



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Protokół nr 13/2018
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 9 kwietnia 2018 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT)

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

1. Anna Gręziak
2. Barbara Jaworska-Łuczak
3. Michał Myśliwiec – prowadził posiedzenie
4. Rafał Niżankowski
5. Tomasz Romańczyk
6. Piotr Szymański
7. Dariusz Tereszowski-Kamiński

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Adam Maciejczyk
2. Dariusz Struski
3. Rafał Suwiński

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku OPDIVO (niwolumab) w ramach programu lekowego: „Leczenie raka urotelialnego z zastosowaniem niwolumabu (ICD-10: C65, C66, C67, C68)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku ADADUT (dutasterydum) we wskazaniu: leczenie umiarkowanych do ciężkich objawów łagodnego rozrostu gruczołu krokowego.
6. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku SIGNIFOR (pasireotyd) we wskazaniu: akromegalia (ICD-10: E22.0).
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację leków w ramach importu docelowego PLAQUENIL, QUENSYL (hydroxychloroquine) we wskazaniach: toczeń rumieniowaty układowy; toczeń rumieniowaty krążkowy; podostry toczeń rumieniowaty skórny; niezróżnicowana choroba tkanki łącznej; mieszana choroba tkanki łącznej; rumień guzowaty; ziarniniak obrączkowaty; reumatoidalne zapalenie stawów; liszaj płaski mieszkowy; zespół Sjögrena; układowe zapalenie naczyń.
8. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego w ramach importu docelowego CARB



- ZERO we wskazaniach: padaczka lekooporna u dzieci poniżej 3 roku życia oraz pacjentów powyżej 3 roku życia, deficyt transportera glukozy GLUT-1.
9. Przygotowanie stanowisk w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego w ramach importu docelowego:
 - 1) MSUD Anamix Infant,
 - 2) MSUD gel,we wskazaniu: choroba syropu klonowego.
 10. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację leku w ramach importu docelowego PROGLICEM we wskazaniach: hipoglikemia insulinemiczna, hipoglikemia nieokreślona, wyspiak trzustki, zespół hipoglikemia-hiperamoniemia, zespół MEN2, zespół Beckwitha-Wiedemanna, hiperinsulinizm rodzinny, hipoglikemia leucynowrażliwa.
 11. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację leku w ramach importu docelowego XYREM (sodium oxybate) we wskazaniu: narkolepsja z katapleksją u osoby poniżej 18 roku życia (off-label).
 12. Przygotowanie opinii w sprawie rozszerzenia wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie o system ciągłego monitorowania glikemii wymagający aktywnego działania pacjenta bez pomocy i współudziału osób fachowych.
 13. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego współfinansowanego przez UE w ramach EFS: „Program polityki zdrowotnej dla województwa lubuskiego skierowany do osób pracujących i powracających do pracy w zakresie rehabilitacji medycznej schorzeń układu ruchu i obwodowego układu nerwowego związanych ze sposobem wykonywania pracy”.
 14. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „5-krotna rehabilitacja wraz z podstawową diagnostyką dla seniorów Gminy Miejskiej Legionowo w wieku 60 plus”,
 - 2) „Program rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Solec-Zdrój na lata 2018-2019”,
 - 3) „Program szczepień ochronnych przeciw grypie dla mieszkańców w wieku 65+ w gminie Łęknica”.
 15. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
 16. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Posiedzenie o godzinie 10:20 otworzył Wiceprzewodniczący Rady Michał Myśliwiec.

Ad 2. Michał Myśliwiec zaproponował możliwą zmianę kolejności omawiania tematów. Rada przyjęła jednogłośnie 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.4331.2.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leków Opdivo (niwolumab) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z nieoperacyjnym rakiem urotelialnym miejscowo zaawansowanym lub z przerzutami po niepowodzeniu wcześniejszej terapii zawierającej pochodne platyny”.

Następnie, swoją propozycję stanowiska przedstawiła Anna Gręziak, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Wskazała na niezasadność

refundacji opiniowanej technologii, głównie z uwagi na wysokie koszty terapii oraz brak dowodów naukowych na jej skuteczność.

Rada wysłuchała opinii przedstawicielki pacjentów, która wskazywała na to, że nowotwór pęcherza moczowego jest chorobą trudną i słabo rokującą. Ma ona charakter nawrotowy. Świadomość społeczna w zakresie objawów oraz czynników ryzyka zwiększających możliwość wystąpienia choroby jest niska. Opiniowany lek, jako terapia immunoonkologiczna, stanowi szansę dla pacjentów, którzy do tej pory pozbawieni byli innych możliwości leczenia stosowanych po chemioterapii. Podkreśliła, że każda opcja terapeutyczna umożliwiającą dłuższe przeżycie pacjentów jest bardzo cenna, szczególnie w sytuacji braku możliwości stosowania innych, alternatywnych metod leczenia.

Rada, w ramach dyskusji, wskazała na konieczność prowadzenia dalszych badań klinicznych, które pozwoliłyby ocenić zasadność stosowania leku w ocenianym wskazaniu.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 5. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.4330.2.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku Adadut (dutasteryd) we wskazaniu: leczenie umiarkowanych do ciężkich objawów łagodnego rozrostu gruczołu krokowego”.

Następnie, swoją propozycję stanowiska Rady przedstawił Michał Myśliwiec. Podkreślił, że dutasteryd jest 10-krotnie silniejszą substancją niż finasteryd, jednakże efekty odnoszone przez pacjentów są takie same. Zasadne wydaje się zatem obniżenie ceny opiniowanej technologii do poziomu finasterydu.

Rada, w ramach dyskusji, rozważała możliwości wprowadzenia instrumentu dzielenia ryzyka lub obniżenia ceny leku do poziomu, który pozwoliłby zrównać koszty ponoszone przez pacjentów na zakup dutasterydu i finasterydu.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 6. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych nr: OT.422.12.2018 „Signifor (pasireotyd) we wskazaniu: akromegalia (ICD10: E22.0). Opracowanie w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych”.

Następnie, swoją propozycję opinii przedstawiła Barbara Jaworska-Łuczak, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponowała opinię pozytywną. Wskazała, że skuteczność i bezpieczeństwo ocenianego leku zostały potwierdzone w badaniach naukowych.

Rada, w ramach dyskusji, podkreśliła, że w opiniowanym wskazaniu lek powinien być stosowany po nieskuteczności leczenia innymi preparatami. Ponadto, Rada zdecydowała o odłożeniu głosowania nad uchwałą na dalszy etap posiedzenia, z uwagi na konieczność uzupełnienia treści opinii.

Ad 7. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.4311.9.2018 „Plaquenil, Quensyl (hydroksychlorochina) we wskazaniach: toczeń rumieniowaty układowy, toczeń rumieniowaty krążkowy, podostry toczeń rumieniowaty skórny, mieszana choroba tkanki łącznej, nieodróżnicowana choroba tkanki łącznej, rumień guzowaty, ziarniniak obrączkowy, reumatoidalne zapalenie stawów, liszaj płaski mieszkowy, zespół Sjögrena, układowe zapalenie naczyń”.

Następnie, swoją propozycję stanowiska przedstawił Piotr Szymański, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Przedstawił projekt stanowiska pozytywnego. Wskazał na niewielki łączny koszt dla płatnika publicznego. Zwrócił uwagę na dużą niejednorodność wnioskowanych wskazań, spośród których najbardziej problematyczne w ocenie jest układowe zapalenie naczyń, głównie z uwagi na brak rekomendacji i bezpośrednich dowodów na skuteczność. Opinie eksperckie wskazywały jednak na zasadność finansowania ocenianych leków, w związku z powyższym zaproponował stanowisko pozytywne we wszystkich wnioskowanych wskazaniach.

Rada, w ramach dyskusji, zwróciła uwagę, iż praktyka leczenia zapaleń naczyń jest w Polsce nastawiona na wykorzystywanie sterydów, co wywołuje ogromne szkody w organizmie pacjenta. Zasadne jest zatem poszerzenie spectrum dostępnych środków, co daje większe możliwości doboru metody leczenia.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 6 c.d. Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 8. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.4311.5.2018 „Carb Zero we wskazaniach: padaczka lekooporna, deficyt transportera glukozy GLUT-1”.

Następnie, swoją propozycję stanowiska przedstawił Piotr Szymański, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Finansowanie opiniowanego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego uznał za niezasadne w populacji poniżej 3 r. ż., głównie z uwagi na brak danych dotyczących bezpieczeństwa stosowania. Ponadto podkreślił, że istnieją alternatywne technologie, które mogą być stosowane u młodszych dzieci. W odniesieniu do pozostałej populacji finansowanie uznał za zasadne w obydwu wnioskowanych wskazaniach.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 9. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.4311.11.2018 „Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego: MSUD Anamix Infant, we wskazaniu: choroba syropu klonowego” oraz nr: OT.4311.7.2018 „Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego: MSUD gel, we wskazaniu: choroba syropu klonowego”.

1) Swoją propozycję stanowiska przedstawił Dariusz Tereszowski-Kamiński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Wskazał, że główną metodą leczenia we wnioskowanym wskazaniu jest stosowanie diety. Zauważył także, że nie odnaleziono żadnych rekomendacji wskazujących na zasadność stosowania preparatu oraz nie jest możliwe oszacowanie kosztów refundacji. Z uwagi na powyższe, zaproponował stanowisko negatywne.

2) Swoją propozycję stanowiska przedstawił Dariusz Tereszowski-Kamiński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Zaproponował stanowisko negatywne, analogiczne jak w przypadku preparatu MSUD Anamix Infant.

Rada, w ramach dyskusji, zwróciła uwagę, że w przypadku chorób rzadkich występują duże trudności w zakresie uzyskania danych dot. refundacji w innych krajach, natomiast z opinii opiekunów chorych wynika, iż gotowe preparaty poprawiają komfort życia zarówno opiekunów, jak i dzieci. Z uwagi na to, że preparaty są skuteczne i powszechnie stosowane na świecie, Rada opowiedziała się za pozytywnym zaopiniowaniem wniosków. Rada zdecydowała o odłożeniu głosowania nad uchwałami do czasu sformułowania ostatecznej treści stanowisk.

Ad 10. Swoją propozycję stanowiska przedstawił Rafał Nizankowski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Wskazał, że oceniany lek jest stosowany w różnych hipoglikemiach, także u małych dzieci, jednakże podkreślił, że są to rzadko występujące schorzenia. Oceniany lek ma zmniejszać ryzyko wystąpienia stanów hipoglikemicznych. Stany te są bardzo niebezpieczne, szczególnie u małych dzieci, mogą one bowiem prowadzić do ciężkich uszkodzeń mózgu. Następnie, przypomniał poprzednio wydane pozytywne stanowiska Rady i zaproponował pozytywne zaopiniowanie obecnie ocenianego wniosku.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 11. Swoją propozycję stanowiska przedstawił Tomasz Romańczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Omówił problem kliniczny, jakim jest narkolepsja. Wskazał, że dotychczas lek został w Polsce sprowadzony w ramach importu docelowego tylko 2 razy, u jednego pacjenta. Zwrócił uwagę, że dowody naukowe odnoszące się do leczenia osób poniżej 18 r. ż. są słabe. Następnie, omówił zalecenia wynikające z wytycznych europejskich, amerykańskich i brytyjskich oraz dostępne rekomendacje refundacyjne, które dotyczą wyłącznie populacji osób dorosłych i z których większość jest negatywna. Wskazał, że, zgodnie z opinią konsultanta krajowego w dziedzinie neurologii dziecięcej, niemożliwe jest oszacowanie populacji dzieci dotkniętych chorobą, z szacunkowych danych europejskich wynika natomiast, że zapadalność na tę chorobę wynosi 0,02–0,05% populacji ogólnej. Dodał, że istnieją 3 opublikowane badania obserwacyjne dotyczące niewielkich grup populacji pediatrycznej, które wskazują na znamienne statystycznie zmniejszenie ciężkich ataków katapleksji i zmniejszenia senności w ciągu dnia, jednak ograniczenia wynikające z tego typu badań nie pozwalają na jednoznaczne potwierdzenie efektywności farmakoekonomicznej zastosowanej technologii, tym bardziej, że działania niepożądane obserwowano u 40-75% chorych. Z uwagi na powyższe, finansowanie ocenianej technologii uznał za niezasadne.

Następnie, analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.4311.3.2018, „Xyrem (sodium oxybate) we wskazaniu: narkolepsja z kataleksją u osoby poniżej 18 roku życia (off-label)”.

Rada, w ramach dyskusji, omówiła dostępność innych, alternatywnych opcji terapeutycznych oraz problem, jakim jest mała ilość badań prowadzonych w populacjach pediatrycznych.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 6 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 1 głosie przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 12. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.4320.2.2017 „System Monitorowania Glikemii Flash”.

Rada wysłuchała opinii przedstawicielki pacjentów, która wskazywała na problem z pomiarami cukru u dzieci i młodzieży w szkołach i przedszkolach. Wynika on z obaw nauczycieli dotyczących kontaktu z krwią. Zwróciła uwagę, że problemem jest także zjawisko stygmatyzacji dzieci chorych, co również wynika z lęku rodziców dzieci zdrowych przed możliwym kontaktem ich dzieci z krwią. Podkreśliła, że system FreeStyle Libre pozwala wykonać pomiar bez kontaktu z krwią. Ponadto, umożliwia on przechowywanie informacji o wcześniejszych pomiarach oraz pozwala określić przyszłą tendencję poziomu cukru. Dodatkowo trwają prace nad stworzeniem aplikacji umożliwiającej rodzicom monitorowanie pomiarów cukru u dziecka. Podkreśliła, że startowy koszt urządzenia nie jest duży, a system jest innowacyjny, wygodny i dyskretny. W jej opinii, system podnosi komfort życia zarówno diabetyków, jak i rodziców chorych dzieci. Wskazała, że miesięczny koszt terapii stanowi znaczne obciążenie dla niektórych rodzin, co często uniemożliwia korzystanie z niego w sposób ciągły.

W tym miejscu Piotr Szymański zgłosił konflikt interesów dotyczący podmiotu odpowiedzialnego dla ocenianej technologii i złożył wniosek o wyłączenie go z prac Rady w tym zakresie. Rada jednogłośnie zatwierdziła złożony wniosek.

Następnie, swoją propozycję opinii przedstawił Tomasz Romańczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Wskazał, że na stronie internetowej produktu widnieje informacja o wstrzymaniu przyjmowania zamówień od nowych klientów, z uwagi na ogromne zainteresowanie systemem, co wskazuje na małą dostępność na rynku. Poinformował, że dowody naukowe potwierdzają, iż system zmniejsza ilość niekontrolowanych hipoglikemii i hiperglikemii, jednakże nie eliminuje ich w całości. W jego ocenie, wniosek został przygotowany w sposób niedbały, przez co refundacja nie zapewniałaby dostępu do systemu przez 29 dni w roku. Zwrócił uwagę na opinię konsultanta krajowego, z której wynika, iż nie istnieje definicja pojęcia „szczególnie ciężkiej do kontroli cukrzycy typu 1”, co może skutkować dowolnością interpretacyjną przekładającą się na kwalifikację do refundacji. Następnie, odniósł się do przedstawionej analizy ekonomicznej i do kwestii kosztów stosowania terapii. Podkreślił, że aplikacja medyczna także powinna być traktowana jako wyrób medyczny i powinna posiadać odpowiedni certyfikat dopuszczający do użytkowania.

Rada, w ramach dyskusji, wskazywała, że technologię uznać należy za istotny postęp w dziedzinie monitorowania glikemii, jednak w przedstawionej analizie farmakoekonomicznej nie zawarto wielu danych, co uniemożliwia dokonanie rzetelnej oceny.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 6 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu. Piotr Szymański nie brał udziału w głosowaniu, z uwagi na zgłoszony konflikt interesów.

Ad 9. 1) c.d. Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 6 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 9. 2) c.d. Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 9. 1) c.d. Z uwagi na nieobecność podczas głosowania jednego z członków Rady, Michał Myśliwiec zarządził reasumpcję głosowania, w wyniku której Rada 7 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 13. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.27.2018 „Program polityki zdrowotnej dla województwa lubuskiego skierowany do osób pracujących i powracających do pracy w zakresie rehabilitacji medycznej schorzeń układu ruchu i obwodowego układu nerwowego związanych ze sposobem wykonywania pracy”.

Następnie, swoją propozycję opinii przedstawiła Barbara Jaworska-Łuczak, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Podkreśliła, że program został przygotowany bardzo dobrze, w związku z czym zaproponowała opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

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

Ad 14. 1) Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.30.2018 „5-krotna rehabilitacja wraz z podstawową diagnostyką dla seniorów Gminy Miejskiej Legionowo w wieku 60 plus”.

Następnie, swoją propozycję opinii przedstawił Rafał Niżankowski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Przyznał, że problem rehabilitacji osób starszych jest istotny, jednakże wskazał na niedociągnięcia projektu. Program ma objąć 500 mieszkańców gminy, którzy powinni zostać wyselekcjonowani na podstawie ustalonych kryteriów włączenia, podczas gdy w projekcie określono, iż decydująca będzie kolejność zgłoszeń, co może skutkować udziałem osób niewymagających rehabilitacji. Projekt zakłada 5 spotkań z fizjoterapeutą, przy czym niejasna jest kwestia, czy będą one miały charakter indywidualny czy grupowy, po których uczestnicy otrzymają zestawy ćwiczeń do wykonywania w domu. W jego opinii, założenie, że po 5 spotkaniach uczestnicy będą mogli ćwiczyć w domu bez nadzoru i że utrzymają motywację do ćwiczeń jest błędne. Brakuje dowodów na skuteczność takiej interwencji. W związku z powyższym, zaproponował opinię negatywną.

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

2) Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.25.2018 „Program rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Solec-Zdrój na lata 2018-2019”.

Następnie, swoją propozycję opinii przedstawiła Anna Gręziak, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii. Zwróciła uwagę, że projekt oznacza raczej wykupowanie świadczeń gwarantowanych u świadczeniodawców niż program zdrowotny. Ponadto wskazała, że Solec-Zdrój ma status uzdrowiska, co wzbudza podejrzenie istnienia porozumienia między podmiotami, szczególnie w obliczu tego, iż podmioty mogły zwrócić się o kontrakt do NFZ, co umożliwiłoby im świadczenie usług na rzecz mieszkańców.

Rada, w ramach dyskusji, zwróciła uwagę, że mieszkańcy gminy Solec-Zdrój nie mogą korzystać z rehabilitacji uzdrowskiej, zatem wdrożenia programu wydaje się zasadne. Pozwoli to zwiększyć dostępność do świadczeń z zakresu rehabilitacji, która w Polsce jest na niskim poziomie. Rada uznała zasadność pozytywnego zaopiniowania projektu.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 5 głosami za projektem opinii Rady, przy 2 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

3) Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.26.2018 „Program szczepień ochronnych przeciw grypie dla mieszkańców w wieku 65+ w Gminie Łęknica”.

Następnie, swoją propozycję opinii Rady przedstawił Michał Myśliwiec. Zaproponował opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Rada, w ramach dyskusji, zwróciła uwagę, że u osób powyżej 65 r. ż. wskazane jest wykonanie szczepień także przeciwko pneumokokom. Rada dyskutowała także nad kwestią dowodów na skuteczność szczepień przeciwko grypie.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 15. Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 7 maja 2018 r.

Ad 16. Prowadzący posiedzenie Michał Myśliwiec zakończył posiedzenie Rady o godzinie 15:01.

Protokół sporządził Michał Myśliwiec
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

.....
(data i podpis)



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 32/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku

w sprawie oceny leków Opdivo (niwolumab), we wskazaniu:
leczenie dorosłych pacjentów z nieoperacyjnym rakiem urotelialnym miejscowo zaawansowanym lub z przerzutami u dorosłych po niepowodzeniu wcześniejszej terapii zawierającej pochodne platyny

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktów leczniczych Opdivo (niwolumab), koncentrat do sporządzenia roztworu do infuzji, 10 mg/ml:

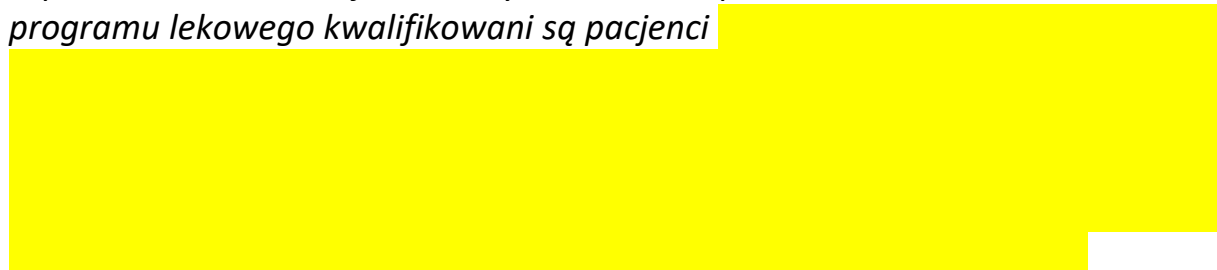
- 1 fiolka 10 ml, kod EAN 5909991220518,
- 1 fiolka 4 ml, kod EAN 5909991220501,

we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z nieoperacyjnym rakiem urotelialnym miejscowo zaawansowanym lub z przerzutami u dorosłych po niepowodzeniu wcześniejszej terapii zawierającej pochodne platyny, w ramach programu lekowego.

Uzasadnienie

Produkt leczniczy Opdivo (niwolumab) jest zarejestrowany we wskazaniu leczenia raka urotelialnego miejscowo zaawansowanego lub z przerzutami u dorosłych pacjentów, którzy byli wcześniej leczeni terapią opartą na pochodnych platyny.

Wskazanie zawarte w proponowanym programie lekowym jest zawężone w porównaniu do zarejestrowanych wskazań, ponieważ do leczenia w ramach programu lekowego kwalifikowani są pacjenci



Eksperci ankietyowani przez Agencję, również wskazywał paklitaksel i docetaksel jako leki stosowane w II lub dalszej linii leczenia zaawansowanego raka urotelialnego,



jednocześnie zaznaczając ich niedużą skuteczność kliniczną w ocenianym wskazaniu.

Problem decyzyjny

Rak przejściowonabłonkowy (urotelialny) jest nowotworem rozwijającym się najczęściej w dolnych drogach moczowych (pęcherzu moczowym lub cewce moczowej) lub górnych drogach moczowych (miedniczce nerkowej lub moczowodzie). Ok. 95% przypadków raka urotelialnego stanowi rak pęcherza moczowego (RPM) oznaczany kodem ICD-10 C67. Pozostałe 5% to nowotwory miedniczki nerkowej (ICD-10 C65), moczowodu (ICD-10 C66) oraz cewki moczowej i innych nieokreślonych narządów moczowych (ICD-10 C68).

Dowody naukowe

Odsetek 5-letnich przeżyć wynosi <50%. Rak powierzchniowy po wstępnym leczeniu nawraca u 50-80% chorych, a następnie ulega progresji do raka inwazyjnego w 10-25% przypadków. Rak pęcherza moczowego daje przerzuty do węzłów chłonnych, płuc, wątroby i kości.

Odsetek pacjentów leczonych niwolumabem, u których zaobserwowano obiektywną odpowiedź na leczenie wyniósł od 19% do 24%. W przypadku badań dla paklitakselu odsetek ten wyniósł od 9% do 26%.

Odsetek pacjentów z częściową odpowiedzią na leczenie leczonych niwolumabem wyniósł od 17% do 18%. W badaniach odnoszących się do pacjentów leczonych paklitakselem odsetek ten wyniósł od 7% do 16%.

W badaniach dotyczących pacjentów leczonych niwolumabem mediana przeżycia całkowitego (OS) wyniosła od 8,7 do 9,7 miesiąca, natomiast mediana przeżycia wolnego od progresji choroby (PFS) od 2 do 2,8 miesiąca. Dla komparatora głównego, paklitakselu, było to odpowiednio, od 7,2 do 8 miesięcy (OS) oraz 4,1 miesiąca (PFS).

Wyniki porównania pośredniego, mierzone w okresach 3-miesięcznych, wskazują, że wnioskowana technologia może być skuteczniejszą terapią leczenia raka urotelialnego niż paklitaksel, docetaksel czy gemcytabina, ale głównie w dłuższym okresie leczenia.

W porównaniu z paklitakselem niwolumab osiągnął istotnie statystycznie lepszy wynik w zakresie przeżycia całkowitego i przeżycia wolnego od progresji, ale dopiero od 9 miesiąca jego stosowania.

Brak badań randomizowanych bezpośrednio porównujących niwolumab w analizowanym wskazaniu ze zdefiniowanymi komparatorami (paklitaksel, docetaksel, gemcytabina).

Problem ekonomiczny

Oceniając skutki finansowe dla NFZ przyjęto dwuletni horyzont czasowy (obejmujący lata 2019 – 2020).

Populację docelową (pacjenci ze wskazaniem określonym we wniosku) oszacowano na [] pacjentów w pierwszym roku analizy i [] pacjentów w drugim roku analizy.

Rozważono dwa scenariusze:

- *istniejący* – w którym pacjenci z nieoperacyjnym rakiem urotelialnym miejscowo zaawansowanym lub z przerzutami po niepowodzeniu terapii opartej na pochodnych platyny leczeni są paklitakselem [], docetakselem [] lub gemcytabiną [] .
- *nowy* – który zakłada, że wprowadzone zostanie finansowanie niwolumabu (Opdivo) w ramach wnioskowanego programu lekowego, a przejęcie rynku przez niwolumab nastąpi proporcjonalnie z rynku aktualnie stosowanych schematów leczenia (tj. paklitakselu, docetakselu i gemcytabiny).

Zgodnie z oszacowaniem ekspertów wnioskodawcy niwolumab przejmie [] rynku w pierwszym roku i [] w drugim roku analizy. Szacunkowo niwolumab zastosuje [] pacjentów w pierwszym i [] pacjentów w drugim roku analizy.

Z perspektywy NFZ wydatki, przy uwzględnieniu zaproponowanego instrumentu podziału ryzyka (RSS) wyniosą [] w pierwszym roku i [] w 2 roku. Z kolei w scenariuszu bez RSS wydatki z perspektywy NFZ wzrosną o ok. 13,5 mln zł w pierwszym roku i o ok. 32,6 mln zł w drugim roku.

Główne argumenty decyzji

Konieczne są dalsze badania skuteczności i bezpieczeństwa leku, który nie wykazuje, w chwili obecnej, efektywności 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.4331.2.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leków Opdivo (niwolumab) we wskazaniu: Leczenie dorosłych pacjentów z nieoperacyjnym rakiem urotelialnym miejscowo zaawansowanym lub z przerzutami po niepowodzeniu wcześniejszej terapii zawierającej pochodne platyny”. Data ukończenia: 28 marca 2018

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Bristol-Myers Squibb Polska Sp z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Bristol-Myers Squibb Polska Sp z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Bristol-Myers Squibb Polska Sp z o.o.

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 2016, poz. 1764 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 2016, poz. 922).

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 33/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku
w sprawie oceny leków Adadut (dutasteryd), we wskazaniu:
leczenie umiarkowanych do ciężkich objawów
łagodnego rozrostu gruczołu krokowego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych Adadut (dutasteryd), kapsułki miękkie, 0,5 mg:

- 90 kaps., kod EAN: 5909991328702,
- 30 kaps., kod EAN: 5909991328696,

we wskazaniu: leczenie umiarkowanych do ciężkich objawów łagodnego rozrostu gruczołu krokowego, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go z odpłatnością 30%, pod warunkiem obniżenia ceny leku w taki sposób, aby dopłata pacjenta była zbliżona do kosztów ponoszonych na leczenie finasterydem.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Gruczoł krokowy ulega łagodnemu rozrostowi u prawie wszystkich mężczyzn w wieku powyżej 40 lat. Oprócz wieku, główną przyczyną łagodnego przerostu gruczołu krokowego jest androgen – testosteron. Hormon ten jest wydzielany zarówno przez jądra, jak i przez gruczoły nadnerczowe i jest przekształcany przez enzym 5 α -reduktazę do postaci znacznie bardziej aktywnego dihydrotestosteronu, który jest odpowiedzialny za stymulowanie gruczołu krokowego do przerostu. Inhibitory 5 α -reduktazy testosteronu (finasteryd «FIN» i dutasteryd «DUT») są stosowane u prawie połowy mężczyzn ≥ 75 lat.

Dowody naukowe

Dostępne badania, w większości niewysokiej jakości wskazują, że DUT wykazuje dobrą skuteczność w leczeniu łagodnego rozrostu gruczołu krokowego, aczkolwiek nie jest możliwe jednoznaczne stwierdzenie o jego wyższości nad FIN, dostępnym w Polsce za odpłatnością ryczałtową i znajdującym się na liście S. Większość badań wskazuje na duże podobieństwo ich skuteczności, i bezpieczeństwa, co potwierdzają opinie ekspertów, w tym Konsultanta Krajowego w dziedzinie urologii. Oba leki są bardziej skuteczne w zmniejszaniu



objawów klinicznych rozrostu gruczołu krokowego w połączeniu z długotrwałe działającym inhibitorem receptora adrenergicznego alfa-1 (np. tamsulozyną).

Problem ekonomiczny

Wnioskodawca, w ramach analizy wrażliwości, przeprowadził analizę minimalizacji kosztów (CMA). Koszt inkrementalny stosowania DUT w miejsce FIN wynosi [redacted] z perspektywy NFZ oraz [redacted] z perspektywy wspólnej. Podjęcie pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego Adadut, w ramach istniejącej grupy limitowej, spowoduje według szacunków wnioskodawcy spadek wydatków po stronie płatnika publicznego wynoszący ok. 290 tys. zł oraz o ok. 443 tys. zł w kolejnych latach przyjętego horyzontu czasowego. Z kolei, w wariacie analizie z uwzględnieniem perspektywy świadczeniobiorcy, podjęcie pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego Adadut spowoduje wzrost wydatków o ok.: 5,8 mln zł oraz 9,1 mln zł w kolejnych latach przyjętego horyzontu czasowego.

Jednym z parametrów obarczonych dużą niepewnością jest odsetek pacjentów w wieku ≥ 75 lat, u których prawdopodobnie DUT będzie bezpłatny, podobnie jak obecnie FIN. Na podstawie danych NFZ oszacowano, że w 2017 roku stanowili oni 45,2% wszystkich pacjentów stosujących finasteryd, co powoduje, że, w modelu wnioskodawcy, DUT przestaje być terapią dominującą (ICUR wynosi [redacted]). Niepewny jest % przejścia rynku FIN przez DUT, który może sięgać nawet do [redacted] (wariant maksymalny oszacowań, a nie [redacted], jak zakłada wnioskodawca).

Spośród odnalezionych rekomendacji refundacyjnych z pięciu instytucji tj. HAS, PBAC, PTAC, SMC, CADTH, tylko jedna rekomendacja była negatywna (PBAC z 2009 r. dla stosowania DUT w monoterapii), w której wskazano na niepewne korzyści i wątpliwą efektywność kosztową. W pozostałych pozytywnych rekomendacjach zwraca się głównie uwagę na neutralny koszt leczenia i skuteczność przynajmniej tak wysoką, jak w wypadku stosowania innych inhibitorów 5- α -reduktazy.

Główne argumenty decyzji

DUT jest podobny pod względem efektywności i bezpieczeństwa do refundowanego w Polsce FIN, dostępnego w aptekach za odpłatnością ryczałtową. Większość towarzystw i organizacji międzynarodowych rekomenduje stosowanie i refundację DUT, podobnie jak FIN. Akceptacja propozycji 30% odpłatności, przy proponowanej cenie leku, spowodowałaby duży wzrost obciążenia finansowego pacjentów. Niepewność analizy ekonomicznej, głównie dotycząca liczby leczonych chorych, wskazuje na konieczność zrównania ceny leku z FIN.

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.4330.2.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku Adadut (dutasteryd) we wskazaniu: leczenie umiarkowanych do ciężkich objawów łagodnego rozrostu gruczołu krokowego”. Data ukończenia: 29.03.2018 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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

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

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

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



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 34/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leków
Plaquenil (hydroxychloroquine), tabletki 200 mg oraz
Quensyl (hydroxychloroquine), tabletki 200 mg, we wskazaniach:
toczeń rumieniowaty układowy, toczeń rumieniowaty krążkowy,
podostry toczeń rumieniowaty skórny, niezróżnicowana choroba
tkanki łącznej, mieszana choroba tkanki łącznej, rumień guzowaty,
ziarniak obrączkowy, reumatoidalne zapalenie stawów, liszaj płaski
mieszkowy, zespół Sjögrena, układowe zapalenie naczyń

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację leków
Plaquenil (hydroxychloroquine), tabletki 200 mg oraz Quensyl
(hydroxychloroquine), tabletki 200 mg, we wskazaniach: toczeń rumieniowaty
układowy, toczeń rumieniowaty krążkowy, podostry toczeń rumieniowaty
skórny, niezróżnicowana choroba tkanki łącznej, mieszana choroba tkanki
łącznej, rumień guzowaty, ziarniak obrączkowy, reumatoidalne zapalenie
stawów, liszaj płaski mieszkowy, zespół Sjögrena, układowe zapalenie naczyń.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

*Zbadanie zasadności wydawania zgód na refundację produktów leczniczych:
Plaquenil (hydroxychloroquine), tabletki 200 mg oraz Quensyl
(hydroxychloroquine), tabletki 200 mg, zgodnie z art. 39 ust. 1 ustawy z dnia
12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego
przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2017 r.,
poz. 1844 z późn. zm.), we wskazaniach wymienionych w stanowisku Rady.*

*Produkt leczniczy Quensyl nie był do tej pory przedmiotem oceny. Produkt
leczniczy Plaquenil był przedmiotem oceny, we wskazaniach zbieżnych
z aktualnie ocenianymi. W roku 2013 Rada uznała za niezasadne wydawanie
zgód na refundację produktu leczniczego Plaquenil (siarczan
hydroksychlorochiny) we wskazaniach: zespół Sjögrena, reumatoidalne
zapalenie stawów, ziarniniak Wegenera, zapalenie skórno-mięśniowe, zespół
Churga-Strauss, zapalenie wielomięśniowe. Jednocześnie Rada uznała wówczas*



za zasadne stosowanie leku we wskazaniu toczeń rumieniowaty układowy oraz mieszana choroba tkanki łącznej, kiedy dominują objawy toczenia rumieniowatego układowego oraz niezróżnicowana choroba tkanki łącznej. Wskazania: toczeń rumieniowaty krążkowy, podostry toczeń rumieniowaty skórny, rumień guzowaty, ziarniak obrączkowy oraz liszaj płaski mieszkowy oceniane są po raz pierwszy.

Dowody naukowe

Słabej lub bardzo słabej jakości dowody naukowe, pochodzące w większości ze stosunkowo małych badań obserwacyjnych lub serii przypadków/opisów przypadków, sugerują umiarkowaną skuteczność hydroksychlorochiny w wyżej wymienionej grupie chorób. Za refundacją leku przemawia przede wszystkim wieloletnia praktyka kliniczna. Jak podkreślają eksperci, pomimo braku badań randomizowanych hydroksychlorochinę w chorobach autoimmunologicznych/reumatycznych stosuje się od kilkadziesiąt lat. Jest lekiem stosunkowo bezpiecznym (choć przy przewlekłym stosowaniu tych leków konieczne jest częste badanie wzroku, w tym z użyciem lampy szczelinowej). Długoletnie obserwacje siarczanu hydroksychlorochiny jako leku antymalarycznego i antyreumatycznego pozwala na wyprowadzenie wniosku o jego skuteczności również jako leku do stosowania w zapaleniach nieinfekcyjnych naczyń. Większość odnalezionych rekomendacji zaleca stosowanie hydroksychlorochiny we wnioskowanych wskazaniach. Lek nie został wymieniony jedynie w wytycznych dotyczących leczenia układowego zapalenia naczyń oraz wytycznych EULAR2016 i ACR2015 w leczeniu RZS. Nie odnaleziono wytycznych klinicznych dotyczących stosowania hydroksychlorochiny/leków przeciwmalarycznych w terapii podostrego toczenia rumieniowatego skórniego, niezróżnicowanej choroby tkanki łącznej, rumienia guzowatego, ziarniaka obrączkowego oraz liszaju płaskiego mieszkowego. W opinii ekspertów jednak, w wybranych przypadkach, lek jest z powodzeniem stosowany także w tych wskazaniach.

Problem ekonomiczny

Z powodu braku danych dotyczących przyszłej wielkości populacji docelowej stosującej Plaquenil lub Quensyl nie oszacowano wydatków ponoszonych na refundację ocenianych technologii lekowych w kolejnych latach, analizy z lat 2016-2017 wskazują jednak na małe obciążenie płatnika publicznego związane z importem docelowym hydroksychlorochiny w w/w wskazaniach.

Główne argumenty decyzji

Pomimo słabych lub bardzo słabych dowodów naukowych wieloletnia praktyka kliniczna, poparta opiniami ekspertów i rekomendacjami towarzystw naukowych, wskazuje na zasadność wydawania zgód na refundację w ramach

importu docelowego leków PLAQUENIL, QUENSYL (hydroxychloroquine) we wskazaniach wymienionych w stanowisku Rady.

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 zbadania zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr OT.4311.9.2018, „Plaquenil, Quensyl (hydroksychlorochina) we wskazaniach: toczeń rumieniowaty układowy, toczeń rumieniowaty krążkowy, podostry toczeń rumieniowaty skórny, mieszana choroba tkanki łącznej, niezróżnicowana choroba tkanki łącznej, rumień guzowaty, ziarniniak obrączkowaty, reumatoidalne zapalenie stawów, liszaj płaski mieszkowy, zespół Sjögrena, układowe zapalenie naczyń.”, data ukończenia: 4 kwietnia 2018



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 77/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku SIGNIFOR (pasireotyd) we wskazaniu: akromegalia (ICD-10: E22.0)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Signifor (pasireotyd), zawieszona do wstrzykiwań 60 mg, we wskazaniu: akromegalia (ICD-10: E22.0).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Akromegalia jest rzadką, przewlekłą chorobą spowodowaną nadmiernym wydzielaniem hormonu wzrostu, spowodowanym najczęściej guzem przysadki. Skutkiem tego są zmiany wyglądu zewnętrznego z powiększeniem twarzoczaszki, rąk i stóp, rozrostem tkanek miękkich, kości i narządów wewnętrznych oraz wielu powikłań układowych (głównie sercowo-naczyniowych), które prowadzą do pogorszenia jakości życia i odpowiadają za zwiększoną śmiertelność u chorych nieleczonych.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

W opinii ekspertów klinicznych, ankietowanych przez Agencję, oceniana technologia lekowa zapobiega przedwczesnemu zgonowi, a także ratuje życie i prowadzi do poprawy zdrowia lub poprawia jakość życia bez istotnego wpływu na jego długość.

W badaniu PAOLA wykazano różnice znamienne statystycznie na korzyść PAS zarówno w dawce 40 mg, jak i 60 mg w porównaniu do komparatora w odniesieniu do: kontroli biochemicznej, poziomu GH <2,5 µg/l oraz normalizacji IGF-1. Ponadto, wykazano różnice znamienne statystycznie na korzyść PAS 60 w porównaniu do SSA w zmianie poziomu GH oraz dla PAS 60 i PAS 40 w porównaniu do SSA w zmianie poziomu IGF-1 i w nasileniu objawów związanych z bólami głowy. Dla pozostałych punktów końcowych raportowanych w badaniu, w tym poprawy jakości życia, nie obserwowano różnic istotnych statystycznie między porównywanymi grupami.



W fazie przedłużonej badania PAOLA (28 tygodni leczenia) odsetek pacjentów uzyskujących kontrolę biochemiczną w momencie zakończenia tej fazy w odniesieniu do wyników badania podstawowego zwiększył się z 15% do 18% w grupie PAS 40 oraz z 20% do 33% w grupie PAS 60.

W 30 miesiącu badania PAOLA w ramieniu PAS 40, PAS 60 i SSA→PAS 40 kontrola biochemiczna wystąpiła u odpowiednio 24,6%, 24,1% i 32,3% pacjentów. Częstość występowania kontroli biochemicznej wzrosła w ramionach PAS 40 i SSA→PAS 40 względem wcześniejszych obserwacji.

W badaniu Colao 2014 po 12 miesiącach obserwacji wykazano IS przewagę PAS LAR nad OCT LAR dla wystąpienia kontroli biochemicznej oraz normalizacji IGF-1. W obydwu badanych grupach po 12 miesiącach terapii nastąpiła poprawa jakości życia mierzonej za pomocą skali AcroQoL, w grupie PAS średnio o 7,0 pkt. (SD: 14,5), natomiast w grupie OCT LAR średnio o 4,9 pkt (SD: 15,5). Wśród podstawowych objawów choroby największą różnicę zanotowano dla spadku nasilenia pocenia się, spadek o odpowiednio -0,6 i - 0,8 dla pacjentów leczonych PAS i OCT. Nasilenie objawów było mierzone w skali od 0 do 4, gdzie 0 to brak, natomiast 4 to najwyższe nasilenie objawów.

Wśród pacjentów którzy w fazie przedłużonej badania zmienili terapię z OCT na PAS (z powodu braku uzyskania kontroli biochemicznej) po odpowiednio 6 i 12 miesiącach jej trwania: odpowiedź biochemiczna wystąpiła u 21% i 17,3% chorych, poziom GH <2,5 µg/l osiągnięto u 43,2% i 44% chorych natomiast normalizacja IGF-1 wystąpiła u 30,9% i 27,2% chorych.

Wśród pacjentów którzy w fazie przedłużonej badania kontynuowali terapię PAS (z kontrolą biochemiczną), na jej początku i po 6 oraz 12 miesiącach jej trwania: odpowiedź biochemiczna wystąpiła u 62,2%, 45,9% i 48,6% chorych, poziom GH <2,5 µg/l osiągnięto u 78,4% 73% i 70,3% chorych natomiast normalizacja IGF-1 wystąpiła u 74,3%, 50% i 51,4% chorych.

Wśród pacjentów którzy w fazie przedłużonej badania kontynuowali terapię OCT (z kontrolą biochemiczną), na jej początku i po 6 oraz 12 miesiącach jej trwania: odpowiedź biochemiczna wystąpiła u 52,2%, 45,7% i 45,7% chorych, poziom GH <2,5 µg/l osiągnięto u 80,4% 71,7% i 80,4% chorych natomiast normalizacja IGF-1 wystąpiła u 56,5%, 52,2% i 47,8% chorych.

Bezpieczeństwo stosowania

W badaniu PAOLA wykazano różnice znamienne statystycznie na niekorzyść PAS 40 w porównaniu do SSA pod względem występowania zdarzeń niepożądanych ogółem oraz dla obu dawek PAS w odniesieniu do SSA pod względem występowania zdarzeń niepożądanych związanych z hiperglikemią ogółem oraz biegunką. Ponadto w ramach zdarzeń niepożądanych związanych z metabolizmem glukozy wykazano różnice znamienne statystycznie pod względem występowania cukrzycy i hiperglikemii na niekorzyść obu dawek

PAS w porównaniu do SSA. Dla pozostałych zdarzeń niepożądanych, raportowanych w badaniu nie wykazano różnic istotnych statystycznie między porównywanymi grupami.

W badaniu Colao 2014 najczęściej występującymi zdarzeniami niepożądanymi wśród pacjentów leczonych PAS lub OCT były biegunka (39,3% i 45%), kamica żółciowa (25,8% i 35,6%), bóle głowy (18,5% i 25,6%) oraz hiperglikemia (28,7% i 8,3%).

Wyniki badań dodatkowych były zgodne z badaniami PAOLA oraz Colao 2014 i wskazały, że najczęstszym zdarzeniem niepożądanym ($\geq 20\%$ pacjentów) po leczeniu PAS były: hiperglikemia, biegunka, nudności, podwyższony poziom glikozy we krwi, ból głowy. W ChPL Signifor do bardzo częstych działań niepożądanych ($\geq 1/10$) należą, oprócz hiperglikemii, cukrzycy, biegunki, także kamica żółciowa.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Produkt leczniczy Signifor zarejestrowano m.in. w leczeniu dorosłych pacjentów z akromegalią, u których leczenie chirurgiczne nie jest możliwe lub nie spowodowało wyleczenia i którzy nie uzyskali odpowiedniej kontroli nad chorobą podczas leczenia innym analogiem somatostatyny.

Na podstawie danych dotyczących jakości, bezpieczeństwa i skuteczności, w drodze konsensusu, uznano że stosunek korzyści do ryzyka stosowania pasireotydu 20 mg, 40 mg i 60 mg w leczeniu akromegalii jest korzystny.

Koszt 3-miesięcznej terapii pasireotydem wynosi [REDAKTOWANE]. Natomiast koszt ten w przypadku alternatywnych leków wynosi: 47,2 tys. zł dla pegwisomantu, 2,8-4,1 tys. zł dla kabergoliny, 18,2 tys. zł dla lanreotydu i 19,6 tys. zł dla oktreotydu.

Konkurencyjność cenowa

Koszt 3-miesięcznej terapii pasireotydem wynosi [REDAKTOWANE]. Natomiast koszt ten w przypadku alternatywnych leków wynosi: 47,2 tys. zł dla pegwisomantu, 2,8-4,1 tys. zł dla kabergoliny, 18,2 tys. PLN dla lanreotydu i 19,6 tys. zł dla oktreotydu.

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

Koszt 3 cykli leczenia pasireotydem 1 pacjenta wynosi: [REDAKTOWANE], natomiast 150 pacjentów (populacja docelowa, u której może być zastosowany oceniany lek, wskazana przez eksperta klinicznego) wyniosłaby [REDAKTOWANE].

Alternatywna technologia medyczna, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi klinicznymi i opiniami ekspertów klinicznych, ankietowanych przez Agencję, w leczeniu akromegalii stosuje się:

pegwisomant, kabergolinę lub też kontynuuje lanreotyd czy oktreotyd. W wytycznych wskazano, że w przypadku nieskuteczności analogów somatostatyny (aktualnie refundowanych leków) dodaje się do nich kabergolinę lub pegwisomant, lub też stosuje pegwisomant z lub bez kabergoliny (leki nierefundowane w Polsce).

Odnaleziono 6 rekomendacji, przy czym wszystkie z nich zalecają stosowanie analogów somatostatyny w leczeniu akromegalii. Pacjentom, u których leczenie chirurgiczne nie jest możliwe lub nie spowodowało wyleczenia, analogi somatostatyny stanowią pierwszą linię leczenia farmakologicznego. Ponadto SSA wymieniane są jako opcje terapeutyczne zarówno pierwszej, jak i kolejnych linii oraz do stosowania w schemacie mono- i politerapii. W przypadku nieskuteczności analogów somatostatyny zaleca się dołączenie do nich agonisty dopaminy lub agonisty receptora GH, bądź też zmianę leczenia na agonistę receptora GH z/bez agonisty dopaminy.

Wytyczne ES, ACG, SEEN, FES-FPC zaznaczają istnienie pasireotydu jako nowej terapii. W dwóch rekomendacjach wskazuje się na wyższe powinowactwo pasireotydu do receptorów somatostatyny (w porównaniu do oktreotydu i lanreotydu).

Ponadto w *Prescrire 2015 Signifor (pasireotyd)* podkreślono, że pomimo braku bezpośrednich komparatorów, pasireotyd wydaje się mieć korzystniejszy bilans ryzyka i korzyści niż pegwisomant (stosowane u pacjentów,

u których zabieg operacyjny oraz leczenie analogami somatostatyny nie powiodły się). W przeciwieństwie do pegwisomantu, działanie pasireotydu czasami wiąże się ze zmniejszeniem rozmiarów gruczołka przysadki. Dodatkowo, iniekcje pasireotydu są mniej uciążliwe dla pacjenta (pasireotyd - głębokie wstrzyknięcie domięśniowe vs. pegwisomant - wstrzyknięcia podskórne wiążące się z codzienną zmianą miejsca wkłucia).

U pacjentów leczonych pasireotydem, z uwagi na częste występowanie działań niepożądanych, należy prowadzić monitorowanie elektrokardiograficzne oraz glikemiczne. Ponadto, pacjenci ci mogą wymagać wdrożenia postępowania diagnostycznego oraz terapeutycznego w kierunku cukrzycy.

Jednocześnie, Rada zwraca uwagę, że lek powinien być refundowany w ramach RDTL, czyli wyłącznie po wyczerpaniu wszystkich refundowanych technologii medycznych.

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.422.12.2018, „Signifor

(pasireotyd) we wskazaniu: akromegalia (ICD10: E22.0) Opracowanie w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych”. Data ukończenia: 04.04.2018

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Novartis Poland Sp. z o.o.).

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

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust.2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2016, poz.1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2003 r., Nr 153, poz. 1503 z późn. zm.)

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

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



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 35/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Carb Zero
we wskazaniach: padaczka lekooporna u dziecka poniżej 3 roku życia,
padaczka lekooporna u pacjentów powyżej 3 roku życia
oraz deficyt transportera glukozy GLUT-1

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Carb Zero, emulsja, butelka á 225 ml, we wskazaniach: padaczka lekooporna u pacjentów powyżej 3 roku życia oraz deficyt transportera glukozy GLUT-1 oraz za niezasadne we wskazaniu: padaczka lekooporna u dziecka poniżej 3 roku życia.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zasadność wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Carb Zero, na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2017 r. poz. 1844) . Carb Zero w ocenianych wskazaniach nie był przedmiotem oceny w Agencji i dotychczas nie był sprowadzany w ramach importu docelowego.

Zgodnie z informacją o leku Carb Zero jest odpowiedni dla pacjentów powyżej 3 roku życia tymczasem zlecenie dotyczy stosowania preparatu również u dzieci poniżej 3 roku życia.

Dowody naukowe

Brak jest dowodów naukowych dotyczących skuteczności środka Carb Zero lub innych środków składających się głównie z trójglicerydów długołańcuchowych w analizowanych wskazaniach, w szczególności brak jest badań klinicznych z zastosowaniem produktu Carb Zero w grupie wiekowej dzieci poniżej 3 roku życia. Wiadomo jednak, że dieta ketogenna jest wartościową metodą w leczeniu padaczki lekoopornej u dzieci, o skuteczności porównywalnej (lub większej) do leków przeciwpadaczkowych nowej generacji. Znajduje



to odzwierciedlenie w większości międzynarodowych rekomendacji klinicznych. Za możliwością stosowania Carb Zero w deficycie transportera glukozy GLUT-1 oraz w padaczce lekoopornej powyżej 3 roku życia opowiedzieli się wszyscy eksperci.

Problem ekonomiczny

Brak jest wiarygodnych danych pozwalających oszacować populację chorych z padaczką lekooporną, u której Carb Zero mógłby być zastosowany, tym samym oszacowanie wpływu decyzji pozytywnej na wydatki płatnika nie jest możliwe. W roku 2017 zgody na refundację alternatywnych produktów otrzymało 85 pacjentów z analizowanymi wskazaniami.

Główne argumenty decyzji

Stosowanie Carb Zero w deficycie transportera glukozy GLUT-1 oraz w padaczce lekoopornej powyżej 3 roku życia znajduje uzasadnienie w praktyce klinicznej i opiniach ekspertów. W chwili obecnej nie ma jednak uzasadnienia do jego zastosowania u dzieci poniżej 3 roku życia.

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 zbadania zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr OT.4311.5.2018, „Carb Zero we wskazaniach: padaczka lekooporna, deficyt transportera glukozy GLUT-1”, data ukończenia: 04 kwietnia 2018 oraz Erraty do opracowania na potrzeby Rady Przejrzystości nr OT.4311.5.2018.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 36/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Proglycem (diazoxide) we wskazaniach: hipoglikemia insulinemiczna, hipoglikemia nieokreślona, wyspiak trzustki, zespół hipoglikemia-hiperamonemia, zespół MEN2, zespół Beckwitha-Wiedemanna, hiperinsulinizm rodzinny, hipoglikemia leucynowrażliwa

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Proglycem (diazoxide), kapsułki á 25 mg oraz 100 mg, we wskazaniach: hipoglikemia insulinemiczna, hipoglikemia nieokreślona, wyspiak trzustki, zespół hipoglikemia-hiperamonemia, zespół MEN2, zespół Beckwitha-Wiedemanna, hiperinsulinizm rodzinny, hipoglikemia leucynowrażliwa.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia, na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1844r. z późn. zm.), zlecił Agencji zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Proglycem (diazoxide), kapsułki á 25 mg oraz 100 mg w 8 wskazaniach:

- *hipoglikemia insulinemiczna,*
- *hipoglikemia nieokreślona,*
- *wyspiak trzustki,*
- *zespół hipoglikemia-hiperamonemia,*
- *zespół MEN2,*
- *zespół Beckwitha-Wiedemanna,*
- *hiperinsulinizm rodzinny*
- *hipoglikemia leucynowrażliwa.*

Rada dwukrotnie w przeszłości zajmowała pozytywne stanowisko odnośnie importu docelowego diazoxidu.

Wszystkie osiem, wymienione wskazania należą do rzadkich stanów patologicznych.



Hipoglikemia hiperinsulinemiczna (HH) to wspólny termin dla określenia stanu chorobowego spowodowanego różnymi przyczynami. Najważniejszą przyczyną zaburzeń hipoglikemicznych u niemowląt i dzieci jest wrodzony hiperinsulinizm (CHI), który jest zazwyczaj trwały. CHI, wcześniej nazywany pierwotnym przerostem komórek wysp trzustkowych (nesidioblastosis) lub przetrwałą hipoglikemią hiperinsulinemiczną u niemowląt (PHHI), jest najczęstszą przyczyną przewlekłej hipoglikemii u niemowląt. Częstość CHI w północnej populacji europejskiej wynosi około 1:30 000-50 000 żywych urodzeń, w większości przypadków CHI została opisana jako sporadyczne.

Hipoglikemia powoduje poważne następstwa neurologiczne, takie jak opóźnienie psychoruchowe, braki poznawcze i padaczka. Są one zwykle spowodowane długotrwałą i/lub nawracającą hipoglikemią w okresie noworodkowym. Przebieg CHI jest łagodniejszy u niemowląt niż u noworodków, które gorzej tolerują hipoglikemie.

Zespół hiperinsulinemia-hiperamonemia (HI/HA) jest rzadką chorobą genetyczną spowodowaną aktywacją mutacji *GLUD1*, genu dehydrogenazy glutaminianowej (GDH). Częstość występowania wszystkich guzów neuroendokrynych trzustki szacuje się na 4-12 na 1 000 000 populację. Niektóre z powyższych nowotworów są charakterystyczne dla trzustki (guzy insulinowe), a inne, np. guzy gastrynowe, występują częściej w dwunastnicy niż w trzustce. W ok. 90 % przypadków guzy insulinowe trzustki mają postać łagodną.

Dowody naukowe

Diazoksyd jest standardowym, skutecznym lekiem stosowanym w hipoglikemii, hamującym sekrecję insuliny. Ponadto, działa hiperglikemizująco poprzez zwiększenie sekrecji adrenaliny oraz glukoneogenezę. Aktualnie brak jest alternatywnych technologii leczenia hipoglikemii.

Problem ekonomiczny

W latach 2016-2017 sprowadzono do kraju Proglicem na łącznie kwotę 502 955 zł. Wobec braku istotnych zmian epidemiologii ww. stanów hipoglikemicznych należy spodziewać się podobnego poziomu wydatków w kolejnych dwóch latach.

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 zbadania zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr OT.4311.5.2018, „Proglicem (diazoxide) we

wskazaniach: hipoglikemia insulinemiczna, hipoglikemia nieokreślona, wyspiak trzustki, zespół hipoglikemia-hiperamonemia, zespół MEN2, zespół Beckwitha-Wiedemanna, hiperinsulinizm rodzinny, hipoglikemia leucynowrażliwa”, data ukończenia: 5 kwietnia 2018



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 37/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Xyrem (sodium oxybate) we wskazaniu: narkolepsja z katalepsją
u osoby poniżej 18 roku życia

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Xyrem (sodium oxybate), roztwór doustny, 500 mg/ml, we wskazaniu: narkolepsja z katalepsją u osoby poniżej 18 roku życia.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Narkolepsja to przewlekła hipersomnia, która charakteryzuje się zespołem objawów nazywanych tetradą narkoleptyczną:

- *nadmierna senność w ciągu dnia (ang. excessive daytime sleepiness, EDS),*
- *katapleksja - objaw charakterystyczny tylko dla narkolepsji,*
- *porażenie przysenne,*
- *omamyprzysenne.*

Nadmierna senność w ciągu dnia i katapleksja są uważane za osiowe objawy narkolepsji, przy czym należy podkreślić, że katapleksja na ogół występuje tylko w przebiegu narkolepsji. Pozostałe dwa objawy z tetrady narkoleptycznej mogą się pojawić także w innych zaburzeniach snu.

Lek XYREM był sprowadzany w ramach importu docelowego dwukrotnie, dla 1 pacjenta w wieku 16 lat.

Dowody naukowe

W wytycznych europejskich z 2011 roku, EAN / EFNS, wskazano, że rekomendowany do zastosowania w pierwszej linii leczenia katapleksji w narkolepsji u osób dorosłych jest hydroksymaślan sodu, natomiast w drugiej linii leczenia leki przeciwdepresyjne (tj. klomipramina, wenlafaksyna, reboksetyna i atomoksetyna – ze wskazaniem na klomipraminę). Zastosowanie innych leków, tj. mazindol, seleginina, czy amfetamina, jest ograniczone.

W wytycznych amerykańskich z 2007 roku, AASM, wskazano, że hydroksymaślan sodu jest skuteczny m.in. w leczeniu katapleksji, seleginina może okazać się skuteczna w leczeniu m.in. katapleksji oraz, że trójcykliczne leki



przeciwdepresyjne (wenlafaksyna, reboksetyna) mogą okazać się skuteczne w leczeniu katapleksji. W przypadku populacji pediatrycznej wskazano, że stosowanie metylofenidatu lub modafinilu w narkolepsji u dzieci między 6, a 15 r.ż. wydaje się względnie bezpieczne.

W wytycznych brytyjskich, Bitton 2002, hydroksymaślan sodu został wymieniony jako jedna z substancji możliwych do zastosowania w leczeniu katapleksji związanej z narkolepsją, przy czym nie znalazł się on w technologiach rekomendowanych. Wytyczne te, w leczeniu katapleksji w narkolepsji, rekomendują klomipraminę, fluoksetynę oraz selegininę.

Problem ekonomiczny

Z uwagi na brak danych o populacji docelowej, niemożliwe jest oszacowanie wpływu sfinansowania przedmiotowej technologii w ramach importu docelowego na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców.

Szacuje się jedynie, że w krajach europejskich na narkolepsję choruje 0,02–0,05% populacji ogólnej.

Lek XYREM był sprowadzany w ramach importu docelowego dwukrotnie, dla 1 pacjenta w wieku 16 lat.

Główne argumenty decyzji

W dostępnych materiałach wyszukiwania odnaleziono 7 dokumentów/rekomendacji refundacyjnych dotyczących stosowania hydroksymaślanu sodu (Xyrem) w leczeniu katapleksji w przebiegu narkolepsji. Odnalezione wytyczne dotyczą zastosowania produktu leczniczego Xyrem w leczeniu katapleksji w przebiegu narkolepsji. We wszystkich rekomendacjach, oprócz AWMSG 2008 oraz CADTH 2009, wskazano, że rekomendacja dotyczy populacji pacjentów dorosłych.

Spośród odnalezionych rekomendacji klinicznych, jedynie rekomendacje wydane przez francuskie HauteAutorité de Santé są rekomendacjami pozytywnymi dla stosowania produktu leczniczego Xyrem w leczeniu narkolepsji u dorosłych pacjentów z katapleksją. Rekomendacje negatywne są uzasadnione argumentami, tj.:

- uzasadnienie producenta dotyczące kosztów leczenia w odniesieniu do uzyskiwanych korzyści zdrowotnych zostało uznane za niewystarczające dla uzyskania pozytywnej rekomendacji SMC (SMC 2007),
- ze względu na brak złożenia wniosku o refundację produktu leczniczego Xyrem, w leczeniu katapleksji związanej z narkolepsją, przez podmiot odpowiedzialny, nie było możliwe wydanie rekomendacji, czy lek powinien być dostępny w systemie opieki zdrowotnej walijskiego NHS (AWMSG 2008),

- *opierając się na niepewnej ocenie skuteczności klinicznej, komisja CADTH uważa, że nie wykazano aby stosowane hydroksymaślanu sodu było kosztowo efektywne (CADTH 2009).*

Co prawda 3 opublikowane badania obserwacyjne dotyczące niewielkich (od 8 do 27 pacjentów) populacji pediatrycznej wskazywały na znamienne statystycznie zmniejszenie ciężkich ataków katapleksji i zmniejszenia senności w ciągu dnia jednak ograniczenia wynikające z tego typu badań nie pozwalają na jednoznaczne potwierdzenie efektywności farmakoekonomicznej zastosowanej technologii lekowej tym bardziej, że działania niepożądane obserwowano od 40 do 75% chorych.

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 zbadania zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr OT.4311.3.2018, „Xyrem (sodium oxybate) we wskazaniu: narkolepsja z katalepsią u osoby poniżej 18 roku życia (off-label)”, data ukończenia: 4 kwietnia 2018



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 78/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku
w sprawie oceny zasadności rozszerzenia wykazu wyrobów
medycznych wydawanych na zlecenie o system monitorowania
glikemii flash (FGM)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne rozszerzenie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie o system monitorowania glikemii flash (FGM) u dzieci i młodzieży od 4 do 17 r.ż. z cukrzycą typu 1 oraz u dorosłych chorych do 26 r.ż. ze szczególnie ciężką do kontroli cukrzycą typu 1.

Uzasadnienie

Wnioskodawca przedstawił analizę wpływu na budżet obejmującą dwa kolejne lata refundacji FGM u dzieci i młodzieży od 4 do 17 r.ż. z cukrzycą typu 1. oraz u dorosłych chorych do 26 r.ż. ze szczególnie ciężką do kontroli cukrzycą typu 1. Z populacji docelowej wykluczono pacjentów z nieświadomością glikemii, którym przysługuje refundacja systemu CGM.

Ze względu na ograniczenia analizy, oszczędności związane z refundacją systemu FGM należy traktować z ostrożnością, jako oszacowanie orientacyjne. Największe oszczędności wiążą się ze zmniejszeniem zużycia pasków, natomiast wielkość populacji stosującej FGM wydaje się mieć największy wpływ na wynik analizy. Jednak ilościowa zmiana zużycia pasków przyjęta przez wnioskodawcę wydaje się niepewna, a brak danych uniemożliwia prognozę rzeczywistego rozpowszechnienia FGM po wydaniu decyzji o refundacji.

Z perspektywy wspólnej, przy założeniu większych udziałów FGM, inkrementalny koszt refundacji systemu FGM wyniesie 25,88 [min 17,84; max 29,34] mln zł w pierwszym roku i 54,38 [min 35,34; max 62,84] mln zł w drugim roku. Wydatki związane z refundacją czytnika i sensorów wyniosą 42,50 [min 29,31; max 48,19] mln zł w pierwszym roku i 90,40 [min 58,79; max 104,45] mln zł w drugim roku.

W opinii prof. Krzysztofa Strojka Konsultanta Krajowego w dziedzinie diabetologii konieczne jest zdefiniowanie „szczególnie ciężkiej do kontroli cukrzycy typu 1.”. Wnioskodawca z kolei zwraca uwagę, że refundacja 2 sensorów miesięcznie oznacza 29 dni w roku bez refundacji sensorów.



Odnosząc się do wiarygodnych danych klinicznych wskazujących na znamienne statystycznie zmniejszenie epizodów hipoglikemii i dobowego czasu hiperglikemii w czasie monitorowania opartego na FGM należy zauważyć wyraźną jego przewagę kliniczną w stosunku do pomiarów paskowych. Brak jest jednak dostępnej analizy farmakoekonomicznej uwzględniającej ww. dane w odniesieniu do populacji polskiej objętej wnioskiem, która to analiza może wpłynąć na zmianę stanowiska Rady.

W związku z tym, przed podjęciem ostatecznej decyzji o refundacji wyrobu medycznego koniecznym jest:

- opracowanie i wdrożenie definicji „ciężkiej do kontroli cukrzycy typu I”,*
- pozyskanie wiarygodnych danych z NFZ, opartych na faktycznym poziomie refundacji pasków do oznaczenia poziomu glikemii na pacjenta, w ww. grupie chorych i ponowna analiza farmakoekonomiczna uwzględniająca te dane,*
- zmiana wniosku w zakresie liczby refundowanych sensorów z dwóch miesięcznie na 26 sensorów w roku (1 na 2 tygodnie, zgodnie z zaleceniami wytwórcy) i uwzględnienie tej zmiany w analizie kosztów refundacji w odniesieniu do komparatora.*

Przedmiot zlecenia

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), w nawiązaniu do zlecenia Ministra Zdrowia, zawartego w piśmie PLW.4650.121.2017 z dnia 6 listopada 2017 r.

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 na potrzeby wydania opinii w zakresie zasadności rozszerzenia wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie o system FGM, raport nr OT.4320.2.2017, „System Monitorowania Glikemii Flash”, data ukończenia: 05.04.2018 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezysie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 38/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego
MSUD Anamix Infant we wskazaniu: choroba syropu klonowego

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MSUD Anamix Infant, proszek, puszka à 400g, w ramach importu docelowego we wskazaniu: choroba syropu klonowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Choroba syropu klonowego MSUD (maple syrup urine disease) jest wrodzoną wadą metaboliczną dziedziczną w sposób autosomalny recesywny. W wyniku tej wady organizm nie jest w stanie rozkładać aminokwasów rozgałęzionych takich jak leucyna, izoleucyna i walina. Przyczyną choroby jest niedobór lub brak aktywności dyhydrogenazy rozgałęzionych α -ketokwasów, która odpowiada za rozkład aminokwasów rozgałęzionych. Zaburzenie wywołane jest mutacją w obrębie genów BCKDHB, BCKDHA, DBT. W wyniku tej wady w organizmie gromadzą się α -ketokwasy, leucyna izoleucyna i walina, a to wywołuje objawy chorobowe i zespół intoksykacji.

Leczenie i rokowanie: eliminacja białka z diety, dostarczanie glukozy i lipidów do naczyń centralnych, czasem hemodializa. Dieta jest kluczowa w leczeniu choroby. Dzieci nieleczone umierają przed ukończeniem 2 roku życia

Choroba jest rzadka i dotyczy 1 na 185 000 dzieci na świecie, a w Polsce jej częstotliwość wynosi 1:250 000. Liczba chorych w Polsce wynosi 25 osób, w tym cztery są po przeszczepie wątroby, czyli wyleczone. Liczba zachorowań rocznie w Polsce 1-2 dzieci.

Dowody naukowe

Brak jest badań dotyczących bezpośrednio preparatu MSUD Anamix Infant. W badaniach dotyczących podobnych preparatów wykazano zasadność podawania tych preparatów z powodu dobrych efektów klinicznych, a w jednym



z powodu wygody stosowania. Nie odnaleziono żadnych danych dotyczących analizy bezpieczeństwa stosowania preparatu.

Problem ekonomiczny

Nie odnaleziono rekomendacji dot. finansowania ze środków publicznych środków spożywczych stosowanych w leczeniu choroby syropu klonowego.

W Australii działa program pod nazwą "Inborn Error of Metabolism" (IEM), który zapewnia comiesięczną pomoc finansową w zakupie żywności o niskiej zawartości białka dla zatwierdzonych przez Wydział Zdrowia beneficjentów z zaburzeniami metabolizmu białka. Programem zostali objęci także pacjenci chorujący na chorobę syropu klonowego.

Nie odnaleziono żadnych danych do oszacowania wielkości przyszłej populacji w Polsce kwalifikującej się do stosowania preparatu.

Koszt refundacji środków spożywczych sprowadzonych do Polski w latach 2015-17 o składzie podobnym do środka MSUD Anamix Infant na podstawie zgód na import docelowy wyniósł około 3 miliony 870 tys. zł.

Aktualny stan finansowania preparatu w Polsce przedstawia się następująco: w latach 2015-2017 sfinansowano ze środków publicznych 860 opakowań preparatu MSUD Anamix Infant na kwotę 543 950 zł (import docelowy dla sześciu pacjentów).

Główne argumenty decyzji

MSUD jest chorobą rzadką. Opinie polskich ekspertów klinicznych co do finansowania preparatu ze środków publicznych są pozytywne, populacja dzieci z tą chorobą w Polsce jest niewielka, a środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego sprowadzany jest w ramach importu docelowego.

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 zbadania zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr OT.4311.11.2018, „Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego: MSUD Anamix Infant, we wskazaniu: choroba syropu klonowego”, data ukończenia: 28 marca 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 39/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego
MSUD gel we wskazaniu: choroba syropu klonowego

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MSUD gel, proszek, saszetki à 24g, w ramach importu docelowego, we wskazaniu: choroba syropu klonowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Choroba syropu klonowego MSUD (maple syrup urine disease) jest wrodzoną wadą metaboliczną dziedziczną w sposób autosomalny recesywny. W wyniku tej wady organizm nie jest w stanie rozkładać aminokwasów rozgałęzionych takich jak leucyna, izoleucyna i walina. Przyczyną choroby jest niedobór lub brak aktywności dyhydrogenazy rozgałęzionych α -ketokwasów, która odpowiada za rozkład aminokwasów rozgałęzionych. Zaburzenie wywołane jest mutacją w obrębie genów BCKDHB, BCKDHA, DBT. W wyniku tej wady w organizmie gromadzą się α -ketokwasy, leucyna izoleucyna i walina, a to wywołuje objawy chorobowe i zespół intoksykacji.

Leczenie i rokowanie: eliminacja białka z diety, dostarczanie glukozy i lipidów do naczyń centralnych, czasem hemodializa. Dieta jest kluczowa w leczeniu choroby. Dzieci nieleczone umierają przed ukończeniem 2 roku życia

Choroba jest rzadka i dotyczy 1 na 185 000 dzieci na świecie, a w Polsce jej częstotliwość wynosi 1:250 000. Liczba chorych w Polsce wynosi 25 osób, w tym cztery są po przeszczepie wątroby, czyli wyleczone. Liczba zachorowań rocznie w Polsce 1-2 dzieci.

Dowody naukowe

Brak jest badań dotyczących bezpośrednio preparatu MSUD Gel. W badaniach dotyczących podobnych preparatów wykazano zasadność podawania tychże preparatów z powodu dobrych efektów klinicznych, a w jednym z powodu



wygody stosowania. Nie odnaleziono żadnych danych dotyczących analizy bezpieczeństwa stosowania preparatu.

Problem ekonomiczny

Nie odnaleziono rekomendacji dot. finansowania ze środków publicznych środków spożywczych stosowanych w leczeniu choroby syropu klonowego.

W Australii działa program pod nazwą "Inborn Error of Metabolism" (IEM), który zapewnia comiesięczną pomoc finansową w zakupie żywności o niskiej zawartości białka dla zatwierdzonych przez Wydział Zdrowia beneficjentów z zaburzeniami metabolizmu białka. Programem zostali objęci także pacjenci chorujący na chorobę syropu klonowego.

Nie odnaleziono żadnych danych do oszacowania wielkości przyszłej populacji w Polsce kwalifikującej się do stosowania preparatu.

Koszt refundacji środków spożywczych sprowadzonych do Polski w latach 2015-17 o składzie podobnym do środka MSUD gel na podstawie zgód na import docelowy wyniósł około 4 miliony 400 tys. zł.

Aktualny stan finansowania preparatu w Polsce przedstawia się następująco: w latach 2015-2017 sfinansowano ze środków publicznych 30 opakowań preparatu MSUD gel na kwotę 7590 zł (import docelowy dla trzech pacjentów).

Główne argumenty decyzji

MSUD jest chorobą rzadką. Opinie polskich ekspertów klinicznych co do finansowania preparatu ze środków publicznych są pozytywne, populacja dzieci z tą chorobą w Polsce jest niewielka, a środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego sprowadzany jest w ramach importu docelowego.

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 zbadania zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr OT.4311.7.2018, „Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego: MSUD gel, we wskazaniu: choroba syropu klonowego”, data ukończenia: 28 marca 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 79/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku

o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej dla województwa lubuskiego skierowany do osób pracujących i powracających do pracy w zakresie rehabilitacji medycznej schorzeń układu ruchu i obwodowego układu nerwowego związanych ze sposobem wykonywania pracy”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej dla województwa lubuskiego skierowany do osób pracujących i powracających do pracy w zakresie rehabilitacji medycznej schorzeń układu ruchu i obwodowego układu nerwowego związanych ze sposobem wykonywania pracy”.

Uzasadnienie

Oceniany projekt programu odnosi się do problemu zdrowotnego jakim są schorzenia układu ruchu i obwodowego układu nerwowego związane ze sposobem wykonywania pracy. Głównym założeniem projektu programu jest „przywrócenie osobom ze schorzeniami układu ruchu i obwodowego układu nerwowego związanymi ze sposobem wykonywania pracy, pełnej lub maksymalnie możliwej do osiągnięcia sprawności fizycznej oraz zdolności do aktywności zawodowej poprzez wdrożenie kompleksowego programu rehabilitacji medycznej na terenie województwa lubuskiego w latach 2018-2020”. Należy zaznaczyć, że cel główny został poprawiony przez wnioskodawcę zgodnie z uwagą Prezesa Agencji. W obecnie ocenianym projekcie programu jest on wyraźnie zdefiniowany i precyzyjnie (w odniesieniu do planowanego czasu) wytyczony, a jego osiągnięcie będzie stanowić potwierdzenie skuteczności zaplanowanych działań. W ramach realizacji programu przewidziano przeprowadzenie następujących interwencji:

- konsultacja lekarza specjalisty rehabilitacji medycznej lub magistra fizjoterapii (wstępna oraz po zakończonym cyklu rehabilitacji);*
- zabiegi fizykoterapeutyczne z zakresu elektroterapii, światłolecznictwa, magnetoterapii, hydroterapii, krioterapii, ultradźwięków; ćwiczenia lecznicze (kinezyterapia); masaż leczniczy;*



- *dotatkowe formy wsparcia dla uczestników (stosowane na podstawie zaleceń wynikających z konsultacji rehabilitacyjnej): konsultacja psychologiczna, konsultacja lekarza specjalisty medycyny pracy);*
- *szkolenia dla uczestników programu ukierunkowane szczególnie na profilaktykę zagrożeń w środowisku pracy oraz kształtowanie zdrowego stylu życia;*
- *zakończenie udziału uczestnika w programie – końcowa konsultacja lekarza specjalisty rehabilitacji lub magistra fizjoterapii.*

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.441.27.2018 „Program polityki zdrowotnej dla województwa lubuskiego skierowany do osób pracujących i powracających do pracy w zakresie rehabilitacji medycznej schorzeń układu ruchu i obwodowego układu nerwowego związanych ze sposobem wykonywania pracy” realizowany przez: Województwo Lubuskie, Warszawa, kwiecień 2018 r. oraz Aneksów „Programy z zakresu zapobiegania chorobom mięśniowo-szkieletowym oraz fizjoprofilaktyki dotyczącej ergonomii pracy – wspólne podstawy oceny” z września 2016 r., „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2016 r. i „Programy polityki zdrowotnej z zakresu medycyny pracy – wspólne podstawy oceny” z listopada 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 80/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku

o projekcie programu „5-krotna rehabilitacja wraz z podstawową diagnostyką dla seniorów Gminy Miejskiej Legionowo w wieku 60 plus”

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „5-krotna rehabilitacja wraz z podstawową diagnostyką dla seniorów Gminy Miejskiej Legionowo w wieku 60 plus”.

Uzasadnienie

Poprawa sprawności osób starszych, które cechuje deficyt sprawności jest zagadnieniem społecznie istotnym. Tym niemniej konstrukcja i założenia ocenianego projektu nie stwarzają istotnych szans na poprawę sprawności starszych mieszkańców gminy Legionowo.

Projekt dotyczy bardzo rozległego problemu zdrowotnego. W opisie Projekcie nie przedstawiono kryteriów kwalifikujących pacjentów do programu. Nie określono jednoznacznie z jakimi schorzeniami będą włączane do programu. Brakuje określenia jak rozumiane będzie pojęcie niepełnosprawności. Wg analizowanych zapisów w programie uczestniczyć może każda osoba w wieku 60 lat i powyżej zamieszkała na terenie Gminy. W gminy zamieszkuje 13 790 osób w wieku 60 lat i więcej. W programie założono, iż weźmie w nim udział 500 osób. Czyli poniżej 4%, zatem należało zadbać aby były to osoby, które potencjalnie odniosły korzyści z proponowanej rehabilitacji. Tymczasem wskazano, że w programie będzie brana pod uwagę jedynie kolejność zgłoszeń, a zatem istnieje bardzo duże prawdopodobieństwo, iż znaczny odsetek uczestników nie będzie miał wskazań do rehabilitacji.

Każdy zakwalifikowany do udziału w programie weźmie udział w 5 spotkaniach (cyklach) rehabilitacyjno- fizjoterapeutycznych (brak określenia zakresu interwencji wykonywanych w ramach cykli, do jakiego stopnia będą to spotkania zindywidualizowane) w okresie od kwietnia do grudnia 2018 r. Wnioskodawca nie zawarł w programie informacji na temat zakresu oraz liczby interwencji prowadzonych wśród uczestników.

Po wykonaniu przewidzianych 5 spotkań rehabilitacyjno-fizjoterapeutycznych, każdy pacjent „otrzyma indywidualne zalecenia fizjoterapeutyczno-



rehabilitacyjne oraz zestaw ćwiczeń do stosowania w domu dostosowanych do warunków zdrowotnych, będących przedłużeniem procesu rehabilitacji”. Rada ma zasadnicze wątpliwości, czy udział w 5 spotkaniach rehabilitacyjno – fizjoterapeutycznych jest wystarczający, aby istotny odsetek uczestników kontynuował samodzielnie systematyczne wykonywanie w domu zalecanego zestawu ćwiczeń. Wnioskodawca nie przedstawił wyników jakiegokolwiek przykładu z literatury naukowej lub pilotażu, który dowodziły, iż interwencja ograniczona do zaledwie 5 spotkań, może dostatecznie motywować starszych uczestników do samodzielnych ćwiczeń i do tego poprawnie wykonywanych.

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.441.30.2018 „5-krotna rehabilitacja wraz z podstawową diagnostyką dla seniorów Gminy Miejskiej Legionowo w wieku 60 plus” realizowany przez: Gminę Miejską Legionowo, Warszawa, kwiecień 2018 r. oraz Aneksu „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży” z sierpnia 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 81/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku

o projekcie programu „Program rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Solec-Zdrój na lata 2018-2019”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Solec-Zdrój na lata 2018-2019”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Główne założenia projektu programu zostało sformułowane w następujący sposób: „zwiększenie dostępności mieszkańców Gminy Solec-Zdrój do zabiegów rehabilitacyjnych oraz poprawa jakości życia osób niepełnosprawnych poprzez przywracanie im sprawności ruchowej w czasie trwania programu w latach 2018-2019”.

Cel główny powinien być wyraźnie zdefiniowany i precyzyjnie (w odniesieniu do planowanego czasu) wytyczony, a jego osiągnięcie powinno stanowić potwierdzenie skuteczności zaplanowanych działań. Wnioskodawca przedstawił cel główny w sposób ogólny. Dobrze sformułowany cel powinien być zgodny z koncepcją S.M.A.R.T., według której powinien on być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie. Założenia przedstawione w treści projektu nie są w pełni zgodne z ww. koncepcją.

Dodatkowo sformułowano 5 celów szczegółowych. Wnioskodawca odnosi się m.in. do „usunięcia procesów chorobowych oraz zapobiegania nawrotom i postępowaniu choroby”, „zwalczania bólu i stanów zapalnych”, czy „zapobiegania następstwom chorób przewlekłych związanych z narządem ruchu”.

Do udziału w przewidzianych działaniach zakwalifikowana może zostać każda osoba, która jest zameldowana na terenie gminy Solec-Zdrój i zgłosi się z odpowiednim skierowaniem. Zaplanowane przez wnioskodawcę interwencje znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. oraz Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 9 maja 2017 r. zmieniającym rozporządzenie w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej.



Wnioskodawca twierdzi, że na terenie gminy Solec-Zdrój nie działa żaden podmiot świadczący zabiegi z zakresu rehabilitacji leczniczej, które są finansowane ze środków NFZ i dlatego próbuje za pomocą programu zwiększyć dostęp mieszkańców do świadczeń rehabilitacyjnych.

Uwaga Rady:

Świadczenia rehabilitacyjne nie mogą być podwójnie finansowane.

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.441.25.2018 „Program rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Solec-Zdrój na lata 2018-2019” realizowany przez: Gminę Solec-Zdrój, Warszawa, kwiecień 2018 r. oraz Aneksu „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży” z sierpnia 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 82/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku

o projekcie programu „Program szczepień ochronnych przeciw grypie dla mieszkańców w wieku 65+ w Gminie Łęknica”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program szczepień ochronnych przeciw grypie dla mieszkańców w wieku 65+ w Gminie Łęknica”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Szczepienia przeciwko grypie są powszechnie zalecane, ale w Polsce nierefundowane, więc ich zaplanowanie w szczególnie rekomendowanej grupie ludzi 65+ zasługuje na poparcie. W ramach programu planowane jest także prowadzenie działań o charakterze informacyjno-edukacyjnym. Realizację programu zaplanowano na lata 2018-2022. Wykonawca zostanie wyłoniony w drodze konkursu, a szczepienia będą wykonywane przez wyspecjalizowane pielęgniarki pod nadzorem lekarskim. W treści projektu wskazano, że w roku 2018 przewidziano stosowanie szczepionki czterowalentnej, ale jednocześnie wskazano, że „wyboru szczepionki dokonywać będą podmioty lecznicze – realizatorzy programu

Koszt jednostkowy został oszacowany na 48 zł, koszt całkowity – na 91 392 zł. Zgodnie z treścią projektu szczepienia przeciw grypie w 2018 r. zostaną sfinansowane z budżetu gminy Łęknica. Wnioskodawca zaznaczył wprawdzie, że „na lata następne planuje się wystąpienie o 80% dofinansowania z Narodowego Funduszu Zdrowia”, ale w przypadku odmowy, jest gotów do pokrycia wszystkich kosztów z funduszy własnych gminy.

Uwagi dotyczą niezgodności programu z koncepcją S.M.A.R.T, według której powinien on być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie.

Dodatkowa uwaga Rady:

Populacja ta powinna być, zdaniem Rady, również zaszczepiona przeciwko pneumokokom.



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.441.26.2018 „Program szczepień ochronnych przeciw grypie dla mieszkańców w wieku 65+ w Gminie Łęknica” realizowany przez: Gminę Łęknica, Warszawa, kwiecień 2018 r. oraz Aneksu „Programy profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka – wspólne podstawy oceny”, z października 2017 r.