lekowych.

Tomasz Pasierski wyraził przypuszczenie, iż brak badań jest spowodowany tym, że jest to uznana na świecie, ugruntowana praktyka kliniczna.

W dalszej części przeprowadzono konsultacje z przedstawicielem pacjentów – [REDAKTOWANE]. Wyjaśnił on, że chorzy na Parkinsona od kilku lat kupują lek Dacepton komercyjnie i jest on bardzo skuteczny w zaawansowanym stadium choroby. Poinformował, że zna przypadek pacjenta, który od 17 lat choruje na Parkinsona i za zgodą Ministerstwa Zdrowia sprowadza ten lek z Anglii, niestety w mniejszych dawkach niż powinien zażywać, gdyż nie stać go na pełne dawki. Na pytanie członka Rady o porównywalność z lekiem Duodopa odpowiedział, że Duodopa jest znacznie droższa od Daceptonu. Ponadto, Dacepton jest najmniej inwazyjną metodą dla chorych w zaawansowanym stadium Parkinsona i nie jest wymagana tak duża współpraca z opiekunem, jak w przypadku Duodopy. Dodał, że zna kilkanaście przypadków w Polsce z ostatnich 5 lat, gdzie chorzy komercyjnie kupują apomorfinę, a kuracja, nawet jeśli jest tańsza od Duodopy, to i tak kosztuje ok. 3-4 tysięcy miesięcznie.

Andrzej Kokoszka zapytał przedmówcę, w związku z tym, że podawał on przykłady pacjentów funkcjonujących samodzielnie, czy zdaje sobie sprawę z tego, iż wniosek dotyczy osób, które w zasadzie nie są w stanie samodzielnie funkcjonować.

Wojciech Machajek odpowiedział, że, według jego wiedzy, Dacepton mają otrzymać wszyscy pacjenci, którzy nie kwalifikują się do stymulacji mózgu. Przypomniał też, że oceniana technologia jest refundowana w Czechach, na Słowacji, w Rumunii, Bułgarii, Albanii oraz na Węgrzech.

Piotr Szymański zwrócił uwagę na niepewne koszty dodatkowe, np. cenę pompy, która może być zawyżona lub zaniżona, a także na niskie prawdopodobieństwo tego, że lek jest opłacalny kosztowo,

gdyż w większości przypadków analizy mieszczą się powyżej progu opłacalności kosztowej. Dodał, że w przypadku poszerzenia wskazań choroba ta przestaje być chorobą rzadką, a niepewność ekonomiczna staje się jeszcze większa.

Decyzją prowadzącego posiedzenie przełożono głosowanie do czasu ostatecznego sformułowania treści uchwały.

Ad 5. Na wstępie Paweł Grieb wyjaśnił, że leki objęte 5 i 6 punktem porządku obrad zawsze stosowane są razem i zaproponował ich wspólne omawianie, na co Rada wyraziła zgodę.

Następnie analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z opracowań nr: OT.4311.1.2017 i OT.4311.2.2017, „Daraprim (pirymethaminum) i Sulfadiazin-Heyl (sulfadiazinum) we wskazaniach: toksoplazmoza wrodzona, toksoplazmoza oczna, toksoplazmoza ośrodkowego układu nerwowego w przebiegu zakażenia HIV”.

Swoją propozycję stanowiska przedstawił Paweł Grieb, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Zaproponował pozytywne stanowisko Rady oraz przypomniał, że od czasu ostatniej pozytywnej rekomendacji nie pojawiły się żadne doniesienia o innej technologii medycznej, która, w przypadkach toksoplazmozy wymagającej leczenia, byłaby równie efektywna w dłuższym okresie, jak pirymetamina w terapii skojarzonej z sulfadiazyną. Toksoplazmoza spowodowana pierwotniakiem *Toxoplasma gondii* jest jedną z najczęstszych infekcji pasożytniczych u ludzi, dotyczącą co najmniej połowy populacji ogólnej, która u osób immunokompetentnych kończy się odpornością śródzakazną. Wskazania, wg wniosku, obejmują rzadko występujące postaci toksoplazmozy wymagające interwencji terapeutycznej. Toksoplazmoza wrodzona jest zazwyczaj skutkiem pierwszego kontaktu kobiety z pasożytem w okresie ciąży. Ryzyko zarażenia rośnie wraz z trwaniem ciąży, podczas gdy stopień nasilenia zmian patologicznych u płodu jest odwrotnie proporcjonalny do momentu ciąży, w którym doszło do zarażenia matki. Zakażenie w pierwszym trymestrze występuje rzadko, ale zwykle prowadzi do poronienia lub wewnątrzmacicznego obumarcia płodu. Zakażenie w drugim trymestrze skutkuje powstaniem ciężkich uszkodzeń rozwojowych dotyczących przede wszystkim ośrodkowego układu nerwowego. Zakażenie w późniejszym etapie ciąży prowadzi do rozwoju, nawet w wiele lat później, toksoplazmozy ocznej, której objawami są zapalenie gałki ocznej oraz rozwój trwałych ubytków w polu widzenia, niedowidzenia i ślepoty. Toksoplazmoza, u pacjentów w przebiegu zakażenia HIV, wywołana upośledzeniem odporności i niekontrolowanym namnażaniem się pasożyta, powoduje niewydolność wielonarządową i zaburzenia neurologiczne. Daraprim (pirymethaminum) jest stosowany w medycynie od roku 1953. W Polsce lek ten został zarejestrowany po raz pierwszy w roku 1977, a po raz ostatni w roku 2009 (podmiotem odpowiedzialnym była firma GlaxoSmithKlinie). Według ówczesnej Charakterystyki Produktu Leczniczego (ChPL) wskazania do stosowania Daraprimu obejmowały leczenie, w skojarzeniu z odpowiednim sulfonamidem, malarii oraz, w skojarzeniu z sulfadiazyną lub innym odpowiednim sulfonamidem, toksoplazmozy, w tym zakażeń ocznych, zakażeń wrodzonych oraz zakażeń u osób z niedoborem odporności. Obecnie lek ten nie jest w Polsce zarejestrowany. Aktualna charakterystyka leku Daraprim w kraju producenta (Wielka Brytania), jako wskazanie rejestracyjne, podaje tylko toksoplazmozę, włącznie z infekcjami ocznymi, potwierdzoną infekcją płodu w następstwie infekcji matczynej podczas ciąży i toksoplazmozę u pacjentów z niedoborami odporności, przy czym Daraprim musi być zawsze używany w kombinacji z synergistycznie działającym lekiem (np. z sulfadiazyną). Dodał, że brytyjska ChPL była wielokrotnie nowelizowana, a po roku 2009 wykluczono z niej wskazanie rejestracyjne do leczenia malarii, co było związane z tym, że większość klonów zarodźca malarii na świecie nabyła oporności na ten lek. Obecnie, produkcja przestała być interesem dla firmy GlaxoSmithKlinie, która odsprzedała prawa do tego leku na rynek amerykański firmie Turing Pharmaceuticals. Z drugiej strony

firma Turing ma siedzibę w Szwajcarii. W związku z powyższym oraz z faktem, że powyższy lek ma być sprowadzany z Wielkiej Brytanii Paweł Grieb wyraził obawę dotyczącą ceny produktu oraz jego dostępności w Wielkiej Brytanii. W dalszej kolejności poinformował, że kiedy Daraprim był w Polsce dostępny, jego cena w aptekach internetowych wynosiła od 8,25 do 37,24 zł za opakowanie zawierające 30 tabletek po 25 mg. Od czasu, gdy Daraprim przestał być zalecany w leczeniu malarii, jego ceny dynamicznie wzrastały. W roku 2015 (po nabyciu praw do marki przez szwajcarską firmę Turing Pharmaceuticals) cena za 1 tabletkę Daraprimu na rynku w USA skokowo wzrosła z 13,5 do 750 USD. Mimo powyższych wątpliwości zaznaczył, że wszystkie rekomendacje w przypadkach toksoplazmozy wymagającej leczenia zalecają stosowanie Daraprimu, jako leku wiodącego, a ponadto, powikłania związane z zastosowaniem Daraprimu i sulfadiazyny są mniej niebezpieczne dla pacjentów niż skutki nieleczzonej aktywnej infekcji.

Barbara Jaworska-Łuczak odniosła się do kwestii rejestracji. Wyjaśniła, że w momencie przystąpienia Polski do UE uznano, że polskie prawo farmaceutyczne nie jest zgodne z prawem unijnym i nastąpiła tzw. harmonizacja, która wyprowadziła z polskiego rynku kilkanaście tysięcy produktów leczniczych, łącznie z Daraprimem.

Michał Myśliwiec stwierdził, że Rada nie powinna brać pod uwagę kwestii związanych z rejestracją, gdyż są to względy typu formalnego.

Paweł Grieb wyjaśnił, iż oceniany lek nie jest nowy na polskim rynku, a także pomimo braku rejestracji, jego zastosowanie, w rzadkich przypadkach toksoplazmozy wymagającej leczenia, jest całkowicie zgodne z ChPL, która kiedyś była zatwierdzona w Polsce.

Michał Myśliwiec stwierdził, że jeśli Rada wyda negatywne stanowisko pozbawi chorych na toksoplazmozę możliwości leczenia podstawowymi lekami.

Następnie, Paweł Grieb odniósł się do drugiego ocenianego leku i przytoczył fragment proponowanego stanowiska wskazując, że sulfadiazynę wprowadzono do lecznictwa w 1941 r. Lek Sulfadiazin-Heyl (sulfadiazinum) w Polsce nie był i nie jest zarejestrowany, ale w 2002 r. był dopuszczony okresowo do obrotu bez konieczności uzyskania pozwolenia. Zgodnie z aktualną ChPL w kraju producenta jedynym zastosowaniem Sulfadiazin-Heyl jest leczenie toksoplazmozy (ostrej i nawrotowej) w kombinacji z pirymetaminą. Nie jest dostępna inna technologia medyczna, która, w przypadkach toksoplazmozy wymagających leczenia, byłaby równie efektywna w dłuższym okresie, jak sulfadiazyna w terapii skojarzonej z pirymetaminą. Sulfadiazyna może być krótkotrwale zastąpiona przez klindamycynę, również podawaną w skojarzeniu z pirymetaminą. W wymagających leczenia postaciach toksoplazmozy powikłania związane z zastosowaniem Daraprimu i sulfadiazyny są mniej niebezpieczne dla pacjentów niż skutki nieleczzonej aktywnej infekcji.

W tym momencie prowadzący posiedzenie powrócił do omawiania 4 punktu porządku obrad.

Ad 4. cd. 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. cd. Wobec braku innych głosów w dyskusji, 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 6. Rada 10 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 7. Swoją propozycję opinii przedstawił Tomasz Pasierski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponował pozytywną opinię oraz poinformował, iż na jednym z wcześniejszych posiedzeń Rada dopuściła do refundacji lek Eltrombopag - agonistę receptora dla trombopoetyny. Dodał, że wskazania do stosowania obydwu leków i ich skuteczność wydają się bardzo zbliżone, a wytyczne traktują oba leki jako równoważne. W jego ocenie, ze względu na równoważność obydwu produktów, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL) powinien być stosowany lek tańszy. Wyjaśnił również, iż w propozycji opinii dodał ograniczenie wskazania do stosowania u chorych po splenektomii lub u których splenektomii nie można wykonać. Dodał także, że u chorych po splenektomii jest to terapia trzeciego rzutu i nie ma dla niej alternatywy.

Wobec braku innych głosów, po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 9 głosami za projektem opinii Rady, przy 1 głosie przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Decyzją prowadzącego posiedzenie zmieniono porządek obrad. Rada najpierw omówiła 10 punkt porządku obrad, a następnie wróciła do 8 i 9.

Ad 10. Swoją propozycję opinii przedstawił Piotr Szymański, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponował pozytywną opinię Rady. Przypomniał, iż problem decyzyjny polega na akceptacji bądź odrzuceniu nowego schematu dawkowania cetuksymabu w zaawansowanym raku jelita grubego. Wyjaśnił, że nowy schemat postępowania polegałby na pominięciu dawki początkowej i podawaniu leku w innej niż przyjęta dawce, co dwa tygodnie. Umiarkowanej jakości dowody naukowe potwierdzają skuteczność cetuksymabu we wnioskowanej dawce, przy większej wygodzie dla pacjenta i zespołów leczących, w związku z dłuższymi odstępami podawania. Ten schemat postępowania nie jest rekomendowany przez Polskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej i European Society for Medical Oncology, znalazł się natomiast w rekomendacjach National Comprehensive Cancer Network. Lek jest stosowany we wnioskowanym schemacie także w niektórych krajach europejskich, co znalazło potwierdzenie w opinii NICE (ang. National Institute for Health and Care Excellence, brytyjska agencja oceny technologii medycznych).. Proponowana zmiana nie powinna w sposób istotny wpłynąć na wydatki płatnika publicznego związane z refundacją leku, a nieudokumentowane koszty pośrednie mogą być mniejsze. Ponadto, we wnioskowanym schemacie, lek jest stosowany w praktyce klinicznej.

Wobec braku innych głosów w dyskusji, 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.

Następnie Rada postanowiła wrócić do pierwotnego porządku obrad.

Ad 8. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: AOTMiT-OT-430-15/2015 „Zabezpieczanie profilaktyczne bruzd innymi materiałami”.

W dalszej kolejności swoją propozycję stanowiska przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Zaproponowała pozytywne stanowisko oraz wyjaśniła, iż obecnie zęby lakuje się dzieciom do 8 r. ż. i jest to finansowane w ramach NFZ. Zakwalifikowanie ocenianego świadczenia jako gwarantowanego poszerzy populację o dzieci do 14 r. ż. Wyraziła opinię, iż lepiej jest zalakować dzieciom zęby niż je leczyć, natomiast koszt świadczenia nie jest tak wysoki, aby je zanegować. Wszyscy konsultanci opowiedzieli się za wprowadzeniem go do refundacji, gdyż z dotychczasowych obserwacji klinicznych wynika, iż nie można zapobiec próchnicy w bruzdach jedynie poprzez

utrzymywanie dobrej higieny, właściwe odżywianie eliminujące próchnicotwórcze węglowodany, czy szeroko pojętą profilaktykę fluorkową.

Wobec braku innych głosów w dyskusji, 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 9. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: AOTMiT-OT-430-10/2015 „Świadczenia ogólnostomatologiczne wykonywane w znieczuleniu ogólnym”.

Następnie, swoją propozycję stanowiska przedstawił Marek Wroński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Zaproponował pozytywne stanowisko Rady oraz odczytał fragmenty swojego projektu.

Andrzej Śliwczyński wyraził wątpliwość, czy tego typu świadczenia nie powinny być wykonywane w warunkach szpitalnych, a nie w gabinecie stomatologicznym.

Marek Wroński odpowiedział, że świadczenie może być realizowane tylko w gabinetach wyposażonych w pełny sprzęt monitorujący i anestezjologiczny.

Andrzej Śliwczyński dodał, że nie będzie podmiotów realizujących tego świadczenia.

Marek Wroński odpowiedział, że w Warszawie są 4 prywatne ambulatoria stomatologiczne. W całej Polsce powstają takie miejsca, jednak ze względów finansowych jest ich za mało.

Andrzej Śliwczyński nie zgodził się z przedmówcą i stwierdził, że problem polega na tym, że w obecnej chwili, w ramach sieci zabezpieczenia szpitalnego, te zabiegi wykonywane są w ramach budżetu szpitala, który to świadczenie wykonuje. Natomiast wprowadzenie ocenianego świadczenia do refundacji spowoduje przekierowanie dodatkowych funduszy na rynek prywatny.

Marzanna Bieńkowska dodała, że być może to świadczenie jest kosztowne, niemniej jednak, w przypadku pacjentów niepełnosprawnych, to jest duży problem i nikt nie chce tych pacjentów przyjmować.

Andrzej Śliwczyński wyjaśnił, iż popiera stosowanie znieczulenia u dzieci, które nie chcą współpracować, ale tego typu zabiegi są możliwe do wykonania w szpitalach. W ten sposób te dodatkowe koszty związane z wprowadzeniem ocenianego świadczenia do refundacji można wydać na inny cel.

Marek Wroński przyznał rację przedmówcy, wskazał jednak na fakt, iż szpitale nie zatrudniają stomatologów. Podkreślił, iż w innych krajach wszelkie zabiegi stomatologiczne wykonywane są w ambulatoriach, w których ze stomatologiem współpracuje anestezjolog.

Andrzej Kokoszka dodał, że stomatologia jest niezwykłym przypadkiem społecznym, ponieważ wszystko dzieje się w strefie prywatnej. W związku z tym jest przeciwny wprowadzeniu ocenianego świadczenia do refundacji. Uważa, że powinno się ograniczyć prywatną praktykę.

Tomasz Pasierski dodał, że przykład amerykański pokazuje, że jest to terapia z wyboru, a terapia behawioralna w Polsce nie jest tak dostępna.

Marek Wroński dodał, iż w przypadku stomatologii będzie tak samo jak w przypadkach znieczulenia przy porodzie. Dopóki anestezjolog nie będzie otrzymywał honorarium za znieczulenie, kobiety nigdy nie będą mogły liczyć na znieczulenie w każdej chwili, jedynie w dużych ośrodkach, zatrudniających wielu anestezjologów. Oceniane świadczenie dotyczy natomiast trudnych przypadków. Dodał,

że ze względu na wymogi wyposażenia gabinetu i konieczność współpracy z anestezjologiem jest zdania, że nie ma ryzyka nadużycia świadczenia.

Zanim Rada przeszła do głosowania, prowadzący, na prośbę Marzanny Bieńkowskiej, powrócił do omawiania 8 punktu porządku obrad.

Ad 8. cd. Marzanna Bieńkowska wyjaśniła, że w wyniku nieporozumienia przygotowała projekt opinii Rady w oparciu o niewłaściwy raport. Wyjaśniła, iż nie chodzi tylko o lakowanie, lecz w ramach wnioskowanego świadczenia wykonywane będzie również opracowanie ubytku i wypełnienie oraz uszczelnienie sąsiadujących bruzd zębów stałych trzonowych z zastosowaniem materiałów typu flow.

Po wprowadzeniu korekt do treści stanowiska Rady prowadzący zarządził reasumpcję głosowania. Rada 10 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 9. cd. Wobec braku innych głosów w dyskusji, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 2 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 11. Pozytywną propozycję opinii przedstawił Andrzej Śliwczyński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Wyjaśnił, iż obecnie mitoxantron finansowany jest dla osób dorosłych w ramach katalogu chemioterapii, a bezpieczeństwo jego stosowania oraz skuteczność kliniczna są potwierdzone. Nie ma badań potwierdzających jego skuteczność u dzieci, jednak oceniana substancja czynna jest włączona do międzynarodowego protokołu leczenia wznów ostrej białaczki limfoblastycznej u dzieci IntReALL 2010 i jest zalecana zarówno w grupie standardowego ryzyka, jak i wysokiego ryzyka, co jest głównym argumentem za podjęciem pozytywnej opinii. Ponadto, przypomniał, że ostra białaczka limfoblastyczna jest nowotworem, który należy do najbardziej agresywnych chorób rozrostowych, a czas przeżycia bez odpowiedniego leczenia wynosi od kilku do kilkunastu tygodni oraz, że jest najczęstszą postacią białaczki występującej u dzieci.

Wobec braku innych głosów w dyskusji, 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 12. 1) Swoją propozycję opinii przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii. Zaproponowała opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT. Program skierowany jest do 6-letnich dzieci oraz ich rodziców i opiekunów. Planowane w programie interwencje to działania edukacyjne w formie spotkań z rodzicami/opiekunami prawnymi dzieci, badanie stomatologiczne połączone z oceną stanu jamy ustnej i zgryzu, instruktażem higieny jamy ustnej oraz oznaczeniem wskaźnika PUW, profilaktyczne zabiegi stomatologiczne: usunięcie płytki nazębnej, lakierowanie, lakowanie. Interwencje zaplanowane do realizacji przez wnioskodawcę powielają świadczenia gwarantowane zawarte w rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu stomatologii, natomiast oceniany program ma na celu zwiększenie dostępności do tych świadczeń. Zawiera on pewne błędy, jednak nie wpływają one na pozytywną ocenę.

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 Barbara Jaworska-Łuczak, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii. Zaproponowała opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT. Zaznaczyła, że program skierowany jest do dzieci w wieku 1-18 lat zamieszkałych na terenie gminy Legnickie Pole (ok. 1059 dzieci) oraz ich rodziców/opiekunów prawnych. Planowane interwencje to działania edukacyjne w formie pogadań grupowych oraz indywidualnych rozmów z dziećmi i ich rodzicami/opiekunami prawnymi oraz badanie stomatologiczne połączone z oceną stanu zdrowia jamy ustnej, instruktażem higieny jamy ustnej, oceną stanu uzębienia i zgryzu oraz oznaczeniem wskaźnika PUW (dla zębów mlecznych) i PUW (dla zębów stałych). Zawiera pewne błędy, jednak nie wpływają one na pozytywną ocenę.

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 przedstawił Marek Wroński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii. Zaproponował opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT. Poinformował, że program jest dosyć dobrze przygotowany. Jego głównym założeniem jest obniżenie wartości wskaźnika występowania próchnicy zębów oraz poprawa stanu uzębienia dzieci i młodzieży w wieku od 1 roku do 18 lat zamieszkujących powiat lubiński w okresie 3 lat trwania programu. Populację docelową programu stanowią dzieci w wieku 1-18 lat zamieszkujące powiat lubiński, a także ich rodzice/opiekunowie prawni. Wnioskodawca wskazał, że do programu zaplanowano włączenie 100% populacji docelowej (18 297 osób), jednak stwierdzono, że nie wszyscy rodzice wyrażą zgodę na udział dziecka w programie, w związku z tym oszacowano, że ostatecznie w programie weźmie udział 70% dzieci (12 808 osób) oraz min. jeden rodzic/opiekun prawny każdego dziecka.

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 Michał Myśliwiec. Zaproponował opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT. Poinformował, że projekt dotyczy przeprowadzenia szczepień profilaktycznych szczepionką 9-walentną przeciwko zakażeniom HPV u dziewcząt w wieku 13 lat. Jest to typowy program, w którym wnioskodawca zastosował nowy produkt leczniczy. Biorąc pod uwagę zaplanowane podanie 3 dawek szczepionki, przedstawione koszty wydają się znacznie zaniżone. Wskazano jednak, że rzeczywisty koszt jednostkowy zostanie określony w wyniku rozstrzygnięcia konkursu. Szczepionka została zaaprobowana przez Food and Drug Administration w USA pod koniec 2014 r., a European Medicines Agency (ang. Europejska Agencja ds. Leków) dopuściła ją do użytku w czerwcu 2015 r.

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 Michał Myśliwiec. Zaproponował opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT. Zaznaczył, że program zakłada przeprowadzenie szczepień profilaktycznych przeciwko zakażeniom HPV u dziewcząt w wieku 13 lat, uczęszczających do szkół na terenie gminy, a także działań edukacyjnych wśród młodzieży obu płci i ich rodziców/opiekunów prawnych. Program ma być realizowany w latach 2018-2020 ze środków

zabezpieczonych w budżecie gminy. Uwagi dotyczą chaotyczności programu i jego niezgodności z regułą S.M.A.R.T., głównie w zakresie nieprawidłowego sformułowania celu głównego i 4 celów szczegółowych oraz mierników efektywności. Wnioskodawca nie zaplanował także ewaluacji programu.

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 Jakub Pawlikowski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii. Zaproponował opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT. Wskazał, że planowane w programie interwencje, w postaci szczepień i edukacji, są działaniami o uznanej skuteczności i akceptowalnym profilu bezpieczeństwa, rekomendowanymi przez Światową Organizację Zdrowia, towarzystwa naukowe i ekspertów klinicznych oraz zalecane przez Ministra Zdrowia. Populacja docelowa jest określona właściwie, ponieważ osoby starsze są szczególnie narażone na powikłania grypy i znajdują się w grupie osób o najwyższych priorytetach rekomendacyjnych. Program zawiera drobne błędy, jednak nie wpływają one na pozytywną ocenę.

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 Marek Wroński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii. Zaproponował opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT. Poinformował, że przedmiotem opinii jest poprawnie napisany projekt programu polityki zdrowotnej w zakresie szczepień przeciwko grypie u osób w wieku 65 lat i więcej. Program będzie realizowany w latach 2018-2020. Wnioskodawca zamierza w 2018 r. zaszczepić 1000, a w latach kolejnych 1400 osób (w zależności od otrzymania dofinansowania z NFZ) spełniających kryteria włączenia.

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 13. Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 8.01.2018 r.

Ad 14. Prowadzący posiedzenie Michał Myśliwiec zakończył posiedzenie Rady o godzinie 13:28.

Protokół sporządził Michał Myśliwiec
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

.....
(data i podpis)

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czerwonym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na prywatność osoby fizycznej.

Zakres wyłączenia jawności: dane osobowe.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust.1 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. 1 ust. 1 oraz art. 23 ust.1 ustawy z dnia 29 sierpnia 1997 r. o ochronie danych osobowych (Dz. U. z 2014. poz. 1182 z późn. zm.).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: osoba fizyczna.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 151/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku

w sprawie oceny leku Dacepton (apomorphini hydrochloridum hemihydricum) kod EAN: 5909991247904 w ramach programu lekowego „Leczenie zaawansowanej choroby Parkinsona za pomocą apomorfiny podawanej w ciągłym wlewie podskórnym (ICD-10 G20)”

Rada Przejrzystości uznaje za nie zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Dacepton (apomorphini hydrochloridum hemihydricum), roztwór do infuzji, 5 mg/ml, 5 fiolek zawierających 20 ml, kod EAN: 5909991247904, w ramach proponowanego programu lekowego „Leczenie zaawansowanej choroby Parkinsona za pomocą apomorfiny podawanej w ciągłym wlewie podskórnym (ICD-10 G20)”.

Jednocześnie Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Dacepton (apomorphini hydrochloridum hemihydricum), roztwór do infuzji, 5 mg/ml, 5 fiolek zawierających 20 ml, kod EAN: 5909991247904, w ramach istniejącego programu lekowego „Leczenie zaburzeń motorycznych w przebiegu zaawansowanej choroby parkinsona (ICD-10 G.20)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem znacznego obniżenia ceny i korzystniejszej propozycji instrumentów dzielenia ryzyka, z wykorzystaniem cappingu.

Rada sugeruje usunięcie z kryteriów włączenia do programu kryterium wyniku w Skali Hoehn-Yahra >3 (który oznacza ciężką niepełnosprawność), co nie stanowi kryterium włączenia do badań klinicznych i eliminuje osoby, które mogą dzięki stosowaniu leku zachować samodzielność funkcjonowania.

Uzasadnienie

Problem kliniczny i terapeutyczny

Choroba Parkinsona (ChP) należy do chorób zwyrodnieniowych układu nerwowego. Jest jedną z najczęstszych przewlekłych chorób neurodegeneracyjnych ośrodkowego układu nerwowego, która związana jest z uszkodzeniem układu pozapiramidowego. Istotą choroby jest zanik komórek dopaminergicznych istoty czarnej prowadzący do niedoboru dopaminy w prążkowie. Kliniczne objawy pojawiają się po zniszczeniu ok. 50% komórek istoty czarnej i spadku produkcji dopaminy. Charakterystyczne dla tej choroby



są: spowolnienie ruchowe, sztywność mięśni, drżenie spoczynkowe, zaburzenia chodu oraz postawy. Ponadto u chorych występują omamy wzrokowe lub słuchowe, deficyt uwagi oraz zaburzenia funkcji poznawczych. Objawami towarzyszącymi są zazwyczaj zaburzenia wegetatywne. U połowy pacjentów z ChP dochodzi do rozwoju otępienia. W części przypadków dochodzi do lekooporności. Wnioskowane wskazanie dotyczy leczenia zaburzeń motorycznych w przebiegu zaawansowanej choroby Parkinsona (ICD-10 G.20) u pacjentów, u których dotychczasowe leczenie nie przynosi zadowalających efektów oraz występują przeciwwskazania do głębokiej stymulacji mózgu.

Dowody naukowe

Istnieją wyniki badań niskiej jakości (brak badań RCT, brak możliwości przeprowadzenia metaanalizy wyników dostępnych badań ze względu na ich heterogeniczność, a także niewielka liczba chorych uczestnicząca w badaniach), wskazujące na skuteczność Dacoptonu we wnioskowanych wskazaniach, jednak bez ograniczenia do osób z najbardziej zaawansowaną postacią choroby (wynik w Skali Hoehn-Yahra >3). Odsetek osób, które nie osiągają zadowalających efektów farmakoterapii i u których istnieją przeciwwskazania do głębokiej stymulacji mózgu jest stosunkowo nieduży i trudno przeprowadzić badania obejmujące duże populacje chorych.

W badaniach obserwacyjnych porównujących skuteczność APO-CSI (apomorfina w ciągłym wlewie podskórnym) + OTD (optymalna terapia doustna) vs OTD – EUROPAR 2011 oraz Di Rosa 2003 wykazano IS różnice na korzyść ocenianej interwencji w zakresie oceny jakości życia mierzonej w skali PDQ-8, skrócenia czasu trwania stanów off, sprawności ruchowej mierzonej za pomocą skali UPDRS-III oraz UPDRS-IV, nasilenia dyskinez mierzonego za pomocą skali AIMS, zmniejszenia dawki stosowanych leków przeciwparkinsonowych, nasilenia depresji w skali BDI oraz w zakresie nasilenia objawów pozaruchowych w skali NMSS dla domen związanych ze snem, nastrojem/apatią, uwagą, żołądkiem i jelitami, układem moczowym, a także dla wyniku ogółem oraz innych objawów pozaruchowych (ból, zmysłu smaku i powonienia, masy ciała i potliwości).

Lek ma akceptowalne ryzyko działań niepożądanych. W badaniu Di Rosa 2003 wykazano istotną statystycznie różnicę na niekorzyść wnioskowanej interwencji w zakresie występowania guzków skórnych w miejscu iniekcji. Do najczęściej zgłaszanych w badaniach działań niepożądanych należały: występowanie guzków skórnych, ospałość/senność, zapalenie podskórnej tkanki tłuszczowej, halucynacje oraz stan splątania.

Problem ekonomiczny

Lek jest drogi, a jego oszacowany inkrementalny współczynnik użyteczności kosztowej jest powyżej progu opłacalności. Jednak koszty jego stosowania mogą być mniejsze od aktualnie refundowanej terapii systemem Duodopa.

Główne argumenty decyzji

- Wyniki badań potwierdzają skuteczność Daceptonu we wskazanym wskazaniu.
- Pozytywne rekomendacje zespołów ekspertów w innych krajach.
- Refundacja apomorfiny w wielu krajach Europy.
- Niższe koszty leczenia, w porównaniu z dostępnym, refundowanym, alternatywnym sposobem leczenia systemem Duodopa.
- Wysoki oszacowany inkrementalny współczynnik użyteczności kosztowej.

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.4351.36.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Dacepton (apomorfina) we wskazaniu: Leczenie obniżających sprawność fluktuacji ruchowych (zjawisk on/off) u osób z chorobą Parkinsona, które utrzymują się pomimo stosowania doustnych leków przeciw chorobie Parkinsona”. Data ukończenia: 9 listopada 2017 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie przedstawicieli pacjentów przedstawione w trakcie posiedzenia.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 152/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Sulfadiazin-Heyl (sulfadiazinum) we wskazaniach: toksoplazmoza
wrodzona, toksoplazmoza oczna, toksoplazmoza OUN
w przebiegu zakażenia HIV**

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację, w ramach importu docelowego, leku Sulfadiazin-Heyl (sulfadiazinum), tabletki á 500 mg we wskazaniach: toksoplazmoza wrodzona, toksoplazmoza oczna, toksoplazmoza OUN w przebiegu zakażenia HIV.

Uzasadnienie

Problem kliniczny i terapeutyczny

*Toksoplazmoza spowodowana pierwotniakiem *Toxoplasma gondii* jest jedną z najczęstszych infekcji pasożytniczych u ludzi, dotykającą co najmniej połowy populacji ogólnej, która u osób immunokompetentnych kończy się odpornością śródzakaźną. Wskazania wg wniosku obejmują rzadko występujące postaci toksoplazmozy wymagające interwencji terapeutycznej. Toksoplazmoza wrodzona jest zazwyczaj skutkiem pierwszego kontaktu kobiety z pasożytem w okresie ciąży. Ryzyko zarażenia rośnie wraz z trwaniem ciąży, podczas gdy stopień nasilenia zmian patologicznych u płodu jest odwrotnie proporcjonalny do momentu ciąży, w którym doszło do zarażenia matki. Zakażenie w pierwszym trymestrze występuje rzadko, ale zwykle prowadzi do poronienia lub wewnątrzmacicznego obumarcia płodu. Zakażenie w drugim trymestrze skutkuje powstaniem ciężkich uszkodzeń rozwojowych dotyczących przede wszystkim ośrodkowego układu nerwowego. Zakażenie w późniejszym etapie ciąży prowadzi do rozwoju, nawet w wiele lat później, toksoplazmozy ocznej, której objawami są zapalenie gałki ocznej oraz rozwój trwałych ubytków w polu widzenia, niedowidzenia i ślepoty. Toksoplazmoza u pacjentów w przebiegu zakażenia HIV, wywołana upośledzeniem odporności i niekontrolowanym namnażaniem się pasożyta, powoduje niewydolność wielonarządową i zaburzenia neurologiczne.*



Dowody naukowe

Sulfadiazynę wprowadzono do lecznictwa w 1941r. Lek Sulfadiazin-Heyl (sulfadiazinum) w Polsce nie był i nie jest zarejestrowany, ale w 2002 r. był dopuszczony okresowo do obrotu bez konieczności uzyskania pozwolenia. Zgodnie z aktualną charakterystyką produktu leczniczego w kraju producenta jedynym zastosowaniem Sulfadiazin-Heyl jest leczenie toksoplazmozy (ostrej i nawrotowej) w kombinacji z pirymethaminą. Nie jest dostępna inna technologia medyczna, która w przypadkach toksoplazmozy wymagających leczenia byłaby równie efektywna w dłuższym okresie, jak sulfadiazyna w terapii skojarzonej z pirymetaminą. Sulfadiazyna może być krótkotrwale zastąpiona przez klindamycynę, również podawaną w skojarzeniu z pirymetaminą. W wymagających leczenia postaciach toksoplazmozy powikłania związane z zastosowaniem Daraprimu i sulfadiazyny są mniej niebezpieczne dla pacjentów niż skutki nieleczonej aktywnej infekcji.

Problem ekonomiczny

Dane epidemiologiczne dotyczące występowania postaci toksoplazmozy wymagających leczenia produktami leczniczymi sulfadiazinum i pirymethaminum, oraz dane o dotychczasowym faktycznym użyciu produktu leczniczego Sulfadiazin-Heyl wskazują, że liczba pacjentów wymagających leczenia z powodu aktywnej postaci toksoplazmozy wynosić będzie ok. 125 rocznie.

Główne argumenty decyzji

Nie jest znana inna technologia medyczna, która w przypadkach toksoplazmozy wymagających leczenia byłaby równie efektywna w dłuższym okresie, jak pirymetamina w terapii skojarzonej z sulfadiazyną. W wymagających leczenia postaciach toksoplazmozy powikłania związane z zastosowaniem Daraprimu i sulfadiazyny są mniej niebezpieczne dla pacjentów niż skutki nieleczonej aktywnej infekcji. Sulfadiazyna może być krótkotrwale zastąpiona przez klindamycynę, również podawaną w skojarzeniu z pirymetaminą. Całkowite zastąpienie lub wyparcie sulfadiazyny klindamycyną nie jest jednak możliwe, z uwagi na konieczność prowadzenia długotrwałej terapii przeciwpasożytnej

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r. poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby

oceny zasadności wydawania zgody na refundację, raportów nr OT.4311.1.2017 i OT.4311.2.2017 „Daraprim (pirymethaminum) i Sulfadiazin-Heyl (sulfadiazinum) we wskazaniach: toksoplazmoza wrodzona, toksoplazmoza oczna, toksoplazmoza ośrodkowego układu nerwowego w przebiegu zakażenia HIV”. Data ukończenia: 7 grudnia 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 153/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Daraprim (pirymethaminum) we wskazaniach: toksoplazmoza
wrodzona, toksoplazmoza oczna, toksoplazmoza OUN
w przebiegu zakażenia HIV**

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację, w ramach importu docelowego, leku Daraprim (pirymethaminum), tabletki á 25 mg we wskazaniach: toksoplazmoza wrodzona, toksoplazmoza oczna, toksoplazmoza OUN w przebiegu zakażenia HIV.

Uzasadnienie

Problem kliniczny i terapeutyczny

*Toksoplazmoza spowodowana pierwotniakiem *Toxoplasma gondii* jest jedną z najczęstszych infekcji pasożytniczych u ludzi, dotykającą co najmniej połowy populacji ogólnej, która u osób immunokompetentnych kończy się odpornością śródzakaźną. Wskazania wg wniosku obejmują rzadko występujące postaci toksoplazmozy wymagające interwencji terapeutycznej. Toksoplazmoza wrodzona jest zazwyczaj skutkiem pierwszego kontaktu kobiety z pasożytem w okresie ciąży. Ryzyko zarażenia rośnie wraz z trwaniem ciąży, podczas gdy stopień nasilenia zmian patologicznych u płodu jest odwrotnie proporcjonalny do momentu ciąży, w którym doszło do zarażenia matki. Zakażenie w pierwszym trymestrze występuje rzadko, ale zwykle prowadzi do poronienia lub wewnątrzmacicznego obumarcia płodu. Zakażenie w drugim trymestrze skutkuje powstaniem ciężkich uszkodzeń rozwojowych dotyczących przede wszystkim ośrodkowego układu nerwowego. Zakażenie w późniejszym etapie ciąży prowadzi do rozwoju, nawet w wiele lat później, toksoplazmozy ocznej, której objawami są zapalenie gałki ocznej oraz rozwój trwałych ubytków w polu widzenia, niedowidzenia i ślepoty. Toksoplazmoza u pacjentów w przebiegu zakażenia HIV, wywołana upośledzeniem odporności i niekontrolowanym namnażaniem się pasożyta, powoduje niewydolność wielonarządową i zaburzenia neurologiczne.*



Dowody naukowe

Daraprim (pirymethaminum) jest stosowany w medycynie od roku 1953. W Polsce lek ten został zarejestrowany po raz pierwszy w roku 1977, a po raz ostatni w roku 2009 (Podmiotem odpowiedzialnym była firma GlaxoSmithKlinie). Wg ówczesnej charakterystyki produktu leczniczego wskazania do stosowania Daraprimu obejmowały leczenie w skojarzeniu z odpowiednim sulfonamidem malarii, oraz leczenie w skojarzeniu z sulfadiazyną lub innym odpowiednim sulfonamidem toksoplazmozy, w tym zakażeń ocznych, zakażeń wrodzonych oraz zakażeń u osób z niedoborem odporności. Obecnie lek ten nie jest w Polsce zarejestrowany. Aktualna charakterystyka leku Daraprim w kraju producenta (Wielka Brytania), jako wskazanie rejestracyjne, podaje tylko toksoplazmozę, włącznie z infekcjami ocznymi, potwierdzoną infekcją płodu w następstwie infekcji matczynej podczas ciąży i toksoplazmozę u pacjentów z niedoborami odporności, przy czym Daraprim musi być zawsze używany w kombinacji z synergistycznie działającym lekiem (np. z sulfadiazyną).

Problem ekonomiczny

Kiedy Daraprim był w Polsce dostępny, jego cena w aptekach internetowych wynosiła od 8,25 do 37,24 zł za opakowanie zawierające 30 tabletek á 25 mg. Od czasu, gdy Daraprim przestał być zalecany w leczeniu malarii, jego ceny dynamicznie wzrastały. W roku 2015 (po nabyciu praw do marki przez szwajcarską firmę Turing Pharmaceuticals) cena za 1 tabletkę Daraprimu na rynku USA skokowo wzrosła z 13,5 do 750 USD.

Dane epidemiologiczne dotyczące występowania postaci toksoplazmozy wymagających leczenia produktami leczniczymi pirymethaminum i sulfadiazinum, oraz dane o dotychczasowym faktycznym użyciu produktu leczniczego Daraprim wskazują, że liczba pacjentów wymagających leczenia z powodu aktywnej postaci toksoplazmozy wynosić będzie ok. 125 rocznie.

Główne argumenty decyzji

Nie jest znana inna technologia medyczna, która w przypadkach toksoplazmozy wymagających leczenia byłaby równie efektywna w dłuższym okresie, jak pirymetamina w terapii skojarzonej z sulfadiazyną. W wymagających leczenia postaciach toksoplazmozy powikłania związane z zastosowaniem Daraprimu i sulfadiazyny są mniej niebezpieczne dla pacjentów niż skutki nieleczonej aktywnej infekcji.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r. poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację, raportów nr OT.4311.1.2017 i OT.4311.2.2017 „Daraprim (pirymethaminum) i Sulfadiazin-Heyl (sulfadiazinum) we wskazaniach: toksoplazmoza wrodzona, toksoplazmoza oczna, toksoplazmoza ośrodkowego układu nerwowego w przebiegu zakażenia HIV”. Data ukończenia: 7 grudnia 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 398/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
leku Nplate (romiplostym) we wskazaniu:
pierwotna małopłytkowość immunologiczna (ICD10: D69.3)**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Nplate (romiplostym), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań o 250 µg we wskazaniu: pierwotna małopłytkowość immunologiczna (ICD10: D69.3), u chorych po splenektomii lub u których splenektomii nie można wykonać.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Pierwotna małopłytkowość immunologiczna jest nabytym schorzeniem immunologicznym, przebiegającym z izolowanym obniżeniem liczby płytek we krwi obwodowej manifestującym się głównie krwawieniami z błon śluzowych. Zachorowalność roczną w ogólnej populacji dorosłych w Polsce szacuje się na 3,5/100 000. Groźne dla życia krwawienia do ośrodkowego układu nerwowego i przewodu pokarmowego są dość rzadkie.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Lek ten, będący agonistą receptora dla trombopoetyny (TPO_R), zwiększa wprawdzie liczbę płytek krwi i zmniejsza liczbę krwawień, w tym ciężkich krwawień, lecz nie przekłada się to na liczbę zgonów.

Bezpieczeństwo stosowania

W odległej obserwacji sięgającej 4 lat nie obserwowano znaczących działań niepożądanych związanych z samą terapią, ani z przebiegiem choroby podstawowej (Acta Haematol 2015;134:215–228).

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Jest akceptowalna.



Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Dodatkowe wydatki związane z refundacją agonistów TRO_R – romiplostynu i eltrombopagu, są w znacznej mierze równoważone oszczędnościami w zakresie finansowania mniej skutecznych immunoglobulin i rytuksymabu oraz kosztami leczenia ciężkich krwawień.

U większości chorych leku nie można odstawić, tak więc wydatki będą się kumulować. U chorych po splenektomii jest to terapia trzeciego rzutu i nie ma dla niej alternatywy.

Konkurencyjność cenowa oraz alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Rada rekomendowała uprzednio finansowanie w ramach RDTL innego leku agonisty TRO_R eltrombopagu. Wskazania do stosowania obydwu leków i ich skuteczność wydaje się bardzo zbliżone. Wytyczne traktują oba leki jako równoważne. W ramach RDTL powinien być stosowany tańszy z obydwu leków.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr OT.422.13.2017 „Nplate (romiplostym) we wskazaniu: pierwotna małopłytkowość immunologiczna (ICD10: D69.3)”. Data ukończenia: 06.12.2017.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 399/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku
w sprawie substancji czynnej cetuximabum we wskazaniach
pozarejestacyjnych: w programie lekowym „Leczenie
zaawansowanego raka jelita grubego (ICD-10 C18-20)”, jako
dodatkowy schemat dawkowania, we wskazaniu: brak dawki
początkowej, lek podawany co 2 tygodnie w dawce 500 mg/m²
powierzchni ciała**

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną cetuximabum we wskazaniach pozarejestacyjnych: w programie lekowym „Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego (ICD-10 C18-20)”, jako dodatkowy schemat dawkowania, we wskazaniu: brak dawki początkowej, lek podawany co 2 tygodnie w dawce 500 mg/m² powierzchni ciała.

Uzasadnienie

Problem kliniczny i terapeutyczny

Cetuksymab jest chimerycznym przeciwciałem monoklonalnym IgG1 skierowanym swoiście przeciwko receptorowi nabłonkowego czynnika wzrostu (EGFR) refundowanym we wnioskowanym wskazaniu – rak jelita grubego (ICD-10 C18-20). Rozważany przez Radę problem decyzyjny dotyczył zmiany w programie lekowym polegającej na wprowadzeniu, obok obowiązującego wcześniej schematu dawkowania, kolejnego schematu, nie wymienionego w Charakterystyce Produktu Leczniczego, to jest: 500 mg/m² co 2 tygodnie.

Dowody naukowe

Umiarkowanej jakości dowody naukowe sugerują, że cetuksymab może być stosowany we wnioskowanej dawce, bez negatywnych skutków dla jego skuteczności i bezpieczeństwa u chorych z nowotworem jelita grubego. Wnioskowany schemat dawkowania nie jest wprawdzie rekomendowany przez Polskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej (PTOK) i European Society for Medical Oncology (ESMO), znalazł się natomiast w rekomendacjach National Comprehensive Cancer Network (NCCN). Lek jest stosowany we wnioskowanym



schemacie także w niektórych krajach europejskich, co znalazło potwierdzenie w opinii National Institute for Health and Care Excellence (NICE).

Problem ekonomiczny

Proponowana zmiana nie powinna w sposób istotny wpłynąć na wydatki płatnika publicznego związane z refundacją leku. Uproszczony schemat podawania może natomiast zmniejszyć obciążenia organizacyjne ośrodków prowadzących tę grupę chorych.

Główne argumenty decyzji

We wnioskowanym schemacie lek jest stosowany w praktyce klinicznej. Schemat dawkowania wymieniony jest w rekomendacjach NCCN oraz akceptowany przez NICE. Zmiana nie powinna wpłynąć w sposób istotny na wydatki płatnika publicznego.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w pismach: PLA.4604.881.2017.PP.1 z dnia 06.11.2017 r, PLA.4604.881.2017.PP.2 z dnia 10.11.2017 r. oraz PLA.4604.881.2017.PP.3 z dnia 07.12.2017 r. dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie substancji czynnej cetuximabum, w programie lekowym „Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego (ICD-10 C18-20)”, jako dodatkowy schemat dawkowania, we wskazaniu: brak dawki początkowej, lek podawany co 2 tygodnie w dawce 500 mg/m² powierzchni ciała.

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 oceny zasadności objęcia refundacją ze środków publicznych leku Erbitux w schemacie dawkowania innym niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr OT.4321.8.2017 „Erbitux (cetuksymab) we wskazaniu: rak jelita grubego (C18-C20)”. Data ukończenia: 4 grudnia 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 154/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Zabezpieczenie profilaktyczne bruzd innymi materiałami”
jako świadczenia gwarantowanego**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Zabezpieczenie profilaktyczne bruzd innymi materiałami” jako świadczenia gwarantowanego.

Uzasadnienie

Oceniane świadczenie opieki zdrowotnej: zabezpieczenie profilaktyczne bruzd innymi materiałami (wypełnienia zapobiegawcze PRR) nie jest aktualnie finansowane ze środków publicznych. W ramach wnioskowanego świadczenia wykonywane będzie opracowanie ubytku i wypełnienie oraz uszczelnienie sąsiadujących bruzd zębów stałych trzonowych z zastosowaniem materiałów typu flow. Materiały do uszczelniania bruzd typu flow stanowią niejednorodną grupę materiałów, obejmują preparaty różniące się składem i właściwościami fizycznymi.

Metoda PRR wprowadzona w latach siedemdziesiątych przez Simonsena jest elementem minimalnie inwazyjna w stomatologii (ang. Minimally Invasive Dentistry – MID) zwana mikrostomatologią (ang. Micro Dentistry) i stanowi najmniej inwazyjną opcję leczenia umożliwiającą zmniejszenie utraty tkanek i dyskomfortu pacjenta. Łączy ona metodykę lakowania z oszczędnym opracowaniem ogniska próchnicowego. Zakres interwencji w metodzie PRR jest bezpośrednio związany ze stopniem zniszczenia tkanek zęba chorobą próchnicową i poziomem dyskomfortu pacjenta. Minimalnie interwencyjna stomatologia pozwala na skuteczne i znacznie ograniczone działanie terapeutyczne w najwcześniejszym stadium choroby próchnicowej.

Z dotychczasowych obserwacji klinicznych wynika, iż w określonych przypadkach nie można zapobiec próchnicy w bruzdach jedynie poprzez utrzymywanie dobrej higieny, właściwe odżywianie eliminujące próchnicotwórcze węglowodany czy szeroko pojętą profilaktykę fluorkową. W metaanalizie Ahovuo Saloranta z 2017 roku przedstawiono ocenę efektywności i bezpieczeństwa płynnych materiałów kompozytowych. W czasie



objętym badaniem nie stwierdzono występowania działań niepożądanych. Ponadto stwierdzono, iż zastosowanie płynnych materiałów kompozytowych zmniejsza ryzyko występowania próchnicy w porównaniu z niestosowaniem wypełnień.

W przeglądzie Baroudi z 2015 roku stwierdzono, iż płynne materiały kompozytowe nadają się do wykonywania wypełnień zapobiegawczych PRR. Według autorów płynne materiały kompozytowe są materiałami pierwszego wyboru do uszczelniania bruzd. Należy jednak podkreślić, że występuje duża różnorodność w obrębie materiałów wypełniających ze względu na ich skład oraz właściwości fizyko-chemiczne, a ich zastosowanie musi być dostosowane do odpowiedniej sytuacji klinicznej. Przegląd McComb z 2001 roku zawiera dane dotyczące nieszczelności wypełnień oraz porównania wypełnień PRR z amalgamatem. Według autorów PRR stanowi skuteczną metodę leczenia miejscowych zmian próchnicowych. Konieczne jest również regularnie monitorowanie stanu wypełnień oraz ich uzupełniania.

Odnaleziono 6 rekomendacji klinicznych różnych organizacji/paneli eksperckich: amerykańskie American Academy of Pediatric Dentistry (AAPD) z 2016 oraz z 2015 roku, amerykańskie American Dental Association (ADA) z 2008 roku, europejskie (EAPD) z 2004 roku, szkockie (SIGN) z 2014 roku oraz australijskie New South Wales Government (NSW) z 2013 roku. W ramach wyszukiwania aktualizacyjnego odnaleziono aktualizację wytycznych ADA z roku 2016.

Jedynie jedne wytyczne (EAPD 2004), odnoszą się bezpośrednio do stosowania technik minimalnej interwencji, takiej jak wypełnienie zapobiegawcze (ang. preventive resin restoration), wskazując, iż jest to skuteczna metoda uszczelniania bruzd i szczelin w przypadkach, gdy zmiana próchnicowa obejmuje jedynie szkliwo zębowe. Nie wskazano jednak żadnych rekomendacji odnoszących się do rodzaju materiału możliwego do zastosowanie do wypełnienia zapobiegawczego. W amerykańskich wytycznych AAPD 2015 wymieniane są kompozytowe żywice jako stosowane do wypełnień zapobiegawczych w zębach trzonowych, jednakże nie podano żadnych odnoszących się do nich rekomendacji. W wytycznych australijskich (NSW 2013) wskazano, że zastosowanie uszczelniaczy na bazie żywicy w przypadku demineralizacji szkliwa lub uszkodzenia szkliwa bez uszkodzenia zębiny może uniemożliwić dalszy rozwój próchnicy.

Odnalezione wytyczne są zgodne co do efektywności uszczelniania bruzd i szczelin. Jedne wytyczne (AAPD 2016) wskazują na wyższość materiałów na bazie żywic w porównaniu z cementami szkło-jonomerowymi w kwestii długoterminowej retencji. Jedne wytyczne (ADA 2016) postulują niemożność wykazania wyższości jednego materiału nad pozostałymi na podstawie dostępnych danych. Jedne wytyczne (EAPD 2014) odnoszą się do wypełnienia

zapobiegawczego, wskazując na jego skuteczność. Żadne z odnalezionych wytycznych nie odnoszą się stricte do materiałów typu flow.

Zgodnie z danymi otrzymanymi z Narodowego Funduszu Zdrowia, NFZ nie posiada żadnych informacji odnośnie ewentualnych kosztów lub potrzeb zdrowotnych świadczenia „zabezpieczanie profilaktyczne bruzd innymi metodami”.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr: AOTMiT-OT-430-15/2015 „Zabezpieczanie profilaktyczne bruzd innymi materiałami”. Data ukończenia: 8 grudnia 2017.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 155/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku

w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej „Leczenie stomatologiczne dzieci niewspółpracujących w znieczuleniu ogólnym” jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Leczenie stomatologiczne dzieci niewspółpracujących w znieczuleniu ogólnym” jako świadczenia gwarantowanego.

Uzasadnienie

Problem kliniczny i terapeutyczny

Obecność licznych zębów z próchnicą i pulpopatiami, wymagających leczenia endodontycznego lub ekstrakcji, łączy się z koniecznością odbycia wielu wizyt w gabinecie stomatologicznym, które powodują stres dziecka i jego opiekunów. Przygotowanie najmłodszych pacjentów do zabiegów leczniczych z zastosowaniem metod behawioralnych i/lub zastosowania znieczulenia miejscowego jest w takich przypadkach najczęściej niewystarczające, co utrudnia, a najczęściej uniemożliwia prawidłowe wykonanie zabiegu. Próby zmuszenia dziecka do poddania się leczeniu pod wpływem siły fizycznej najczęściej prowadzą do poważnego urazu psychicznego i frantycznego oporu przed jakimkolwiek leczeniem.

W związku z tym u najmłodszych pacjentów absolutnie niewspółpracujących, u których są znaczne potrzeby w zakresie leczenia endodontycznego lub posiadających liczne zęby do ekstrakcji, wykonanie czynności leczniczych umożliwia tylko zastosowanie znieczulenia ogólnego lub średnio-głębokiej sedacji, przeprowadzonej przez anestezjologa.

Dowody naukowe

Zabiegi stomatologiczne u dzieci w znieczuleniu ogólnym lub głębokiej sedacji są wykonywane rutynowo od wielu lat. Szczególnie rozwiązują problem z opieką stomatologiczną u osób upośledzonych umysłowo, psychicznie chorych jak również u dzieci nadmiernie pobudliwych i tzw. specjalnej troski. Znieczulenie ogólne stosowane jest też u osób ze stwierdzoną alergią na środki znieczulenia miejscowego, osób z rozlanymi stanami zapalnymi okolicy szczękowo-



twarzowej i osób zakwalifikowanych do ekstrakcji mnogich w różnych sektorach jamy ustnej. Jest to też jedyny skuteczny sposób przewycięzania dentofobii.

Ocenia się, że w Stanach Zjednoczonych co roku wykonuje się od 100 tys. do 250 tys. znieczuleń do zabiegów stomatologicznych u dzieci w średnio-głębokiej sedacji lub w znieczuleniu ogólnym.

Wykonane znieczulenie ogólne przez doświadczonego anestezjologa nie powinno się zakończyć jakimikolwiek powikłaniami, aczkolwiek tego typu znieczulenia ambulatoryjne wymagają pełnego wyposażenia w sprzęt monitorujący i anestezjologiczny oraz dużej ostrożności. Wśród 7041 przypadków znieczuleń ogólnych do zabiegów stomatologicznych przeprowadzonych w warunkach ambulatoryjnych w latach 2010-2014 w amerykańskim stanie Indiana nie zdarzyło się żadne poważniejsze powikłanie.

W innych badaniach stwierdzono, że leczenie stomatologiczne w znieczuleniu ogólnym prowadzi do poprawy jakości życia dzieci we wszystkich rozważanych aspektach, zaś rodzice zaobserwowali, że dzieci były w lepszej kondycji fizycznej, lepiej spały, miały lepszy apetyt i nie bolały ich zęby. Jakość życia dzieci uległa istotnej poprawie w aspektach psychologicznym i społecznym – rodzice odnotowali, że dzieci częściej się uśmiechały, miały lepsze wyniki w szkole i lepsze stosunki z innymi dziećmi. Zmiany w poszczególnych kategoriach były istotne statystycznie.

Problem ekonomiczny

Brak jest danych na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń, ale odnosząc się do kosztów związanych ze znieczuleniem ok 5 tys. dzieci z niedorozwojem umysłowym, które pokrywa płatnik publiczny, można założyć, że leczenie stomatologiczne z zastosowaniem głębokiej sedacji lub ogólnego znieczulenia może objąć co roku ok. 20 - 30 tysięcy dzieci, co pociągnie za sobą koszty w wysokości ok. 40-60 milionów złotych rocznie.

W prywatnej praktyce stomatologicznej godzina znieczulenia ogólnego kosztuje ok. 900 zł, zaś koszt wizyty przedzabiegowej i koszt opieki pielęgniarskiej po zabiegu to około 300 –450 zł.

Główne argumenty decyzji

Zabiegi stomatologiczne u niekooperujących i „śmiertelnie” przestraszonych dzieci bez znieczulenia ogólnego są bardzo trudne lub wręcz niemożliwe do przeprowadzenia i brak jest alternatywnej metody. W krajach europejskich znieczulenie ogólne w gabinecie stomatologicznym u przerażonych wizytą dzieci jest normą i ma na celu skuteczne leczenie oraz pozbawienie małych pacjentów poważnego stresu, który w przyszłości rzutuje na ich zachowania.

Konsultant krajowy ds. stomatologii dziecięcej od dawna uznaje, że istnieje olbrzymia potrzeba finansowania tego typu znieczuleń dla małych pacjentów w gabinetach stomatologicznych.

Rada Przejrzystości przychyliła się do jego stanowiska.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr: AOTMiT-OT-430-10/2015 „Świadczenia ogólnostomatologiczne wykonywane w znieczuleniu ogólnym”. Data ukończenia: 08.12.2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 400/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku w sprawie substancji czynnej mitoxantronum we wskazaniach pozarejestacyjnych: leczenie wznowy ostrej białaczki limfoblastycznej u dzieci

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną mitoxantronum we wskazaniach pozarejestacyjnych: leczenie wznowy ostrej białaczki limfoblastycznej u dzieci.

Uzasadnienie

Problem kliniczny i terapeutyczny

Ostra białaczka limfoblastyczna (ALL, ang. Acute Lymphoblastic Leukemia) jest nowotworem z komórek prekursorowych limfocytów. Należy do najbardziej agresywnych chorób rozrostowych, a czas przeżycia bez odpowiedniego leczenia wynosi od kilku- do kilkunastu tygodni. ALL cechuje się dużą wrażliwością na chemioterapię i u około 90% chorych udaje się uzyskać całkowitą remisję (CR). Niestety, u prawie połowy z nich dochodzi do nawrotu choroby, który jest obarczony jednoznacznie złym rokowaniem.

W Polsce białaczkę rozpoznaje się co roku w liczbie około 35 chorych/mln dzieci, w innych krajach Europy wskaźnik ten wynosi około 44/mln dzieci. ALL jest najczęstszą postacią białaczki u dzieci – stanowi około 75-80% rozpoznań. W porównaniu z całą populacją znacznie większą predyspozycję do wystąpienia białaczki stwierdza się u dzieci z różnymi zespołami chromosomowymi, w tym przede wszystkim z trisomią chromosomu 21. (zespół Downa), w ataksji, teleangiektazji, niedokrwistości aplastycznej Fanconiego.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono wytycznych praktyki klinicznej we wskazaniu leczenie wznowy ostrej białaczki limfoblastycznej u dzieci. Jednocześnie zgodnie z opiniami ekspertów klinicznych w międzynarodowym protokole leczenia wznów ostrej białaczki limfoblastycznej u dzieci IntReALL 2010 preparat mitoxantron jest zalecany zarówno w grupie standardowego ryzyka (SR) jak i wysokiego ryzyka (HR). Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 25 października 2017 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. Urz. Ministra



Zdrowia z 2017 r., poz. 105) substancje: idarubicyna, asparaginaza, siarczan bleomycyny, karboplatyna, chlorabucyl, cisplatyna, kladrybina, cyklofosamid, cytarabina, dakarbazyna, doksorubicyna, epirubicyna, etopozyd, fludarabina, ifosfamid, interferon alfa-2b, merkaptopuryna, metotreksat, pegaspargaza, rytuksymab, tioguanina, winblastyna, winkrystyna, klofarbina, nelarabina, imatinib, kryzantaspaza, są refundowane we wskazaniu ICD-10: C91.0 ostra białaczka limfoblastyczna.

Jednakże brak jest informacji (tj. wytycznych klinicznych, opinii ekspertów) potwierdzających wykorzystanie wszystkich powyższych substancji w praktyce klinicznej w leczeniu wznowy ostrej białaczki limfoblastycznej u dzieci.

Problem ekonomiczny

W wyniku wyszukiwania przeprowadzonego na stronach stowarzyszeń lub agencji HTA nie zidentyfikowano rekomendacji finansowych dotyczących stosowania mitoxantronu w analizowanym wskazaniu. Aktualnie oceniane produkty lecznicze zawierające substancję czynną mitoxantron nie są refundowane we wskazaniu ICD-10: C91.0 ostra białaczka limfoblastyczna.

Główne argumenty decyzji

W międzynarodowym protokole leczenia wznów ostrej białaczki limfoblastycznej u dzieci IntReALL 2010 preparat mitoxantron jest zalecany zarówno w grupie standardowego ryzyka (SR) jak i wysokiego ryzyka (HR).

Protokół	Opis
IntReALL 2010	2 grupy ryzyka: 1. HR (grupa wysokiego ryzyka) - faza indukcji (cykl H1A - R3Mitox): mitoxantron + deksametazon + winkrystyna + pegaspargaza + metotreksat (między 1 a 4 tygodniem leczenia) 2. SR (grupa standardowego ryzyka) - faza konsolidacji (cykl HC2): mitoxantron + deksametazon + cytarabina + etopozyd + pegaspargazą + terapia dokonałowa (metotreksat + cytarabina + prednizon) (między 8 a 10 tygodniem leczenia)

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w pismach: PLA.4604.873.2017.PP.1 z dnia 06.11.2017 r., PLA.4604.873.2017.PP.2 z dnia 10.11.2017 r. oraz PLA.4604.873.2017.PP.3 z dnia 07.12.2017 r. dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie substancji czynnej mitoxantronum we wskazaniu: leczenie wznowy ostrej białaczki limfoblastycznej u dzieci.

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 oceny zasadności objęcia finansowaniem ze środków publicznych leków zawierających substancję czynną mitoxantron we wskazaniu innym niż określone w ChPL, raport

nr OT.4321.7.2017 „Mitoxantron we wskazaniu: leczenie wznowy ostrej białaczki limfoblastycznej u dzieci”.
Data ukończenia: 8 grudnia, 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 401/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku o projekcie programu „Ząbki moje muszą o was dbać, by wszystkim piękny uśmiech dać” (m. Leszno)

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Ząbki moje muszą o was dbać, by wszystkim piękny uśmiech dać” (m. Leszno), pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Oceniany projekt programu odnosi się do konkretnego, dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego jakim jest próchnica. Wpisuje się on w priorytety zdrowotne zawarte w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. ws. priorytetów zdrowotnych (Dz.U.2009 nr 137 poz. 1126), mianowicie: „zapobieganie najczęstszym problemom zdrowotnym i zaburzeniom rozwoju fizycznego i psychospołecznego dzieci i młodzieży objętych obowiązkiem szkolnym i obowiązkiem nauki oraz kształcących się w szkołach ponadgimnazjalnych do ich ukończenia”. Program skierowany jest do 6 letnich dzieci oraz ich rodziców i opiekunów. Planowane interwencje to działania edukacyjne w formie spotkań z rodzicami/opiekunami prawnymi dzieci, badanie stomatologiczne połączone z oceną stanu jamy ustnej i zgryzu, instruktażem higieny jamy ustnej oraz oznaczeniem wskaźnika PUW, profilaktyczne zabiegi stomatologiczne: usunięcie płytki nazębnej, lakierowanie, lakowanie. Cel główny i cele szczegółowe nie do końca zgodny z zasadą SMART. Natomiast zaproponowane mierniki umożliwiają obiektywne i precyzyjne zmierzenie stopnia realizacji poszczególnych celów. Program zaplanowano na 2018 rok. Wnioskodawca określił że omawiany PPZ, docelowo ma stać się programem wieloletnim. Warto podkreślić, że dla osiągnięcia trwałości efektów programy polityki zdrowotnej powinny charakteryzować się długofalowymi działaniami. Edukowanie rodziców/opiekunów prawnych dzieci, jest zgodne z wytycznymi (EAPD 2016, RACPG 2016, NICE 2014, IOHSGI 2009, FPZJU 2004). Realizacja zaplanowanych zabiegów stomatologicznych (lakowanie, lakierowanie, usunięcie płytki nazębnej) zalecane jest zarówno w celu zapobiegania powstaniu próchnicy jak i ograniczenia jej rozwoju. Interwencje zaplanowane do realizacji przez wnioskodawcę (badania oraz zabiegi stomatologiczne) powielają świadczenia gwarantowane zawarte w rozporządzeniu Ministra



Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu stomatologii. Należy wskazać, że wykonanie powyższych badań oraz zabiegów stomatologicznych u dzieci w wieku 6 lat można uznać jednak za działania mające na celu zwiększenie dostępu do świadczeń. W projekcie programu określono warunki dotyczące personelu, wyposażenia i warunków lokalowych. Realizator zostanie wyłoniony w drodze konkursu.

Prawidłowo oszacowano koszty jednostkowe i całkowite. Nie przedstawiono żadnych wskaźników dotyczących działań edukacyjnych podejmowanych w ramach programu.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.338.2017 „Zębki moje muszą o was dbać, by wszystkim piękny uśmiech dać” realizowany przez: Miasto Leszno, Warszawa, grudzień 2017 oraz Aneksu „Programy profilaktyki próchnicy u dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z listopada 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 402/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku o projekcie programu „Program profilaktyki próchnicy zębów u dzieci z Gminy Legnickie Pole”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki próchnicy zębów u dzieci z Gminy Legnickie Pole”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Oceniany projekt programu odnosi się do konkretnego, dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego jakim jest próchnica. Wpisuje się on w priorytety zdrowotne zawarte w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. ws. priorytetów zdrowotnych (Dz.U.2009 nr 137 poz. 1126), mianowicie: „zapobieganie najczęstszym problemom zdrowotnym i zaburzeniom rozwoju fizycznego i psychospołecznego dzieci i młodzieży objętych obowiązkiem szkolnym i obowiązkiem nauki oraz kształcących się w szkołach ponadgimnazjalnych do ich ukończenia”.

Należy zaznaczyć, że prowadzenie zintegrowanej, skojarzonej profilaktyki próchnicy zębów, w tym organizacja bezpłatnej opieki stomatologicznej (profilaktycznej i leczenia) dla dzieci i młodzieży, stanowi czwarty cel operacyjny krajowego Narodowego Programu Zdrowia na lata 2016-2020.

Program skierowany jest dla dzieci w wieku 1-18 lat, zamieszkałych na terenie gminy Legnickie Pole (ok. 1059 dzieci) oraz ich rodziców/opiekunów prawnych.

Planowane interwencje to działania edukacyjne w formie pogadank grupowych oraz indywidualnych rozmów z dziećmi i ich rodzicami/opiekunami prawnymi oraz badanie stomatologiczne połączone z oceną stanu zdrowia jamy ustnej, instruktażem higieny jamy ustnej, oceną stanu uzębienia i zgryzu oraz oznaczeniem wskaźnika puw (dla zębów mlecznych) i PUW (dla zębów stałych).

Cel główny i niektóre cele szczegółowe nie do końca są zgodne z zasadą SMART. Zaproponowane przez wnioskodawcę mierniki odnoszą się jedynie do celów związanych z edukacją uczestników. Nie przedstawiono mierników dotyczących pozostałych celów programu. Program zaplanowano na lata 2018-2020. Wnioskodawca wskazał na możliwość kontynuacji działań zawartych w programie w latach kolejnych, co będzie uzależnione od: posiadania



wystarczających środków finansowych przez gminę Legnickie Pole oraz wyników ewaluacji opiniowanego programu.

Wytyczne (EAPD 2016, FDI 2016, AAPD 2014C, AAPD 2013) jasno wskazują na konieczność przeprowadzania oceny ryzyka wystąpienia próchnicy u każdego pacjenta. Zasadne jest wyodrębnienie osób z wysokim ryzykiem próchnicy i stosowanie u nich intensywnych, indywidualnie ukierunkowanych działań profilaktycznych (ACFF 2016). Należy przyjąć zatem, że świadczenia zaproponowane przez wnioskodawcę są zgodne z wytycznymi/rekomendacjami.

Wykonanie powyższych badań w grupie wiekowej 1-18 lat można uznać za uzupełnienie świadczeń finansowanych w ramach NFZ. Interwencje zaplanowane do realizacji przez wnioskodawcę, po części powielają świadczenia gwarantowane zawarte w Rozporządzeniu MZ w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu stomatologii.

Realizatorem programu będzie podmiot leczniczy wyłoniony w drodze konkursu ofert, co pozostaje w zgodzie z zapisami ustawowymi. Realizator będzie zobowiązany, m.in. do poinformowania dyrektorów placówek oświatowych o warunkach uczestnictwa w programie.

Całkowity budżet programu oszacowano na 56 317,80 zł (18 772,60 zł rocznie). Program ma zostać sfinansowany z budżetu Gminy Legnickie Pole lub przy wsparciu środków zewnętrznych przeznaczonych dla jst na realizację programów profilaktycznych (wnioskodawca nie wskazał źródła pochodzenia środków zewnętrznych).

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.345.2017 „Program profilaktyki próchnicy zębów u dzieci z Gminy Legnickie Pole” realizowany przez: Gminę Legnickie Pole, Warszawa, grudzień 2017 oraz Aneksu „Programy profilaktyki próchnicy u dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z listopada 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 403/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku o projekcie programu „Program profilaktyki próchnicy zębów u dzieci z Powiatu Lubieńskiego”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki próchnicy zębów u dzieci z Powiatu Lubieńskiego”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Wnioskodawca przedstawił problem zdrowotny w sposób poprawny. Przytoczono definicję próchnicy, przyczyny powstawania procesu próchnicowego, jak również konsekwencje związane z niepodjęciem leczenia próchnicy.

Oceniany projekt programu odnosi się do konkretnego, dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego jakim jest próchnica. Wnioskodawca zamieścił stosowne referencje bibliograficzne, na podstawie których została przygotowana treść problemu zdrowotnego.

Głównym założeniem programu jest „obniżenie wartości wskaźnika występowania próchnicy zębów (puw/PUW) oraz poprawa stanu uzębienia dzieci i młodzieży w wieku od 1 roku do 18 lat zamieszkujących Powiat Lubieński w okresie 3 lat trwania programu”. Wnioskodawca nie określił konkretnej wartości obniżenia wskaźnika występowania próchnicy zębów do jakiej chce dążyć.

Projekt zawiera również 6 celów szczegółowych, które stanowią uzupełnienie głównego założenia. Cele w postaci „zrównania dostępności do edukacji prozdrowotnej, przeglądów stomatologicznych niezależnie od statusu społeczno-ekonomicznego w ciągu 3 lat trwania programu” i „zdiagnozowania potrzeb zdrowotnych badanej populacji na terenie Powiatu Lubieńskiego na podstawie wyników badań profilaktycznych w ciągu 3 lat trwania programu” zostały sformułowane w sposób nieprawidłowy, gdyż są działaniami. Cel dotyczący „wzrostu świadomości rodziców/opiekunów prawnych odnośnie konieczności profilaktyki oraz zapobiegania próchnicy” nie jest w pełni zgodny z zasadą SMART. Pozostałe 3 cele zostały sformułowane w sposób prawidłowy.



Wnioskodawca zaproponował również 2 mierniki efektywności. Miernik, w postaci „liczby i odsetka rodziców, u których wzrósł poziom wiedzy z zakresu profilaktyki próchnicowej oraz stosowania właściwej diety u dziecka”, został sformułowany w sposób prawidłowy. Drugi z zaproponowanych mierników: „liczba i odsetek dzieci, u których wzrósł poziom świadomości zdrowotnej i wiedzy na tematy związane z profilaktyką choroby próchnicowej, zweryfikowane poprzez test dla dzieci” jest sformułowany w sposób poprawny, natomiast należy zwrócić uwagę, że w związku z szeroką grupą odbiorców programu należałoby dostosować treść testu do wieku uczestników. Należy ponadto zaznaczyć, że jedynie sprawdzenie wiedzy uczestników przed i po przeprowadzeniu edukacji jest działaniem prawidłowym, gdyż dopiero porównanie wyników obu testów pozwoli na ocenę skuteczności działań edukacyjnych. Zaproponowane przez wnioskodawcę mierniki odnoszą się jedynie do celów związanych z edukacją uczestników. Nie przedstawiono mierników dotyczących pozostałych celów programu.

Program zaplanowano na lata 2018-2020. Wnioskodawca wskazał na możliwość kontynuacji działań zawartych w programie w latach kolejnych, co będzie uzależnione od: posiadania wystarczających środków finansowych przez powiat lubiński oraz wyników ewaluacji opiniowanego programu.

Populację docelową programu stanowią dzieci w wieku 1-18 lat zamieszkujące powiat lubiński, a także ich rodzice/opiekunowie prawni. Wnioskodawca wskazał, że do programu zaplanowano włączenie 100% populacji docelowej (18 297 osób), jednak stwierdzono, że „nie wszyscy rodzice wyrażą zgodę na udział dziecka w programie”. W związku z tym oszacowano, że ostatecznie w programie weźmie udział 70% dzieci (12 808 osób) oraz min. jeden rodzic/opiekun prawny każdego dziecka. Nie jest jasne, dlaczego zdecydowano się na wyznaczenie powyższego odsetka osób biorących udział w programie. Nie określono co, w wypadku zgłoszenia się do programu większej liczby dzieci niż planowane 70%, zadecyduje o udzieleniu świadczeń.

W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie następujących interwencji: edukacji w formie pogadanek grupowych oraz indywidualnych rozmów z dziećmi i ich rodzicami/opiekunami prawnymi, a także badań stomatologicznych połączonych z oceną stanu zdrowia jamy ustnej, instruktażem higieny jamy ustnej, oceną stanu uzębienia i zgryzu oraz oznaczeniem wskaźnika puw (dla zębów mlecznych) i PUW (dla zębów stałych). Określono kryteria kwalifikacji dzieci do programu (wiek, uczęszczanie do placówek oświatowych na terenie powiatu lubińskiego oraz pisemna zgoda rodziców/opiekunów prawnych). Wnioskodawca załączył wzór deklaracji zgody rodzica/opiekuna na udział w programie, który nie budzi zastrzeżeń analityka.

W projekcie programu określono warunki dotyczące personelu, wyposażenia i warunków lokalowych. Badania ma wykonywać lekarz dentysta

(wraz z określonymi w programie osobami, np. pomocą dentystyczną lub higienistką dentystyczną). Realizatorem programu będzie podmiot leczniczy wyłoniony w drodze konkursu ofert.

Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji. Ocena zgłaszalności do programu ma być dokonywana na podstawie dokumentacji medycznej każdego pacjenta, liczby zgłoszonych placówek oświatowych do wzięcia udziału w programie, a także liczby dzieci, których rodzice wyrażą zgodę na uczestnictwo dziecka w programie. Należy podkreślić, że są to tylko narzędzia, które umożliwiają wyliczenie odpowiednich wskaźników, których w projekcie programu, w części dotyczącej oceny zgłaszalności, nie przedstawiono. W ramach oceny jakości udzielanych świadczeń wnioskodawca zaproponował analizę ankiety satysfakcji dla rodziców/opiekunów prawnych dzieci uczestniczących w programie. Wzór ankiety został załączony do projektu. W ankiecie nie przedstawiono pytań dotyczących satysfakcji z przeprowadzonego badania stomatologicznego.

Efektywność programu ma zostać oceniona na podstawie analizy odsetka dzieci, u których doszło do zatrzymania procesu próchnicowego, a także analizy wyników konkursów sprawdzających poziom wiedzy dzieci na temat higieny jamy ustnej. Planowana jest również analiza ankiet dotyczących świadomości na temat profilaktyki próchnicy, wypełnianych przez rodziców/opiekunów. Wskazano, że wszystkie wskaźniki będą porównywały stan sprzed i stan po wprowadzeniu programu, co jest działaniem zasadnym.

Wnioskodawca w treści projektu poprawnie wskazuje zarówno koszty jednostkowe jak i koszty całkowite przeznaczone na realizację programu. Ujęto wszystkie koszty, zaś trzyletni budżet programu oszacowano na 942 156,48 zł (314 052,16 zł rocznie). Program ma zostać sfinansowany z budżetu powiatu lubińskiego lub przy wsparciu środków zewnętrznych przeznaczonych dla jst na realizację programów profilaktycznych .

W związku z powyższym Rada przyjęła stanowisko jak wyżej.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.347.2017 „Program profilaktyki próchnicy zębów u dzieci z Powiatu Lubińskiego” realizowany przez: Powiat Lubiński, Warszawa, grudzień 2017 oraz Aneksu „Programy profilaktyki próchnicy u dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z listopada 2017 r.



Rada **Przejrzystości**

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 404/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki zakażeń wirusem
brodawczaka ludzkiego (HPV 6, 11, 16, 18, 31, 33, 45, 52 i 58)
w Gminie Grodzisk Wielkopolski”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV 6, 11, 16, 18, 31, 33, 45, 52 i 58) w Gminie Grodzisk Wielkopolski”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Projekt dotyczy przeprowadzenie szczepień profilaktycznych szczepionką 9-walentną przeciwko zakażeniom HPV u dziewcząt w wieku 13 lat z terenu gminy (łącznie ok. 862 dziewczęta), a także działań edukacyjnych wśród młodzieży obu płci, ich rodziców i opiekunów. Program ma być realizowany w latach 2018-2021. Całkowity koszt programu będzie wynosił ok. 850 000 zł (826 000 zł – całkowity koszt szczepień oraz 24 000 zł – całkowity koszt promocji i edukacji). Program finansowany będzie ze środków zabezpieczonych w budżecie Gminy Grodzisk Wielkopolski.

Szczepienia przeciw wirusowi brodawczaka ludzkiego znajdują się w grupie szczepień zalecanych, niefinansowanych ze środków znajdujących się w budżecie Ministra Zdrowia. Szczepionka 9-walentna jest nowym produktem leczniczym. FDA zaaprobowало ją pod koniec 2014 r., a EMA dopuściła ją do użytku w czerwcu 2015 r. Brak jest zatem przeglądów systematycznych oraz metaanaliz zajmujących się skutecznością kliniczną szczepionki. Na podstawie badań rejestracyjnych można stwierdzić, że odpowiedzi immunologiczne na szczepionkę 9-walentną były równoważne do obserwowanych w przypadku szczepionki 4-walentnej (Gardasil/Silgard). W badaniach klinicznych, do 7. miesiąca u 99,6% do 100% osób, które otrzymały Gardasil-9 we wszystkich badanych grupach stwierdzono seropozytywność dla przeciwciał przeciwko wszystkim 9 typom zawartym w szczepionce. Liczne analizy efektywności kosztowej, mimo zróżnicowania w metodologii oraz wybranych parametrów wejściowych sugerują, że wprowadzenie populacyjnych szczepień młodych dziewcząt przeciwko HPV jest potencjalnie efektywne kosztowo, jeśli będą



kontynuowane obecne praktyki skryningu cytologicznego. Ponieważ niepewność dotycząca czasu trwania odporności poszczepiennej oraz rzeczywistego efektu na zapobieganie zmianom przedrakowym, może znacząco wpływać na dowody efektywności kosztowej, skrupulatne monitorowanie skuteczności i bezpieczeństwa programu jest niezbędne.

Główne uwagi zawarte w raporcie analitycznym AOTMiT dotyczą niezgodności wniosku z zasadą SMART, przede wszystkim nieprawidłowego opisanego głównych i szczegółowych celów programu oraz mierników jego efektywności. Nie przedstawiono żadnych wskaźników dotyczących monitorowania i ewaluacji.

Wnioskodawca oszacował koszt jednostkowy na ok. 960 zł. Zgodnie z informacjami zawartymi na stronie portalu LEKInfo24.pl, cena jednej dawki szczepionki Gardasil 9 wynosi ok. 548 zł. Biorąc pod uwagę zaplanowane podanie 3 dawek szczepionki, przedstawione koszty wydają się znacznie zaniżone. Wskazano jednak, że „rzeczywisty koszt jednostkowy zostanie określony w wyniku rozstrzygnięcia konkursu”. Jednocześnie, osoby w wieku od 9 do 14 lat mogą być szczepione 2 dawkami Gardasilu-9.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.343.2017 „Program profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV 6, 11, 16, 18, 31, 33, 45, 52 i 58)” realizowany przez: Gminę Grodzisk Wielkopolski, Warszawa, grudzień 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 405/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku

o projekcie programu „Szczepienia przeciwko ludzkiemu wirusowi brodawczaka w populacji dziewcząt w wieku 13 lat, uczęszczających do szkół na terenie Gminy Wisznia Mała”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Szczepienia przeciwko ludzkiemu wirusowi brodawczaka w populacji dziewcząt w wieku 13 lat, uczęszczających do szkół na terenie Gminy Wisznia Mała”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Program zakłada przeprowadzenie szczepień profilaktycznych przeciwko zakażeniom HPV u dziewcząt w wieku 13 lat, uczęszczających do szkół na terenie gminy a także działań edukacyjnych wśród młodzieży obu płci i ich rodziców/opiekunów prawnych. Program ma być realizowany w latach 2018-2020 ze środków zabezpieczonych w budżecie gminy Wisznia Mała. Całkowity koszt programu w pierwszym roku jego trwania ma wynosić ok. 40 000 zł (koszty na lata kolejne nie zostały oszacowane). Program finansowany będzie ze środków zabezpieczonych w budżecie Gminy Wisznia Mała.

Autorzy projektu programu posługują się błędnie określeniem ludzki wirus brodawczaka. Prawidłowa nazwa to wirus brodawczaka ludzkiego. Przytoczono błędną informację, że w Polsce dostępne są tylko 2 szczepionki (Cervarix, Siligard), podczas gdy dostępna jest także dziewięciowalentna szczepionka Gardasil-9. W projekcie programu przedstawiono także nieprawdziwą informację, dotyczącą systematycznego wzrostu umieralności młodych kobiet z powodu raka szyjki macicy, podczas gdy w rzeczywistości wskaźnik umieralności wykazuje tendencję spadkową we wszystkich grupach wiekowych.

Eksperti zgodnie stwierdzają, że programy z zakresu profilaktyki raka szyjki macicy w postaci szczepień przeciwko zakażeniom HPV powinny być prowadzone oraz finansowane przez jst.

Uwagi dotyczą chaotyczności programu i jego niezgodności projektu z regułą SMART, głównie w zakresie nieprawidłowego sformułowania celu głównego



i 4 celów szczegółowych oraz mierników efektywności. Wnioskodawca nie zaplanował ewaluacji programu.

Wnioskodawca oszacował koszt szczepionki Silgard® na ok. 500 zł brutto, ale informacje dotyczące kosztu jednostkowego zostały przedstawione w sposób niejasny. Nie jest wiadome czy wnioskodawca powyższą cenę wyznaczył dla zakupu jednej dawki czy wszystkich trzech dawek szczepionki. Wskazano natomiast, że „dokładny koszt szczepionki będzie ustalony w przetargu nieograniczonym zrealizowanym przez realizatora programu, po podpisaniu umowy”. W budżecie programu zaplanowano zakupienie 50 szczepionek. Łączny koszt zakupu szczepionek w pierwszym roku oszacowano na 25 000 zł. Biorąc pod uwagę zaproponowany przez wnioskodawcę 3-dawkowy schemat szczepień, przy powyższych założeniach, możliwe byłoby zaszczepienie tylko ok. 16 dziewczynek. Koszt badań i materiałów edukacyjnych oszacowano na 15 000 zł.

Biorąc pod uwagę liczbę dziewczynek uczęszczających do szkół na terenie gminy, zaproponowany budżet wydaje się niewystarczający. Zawarto jednak informację, że „rzeczywiste roczne koszty realizacji programu w trakcie jego obowiązywania szacowane będą na podstawie liczby dziewcząt w danym roczniku i obowiązujących w danym roku cen szczepionki z uwzględnieniem kosztów organizacyjnych ustalonych przez realizatora programu”. Wnioskodawca zaznaczył również, że „budżet na realizację programu będzie corocznie ustalany z końcem każdego roku kalendarzowego”.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.335.2017 „Szczepienia przeciwko ludzkiemu wirusowi brodawczaka w populacji dziewcząt w wieku 13 lat, uczęszczających do szkół na terenie Gminy Wisznia Mała” realizowany przez: Gminę Wisznia Mała, Warszawa, grudzień 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 406/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku

o projekcie programu „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Gniezna w wieku 60 lat i więcej”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Gniezna w wieku 60 lat i więcej”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Celem programu jest zmniejszenie liczby zachorowań na grypę na terenie gminy miejskiej Gniezno. Planowane interwencje w postaci szczepień i edukacji są działaniami o uznanej skuteczności i akceptowalnym profilu bezpieczeństwa, rekomendowanymi przez Światową Organizację Zdrowia, towarzystwa naukowe i ekspertów klinicznych oraz zalecane przez Ministra Zdrowia. Szczepienia przeciwko grypie uznawane są za najbardziej efektywną metodę zapobiegania infekcjom wirusem grypy oraz związanych z nimi poważnych następstw zdrowotnych. Najwyższy priorytet w rekomendowanych szczepieniach mają kobiety w ciąży, a następnie dzieci w wieku od 6-59 m.ż., osoby starsze, cierpiące na choroby przewlekłe, pracownicy ochrony zdrowia (WHO, 2017). Program nie dubluje świadczeń gwarantowanych, ponieważ szczepienia przeciw grypie nie są dotychczas finansowane ze środków publicznych. Populacja docelowa jest określona właściwie, ponieważ osoby starsze są szczególnie narażone na powikłania grypy i znajdują się w grupie osób o najwyższych priorytetach rekomendacyjnych. Planowana interwencja jest efektywna kosztowo na poziomie populacyjnym. W programie przedstawiono koszty jednostkowe i ogólne. W projekcie programu należy uwzględnić uwagi zawarte w raporcie dotyczące szczególnie wskaźników efektywności i ewaluacji.



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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.336.2017 „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Gniezna w wieku 60 lat i więcej” realizowany przez: Miasto Gniezno, Warszawa, grudzień 2017 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka – wspólne podstawy oceny”, z października 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 407/2017 z dnia 11 grudnia 2017 roku o projekcie programu „Program profilaktyki grypy dla mieszkańców miasta Chełm w wieku 65+ na lata 2018 – 2020”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki grypy dla mieszkańców miasta Chełm w wieku 65+ na lata 2018 – 2020”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem opinii jest poprawnie napisany projekt programu polityki zdrowotnej planowany do realizacji przez Miasto Chełm w zakresie szczepień przeciwko grypie u osób w wieku 65 lat i więcej. Program będzie realizowany w latach 2018-2020. Wnioskodawca zamierza w 2018 r. zaszczepić 1000, a w latach kolejnych 1400 osób (w zależności od otrzymania dofinansowania z NFZ) spełniających kryteria włączenia. Koszt jednostkowy został oszacowany na 50 zł. Całkowity koszt realizacji programu będzie wynosił 150 000 zł (190 000 zł w przypadku otrzymania dofinansowania z NFZ). Wnioskodawca zaplanował finansowanie programu z budżetu Miasta Chełm i ew. ze środków otrzymanych od NFZ. Wydaje się, że zaplanowane przez wnioskodawcę koszty są wystarczające do zrealizowania zaplanowanych interwencji.

W ocenianym projekcie programu zaplanowano wdrożenie szczepień ochronnych p/grypie poprzedzonych kwalifikacją lekarską, pisemną zgodą uczestnika na ich wykonanie oraz edukacją zdrowotną.

Wnioskodawca zaplanował w ramach programu działania edukacyjne. Wskazano, że akcja edukacyjna będzie prowadzona podczas wizyty lekarskiej. Dopuszcza się także możliwość prowadzenia edukacji przez pielęgniarki. Przedstawiono również tematy, które mają zostać poruszone podczas edukowania uczestników programu (np. metody zapobiegania zachorowania, informacje nt. odczynów poszczepiennych). Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.

Wnioskodawca, w ramach oceny zgłaszalności do programu, nie przedstawił żadnych wskaźników. Zaznaczył jedynie, że zgłaszalność oceniona będzie na podstawie sprawozdań częściowych i sprawozdania końcowego przestanych



przez realizatora programu. W ramach oceny efektywności programu zaplanowano analizę: „liczby osób uczestniczących w programie” i „liczby osób, które zostaną zaszczepione”. Powyższe wskaźniki mogą okazać się przydatne w ocenie zgłaszalności do programu, natomiast nie są zasadne w ocenie efektywności. Zaproponowano jeden wskaźnik („liczba osób z rozpoznaną klinicznie grypą w stosunku do całej populacji zaszczepionej”), który może być pomocny w analizie efektów programu. Ewaluacja efektywności programu powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu. Dopiero uzyskana zmiana w zakresie tych wartości i jej wielkość, stanowi o wadze uzyskanego efektu programu. Wnioskodawca w ramach przedstawionych wskaźników oceny efektywności nie wskazał czy zamierza analizować również dane sprzed realizacji programu. Mierniki efektywności określone w projekcie wymagają poprawy.

W ramach oceny jakości świadczeń w programie planuje się przeprowadzenie ankiety satysfakcji. Do projektu programu nie dołączono wzoru ankiety. Autorzy projektu programu przedstawiają w sposób prawidłowy – oczekiwane efekty programu.

W związku z powyższym Rada przyjęła stanowisko jak wyżej.

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.339.2017 „Program profilaktyki grypy dla mieszkańców miasta Chełm w wieku 65+ na lata 2018 – 2020” realizowany przez: Miasto Chełm, Warszawa, grudzień 2017 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka – wspólne podstawy oceny”, z października 2017 r.