



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Protokół nr 25/2018**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 9 lipca 2018 roku**  
**w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT)**

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

1. Anna Cieślik
2. Anna Gręziak
3. Konrad Maruszczak
4. Michał Myśliwiec – prowadził posiedzenie
5. Rafał Niżankowski
6. Tomasz Pasierski
7. Tomasz Romańczyk
8. Janusz Szyndler
9. Andrzej Śliwczyński
10. Artur Zaczyński – uczestniczył w posiedzeniu od pkt 4.

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku TOCTINO (alitretinoinum) w ramach programu lekowego: „Leczenie ciężkiego przewlekłego wyprysku rąk opornego na leczenie silnymi kortykosteroidami do stosowania miejscowego”.
5. Przygotowanie opinii w sprawie oceny zasadności zakwalifikowania jako świadczenia gwarantowanego „OPERACJA STOŻKA ROGÓWKI METODĄ CROSS-LINKING (X- LINKING)”.
6. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leków MEKINIST (trametinib) oraz TAFINLAR (dabrafenib) we wskazaniu: rak gruczołowy płuca (ICD-10: C34).
7. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne: lamotrygina, kwas walproionowy, wenlafaksyna we wskazaniu: „Leczenie neuralgii i neuropatii w obrębie twarzy”.
8. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego współfinansowanego przez UE w ramach EFS: „Profilaktyka i wczesne wykrywanie nowotworów skóry na lata 2019-2021” (woj. zachodniopomorskie).
9. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego współfinansowanego przez UE w ramach EFS: „Wczesne wykrywanie i rehabilitacja wad wzroku wśród uczniów pierwszej klasy szkoły podstawowej na lata 2019-2021” (woj. zachodniopomorskie).



10. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego: „Program polityki zdrowotnej dot. zapobiegania rozwojowi chorób cywilizacyjnych, ukierunkowanych na wczesną diagnostykę i prewencję cukrzycy oraz nadwagi i otyłości wśród mieszkańców Miasta Gliwice”.

11. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.

12. Zakończenie posiedzenia.

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

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

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

**Ad 4.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.4331.11.2018, „Wniosek o objęcie refundacją leku Toctino (alitretynoina) w ramach programu lekowego: »Leczenie ciężkiego przewlekłego wyprysku rąk, opornego na leczenie silnymi kortykosteroidami do stosowania miejscowego (ICD 10: L20, L23, L24, L25, L30)«”.

W trakcie trwania prezentacji na posiedzenie przybył Artur Zaczyński, który złożył odpowiednie oświadczenie o braku konfliktu interesów.

Następnie, propozycję stanowiska przedstawiła Anna Cieślik, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu stanowiska Rady. Wskazała, że za pozytywnym zaopiniowaniem wniosku przemawia wyłącznie to, iż alitretynoina mogłaby stanowić alternatywną technologię dla pacjentów, u których inne leki są nieskuteczne, oceniana terapia ma bowiem udowodnioną skuteczność kliniczną. Odnosząc się do negatywnych aspektów wskazała na wątpliwości związane z przedstawioną analizą ekonomiczną oraz bezpieczeństwem stosowania technologii. Poinformowała, że 22 czerwca br. Komisja Europejska (KE) wydała decyzję odnoszącą się do wszystkich retinoidów, będącą wynikiem procedury oceniającej stosunek korzyści do ryzyka stosowania. Stosunek ten pozostaje korzystny, jednakże w decyzji KE zawarto pewne warunki. W przypadku retinoidów doustnych, podmioty odpowiedzialne zostały zobowiązane do zwiększenia środków minimalizujących ryzyko stosowania ww. leków oraz do przeprowadzenia badań klinicznych potwierdzających skuteczność wprowadzonych środków minimalizacji ryzyka. Biorąc pod uwagę powyższe, zaproponowała negatywne zaopiniowanie wniosku. Jednocześnie, Rada powinna wskazać na zasadność ponownej oceny wniosku, po przeprowadzeniu ww. badania klinicznego, zaleconego przez KE.

Rada, w trakcie dyskusji, podkreśliła, że niezasadne jest porównywanie ocenianego leku z placebo, zamiast z innymi działającymi terapiami. Brak ww. porównań uniemożliwia ocenę, czy technologia jest lepsza czy gorsza od obecnie stosowanych leków. Wskazano, że technologia jest dość stara, nie ma zatem uzasadnienia dla wysokiej ceny zaproponowanej przez wnioskodawcę, szczególnie, że istnieją komparatory, w przypadku których koszty stosowania są znacznie niższe. Biorąc pod uwagę powyższe, finansowanie wnioskowanej technologii Rada uznała za niezasadne.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 10 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 5.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.4320.2.2018 „Operacja stożka rogówki metodą X-linking”.

Następnie, propozycję opinii przedstawił Artur Zaczyński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii Rady. W pierwszej kolejności wskazał na negatywne elementy związane z ocenianym wnioskiem, wśród których wymienił to, że jedynie ośrodki prywatne są odpowiednio wyposażone, aby wykonywać opiniowaną metodę. Można zatem przypuszczać, że początkowo wyłącznie one będą ją realizować, w ramach umów z Narodowym Funduszem Zdrowia (NFZ). Ponadto, niejasne jest dalsze postępowanie po nieskuteczności keratoplastyki, istnieją bowiem inne metody poza przeszczepieniem rogówki, jednak żadna z nich nie jest refundowana. Nie będzie zatem żadnej alternatywy dla pacjentów. Dodał, że jako metodę następczą po ocenianej wskazuje się terapię laserową, która również nie jest refundowana. Na korzyść opinii pozytywnej przemawia to, że oceniana metoda jest metodą uznaną w literaturze światowej i jest ona efektywna kosztowo w odniesieniu do przeszczepienia rogówki (zdaniem ekspertów kanadyjskich i amerykańskich). Pozwala ona wydłużyć okres bez przeszczepienia rogówki, co wpływa na zmniejszenie liczby chorych oczekujących na przeszczepienie. Jest także metodą szybką. Następnie, wskazał na wątpliwości związane z kwestią rejestracji ryboflawiny.

Rada, w ramach dyskusji, zwróciła uwagę, że jedynie podmiot odpowiedzialny może złożyć wniosek o zarejestrowanie danej technologii i nie istnieją mechanizmy pozwalające wpłynąć na jego decyzję w tym zakresie. Należy jednak pamiętać, że dany produkt można sprowadzać z zagranicy, nie stanowi to zatem ograniczenia dla stosowania metody. Ponadto, Rada dyskutowała nad dowodami w zakresie wydłużenia, za pomocą ocenianej metody, czasu do przeszczepienia rogówki. Zauważono, że zapotrzebowanie na przeszczepienie jest w Polsce ogromne. Zasadne może być zatem wprowadzenie ocenianej technologii, jako tańszej, szybszej i bardziej dostępnej dla pacjentów. Rada omówiła także kwestię zasadności wprowadzania ograniczeń wiekowych do populacji docelowej. Rada, w większości, przychyliła się do propozycji pozytywnego zaopiniowania technologii.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, 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 6.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.422.18.2018 „Tafinlar (dabrafenib) i Mekinist (trametynib) we wskazaniu: rak gruczołowy płuca (ICD-10: C34)”.

Następnie, propozycję opinii przedstawił Andrzej Śliwczyński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii Rady. Poinformował, że głównym problemem w ocenie wniosku jest mała ilość i niedojrzałość dowodów naukowych – jedna publikacja pełnotekstowa, jeden abstrakt konferencyjny. W jego opinii, dostępne dane pokazują, że wnioskowany schemat leczenia może być skuteczny u niektórych pacjentów chorujących na raka płuca (m.in. u pacjentów z ekspresją mutacji BRAF). Podkreślił jednak, że w przypadku nowotworu płuca nie ma terapii, która skutkowałaby wyleczeniem chorego. Wnioskowany schemat nie jest zatem terapią ratującą, a jedynie wydłużającą życie. Dodał, że opinia pozytywna musiałaby zawierać warunek odnoszący się do występowania mutacji.

Rada, w trakcie dyskusji, zwróciła uwagę na zasadność odłożenia decyzji pozytywnej do czasu zakończenia i udostępnienia wyników prowadzonych obecnie badań. Podkreślono, że chorzy nie są pozbawieni innych metod leczenia, choć przyznano, że są one mało skuteczne i związane z dużą liczbą działań niepożądanych. Zwrócono również uwagę, że wnioskowana technologia ma charakter terapii daremnej, może bowiem wydłużyć przeżycie pacjentów, jednak ich nie leczy. Z drugiej strony wskazano, że nowo zarejestrowana technologia może stanowić nadzieję dla pacjentów,

a potwierdzona w dostępnych danych skuteczność i pozytywna ocena Konsultanta Krajowego powinny stanowić podstawę do umożliwienia stosowania wnioskowanej terapii skojarzonej u pacjentów w ramach trybu ratunkowego dostępu do technologii lekowych. W wyniku dyskusji, Rada, w większości, przychyliła się do propozycji pozytywnego zaopiniowania wniosku.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami za projektem opinii Rady, przy 3 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 7.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.4320.10.2018 „Lamotrygina, kwas walproinowy, wenlafaksyna we wskazaniu: leczenie neuralgii i neuropatii w obrębie twarzy”.

Następnie, propozycję opinii przedstawił Janusz Szyndler, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii Rady. Poinformował, że oceniane wskazanie jest heterogenne i szerokie, głównie z uwagi na różne przyczyny występowania choroby. Zauważył, że lamotrygina i kwas walproinowy należą do grupy leków przeciwdrgawkowych, wenlafaksyna natomiast jest lekiem przeciwdepresyjnym. Dostępne dane naukowe i wytyczne kliniczne wskazują, że w sytuacji oporności na standardowe leczenie (najczęściej karbamazepiną i okskarbazepiną) zasadne jest stosowanie ocenianych technologii, w szczególności lamotryginy, kwas walproinowy ma bowiem więcej działań niepożądanych i wiąże się z dużym ryzykiem działań teratogennych. Wenlafaksyna nie jest stosowana w leczeniu neuralgii, natomiast bardzo często wymieniana jest jako środek służący do leczenia neuropatii. Następnie, odniósł się do kwestii ekonomicznych i wskazał, że koszty związane z refundacją wnioskowanych technologii są niewielkie. Nawiązał także do pozytywnej opinii Konsultanta Krajowego w dziedzinie neurologii, który zwrócił uwagę, że omawiane substancje są w ocenianych wskazaniach powszechnie stosowane u chorych z opornością na karbamazepiną i okskarbazepiną. Biorąc pod uwagę powyższe, zaproponował opinię pozytywną.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 10 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 8.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.107.2018 „Profilaktyka i wczesne wykrywanie nowotworów skóry na lata 2019 - 2021”.

Następnie, propozycję opinii przedstawił Konrad Maruszczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii Rady. W jego ocenie, największą zaletą programu jest zaplanowanie działań edukacyjnych skierowanych do personelu medycznego, ponieważ ich efekty będą widoczne nawet po zakończeniu realizacji projektu. Wskazał jednak na negatywne elementy programu, wśród których wymienił niezgodność populacji objętej programem z rekomendacjami, szczególnie w kontekście prowadzenia badań przesiewowych. Co prawda, inicjatywa polegająca na podjęciu kontaktu z lekarzem Podstawowej Opieki Zdrowotnej (POZ) leżeć ma po stronie uczestnika programu, można więc przyjąć, że badania przesiewowe będą miały charakter skryningu oportunistycznego. Poinformował jednak, że działania edukacyjne mają być prowadzone we wszystkich gminach z terenu województwa, nie jest natomiast jasne, w ilu i w jakich punktach prowadzona będzie pogłębiona diagnostyka (tj. porady dermatologa oraz usługi wykonywane w ramach POZ). Istnieje zatem ryzyko, że w niektórych miejscach przeprowadzone zostaną wyłącznie działania edukacyjne, natomiast badania finansowane będą z programu, co z kolei

może wywoływać dążenie realizatora projektu do wykonania jak największej liczby badań, a to z kolei może zmienić charakter skryningu z oportunistycznego na skryning wykonywany w grupie wiekowej niezgodnej z rekomendacjami, mogący skutkować dużą nadwykrywalnością. Zwrócił także uwagę, że projekt zakłada zakup dermatoskopów, w zapisach projektu nie opisano jednak, do jakiej grupy lekarzy trafią. Podkreślił, że badania z wykorzystaniem dermatoskopu powinny być wykonywane przez lekarzy specjalistów, nie zaś lekarzy POZ. Z uwagi na powyższe, zaproponował opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT lub opinię negatywną.

Rada, w ramach dyskusji, podkreśliła niezasadność prowadzenia skryningu populacyjnego. Program powiela błędy innych programów profilaktycznych, które pozwalają wykryć chorobę we wczesnym stadium, natomiast nie zapewniają możliwości podjęcia dalszych szybkich działań leczniczych. W opinii Rady, podstawowym miernikiem efektywności programu powinna być informacja o liczbie zoperowanych czerniaków, wykrytych dzięki realizacji programu, oraz ankieta satysfakcji, co pozwoliłoby dokonać oceny projektu. Ponadto, w opiniowanym projekcie istnieje duże prawdopodobieństwo wystąpienia zjawiska nadwykrywalności. W wyniku dyskusji, Rada, w większości, przychyliła się do propozycji negatywnego zaopiniowania wniosku.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 10 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 9.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.108.2018 „Wczesne wykrywanie i rehabilitacja wad wzroku wśród uczniów pierwszej klasy szkoły podstawowej na lata 2019 - 2021”.

Rada, we wstępnej dyskusji, omówiła kwestię braku dowodów na korygowanie wad wzroku za pomocą okularów noszonych przez dzieci. Wskazano na istnienie innych skutecznych technologii, np. stosowanie na noc szkieł umożliwiających zmianę geometrii rogówki oraz prowadzenia naświetlań poprzez przebywanie w miejscach z bardzo jasnym oświetleniem.

Następnie, propozycję opinii przedstawił Tomasz Romańczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponował pozytywne zaopiniowanie programu, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT. Wskazał, że istnieją rekomendacje odnoszące się do prowadzenia badań skryningowych w ocenianym zakresie. Nie są one co prawda zgodne w zakresie optymalnego czasu wykonywania badań przesiewowych oraz rodzaju interwencji, jednak zauważyć należy, że oceniany projekt nie jest ukierunkowany na korektę wad wzroku, lecz na działania edukacyjne, wskazujące na konieczność zmiany postępowania oraz zagrożenie wystąpienia wad wzroku u dzieci. Zwrócił uwagę, że program zawiera pewne błędy, lecz wydaje się logicznie opisany i w większej części opiera się na dostępnych w literaturze wytycznych i wnioskach.

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

**Ad 10.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.102.2018 „Program polityki zdrowotnej dot. zapobiegania rozwojowi chorób cywilizacyjnych, ukierunkowany na wczesną diagnostykę i prewencję cukrzycy oraz nadwagi i otyłości wśród mieszkańców Miasta Gliwice”.

Następnie, propozycję opinii przedstawił Rafał Niżankowski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponował pozytywne zaopiniowanie programu, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT. Wskazał, że badania przesiewowe w kierunku glikemii są zalecane przez USPSTF (ang. U.S. Preventive Services Task Force). Poinformował, że program zawiera szereg niejasnych, w kontekście skuteczności, elementów (np. edukacja w zakresie żywienia) i wymaga poprawy w zakresie zawartych w raporcie uwag.

Rada, w ramach dyskusji, wskazała na wątpliwości związane z przedstawioną w projekcie ceną badania przesiewowego. Zaplanowane koszty nie znajdują bowiem odzwierciedlenia w proponowanych interwencjach. W opinii Rady, niezasadne jest wykonywanie badań glikemii przygodnej. Wskazane jest tylko badanie wykonywane na czczo w grupie ryzyka. Z uwagi na powyższe, Rada podjęła decyzję o negatywnym zaopiniowaniu projektu programu.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, 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 11.** Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 6 sierpnia 2018 r.

**Ad 12.** Prowadzący posiedzenie Michał Myśliwiec zakończył posiedzenie Rady o godzinie 14:10.

Protokół sporządził Michał Myśliwiec  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

.....  
(data i podpis)



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 68/2018 z dnia 9 lipca 2018 roku

w sprawie oceny leku Toctino (alitretynoina) w ramach programu lekowego: „Leczenie ciężkiego przewlekłego wyprysku rąk, opornego na leczenie silnymi kortykosteroidami do stosowania miejscowego (ICD 10: L20, L23, L24, L25, L30)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:*

- *Toctino (alitretynoina), kapsułki miękkie, 30 mg, 30 kaps., kod EAN: 5909990821891,*
- *Toctino (alitretynoina), kapsułki miękkie, 10 mg, 30 kaps., kod EAN: 5909990821860,*

*w ramach programu lekowego: „Leczenie ciężkiego przewlekłego wyprysku rąk, opornego na leczenie silnymi kortykosteroidami do stosowania miejscowego (ICD 10: L20, L23, L24, L25, L30)”.*

#### **Uzasadnienie**

##### Problem decyzyjny

*Wniosek dotyczy objęcia refundacją leku Toctino (alitretynoina) w ramach programu lekowego „Leczenie ciężkiego przewlekłego wyprysku rąk, opornego na leczenie silnymi kortykosteroidami do stosowania miejscowego (ICD-10: L20, L23, L24, L25, L30)”.*

*Wnioskodawca zaproponował RSS oraz finansowanie leku w ramach nowej grupy limitowej.*

*Produkt leczniczy Toctino we wnioskowanym wskazaniu jest po raz pierwszy przedmiotem oceny Agencji.*

*Aktualnie toczy się także proces oceny ww. produktu we wskazaniu: wyprysk hiperkeratotyczny, w celu zbadania zasadności wydawania zgód na jego refundację (art. 39 ust. 3 ustawy o refundacji).*

##### Problem kliniczny

*Przewlekły wyprysk rąk odnosi się do procesu zapalnego trwającego ponad 3 miesiące lub nawracającego 2 lub więcej razy w ciągu roku. W większości przypadków występuje nadmierne łuszczenie się i pękanie naskórka. Nadmierne*



rogowacenie występuje w przewlekłym kontaktowym i alergicznym zapaleniu skóry oraz w przebiegu wyprysku hiperkeratotycznego i innych przewlekłych przypadkach [ESCD 2014].

Ze względu na przewlekły i nawrotowy przebieg choroba istotnie wpływa na jakość życia pacjentów i stanowi duży problem społeczno-ekonomiczny. Prowadzi w dużej liczbie przypadków do absencji chorobowej oraz utraty pracy. Roczna zachorowalność na wyprysk rąk w populacji ogólnej dorosłych wynosi 10%. Liczba nowych zachorowań w przedziale wiekowym 20-65 lat wynosi 5 przypadków na 1000. Najczęściej dotyka osób aktywnych zawodowo (stanowi ponad 90% przypadków dermatoz zawodowych).

#### Dowody naukowe

Wnioskodawca w swojej analizie jako technologie alternatywne wskazał kontynuację leczenia miejscowego utożsamiając ją z emolientami (przy czym zarówno wytyczne, jak i opinie eksperckie, wskazywały również na mGKS i mIK), fototerapię (PUVA), acytretynę, cyklosporynę, azatioprynę, metotreksat oraz systemowe GKS. Wszystkie wybrane technologie są zalecane w wytycznych klinicznych, a niektóre z nich (cyklosporyna, acytretyna, prednizon, prednizolon, metylprednizolon, fototerapia) są refundowane we wskazaniach obejmujących wskazanie wnioskowanie.

Wykazano skuteczność alitretynoiny w badaniach względem placebo. Leczenie z użyciem alitretynoiny prowadziło do znacznie większego odsetka pacjentów z brakiem obecności zmian lub nikłymi zmianami chorobowymi na rękach w porównaniu z placebo. Odpowiedź kliniczna była zależna od dawki.

Brak badań porównujących alitretynoinę z aktualnie refundowanymi technologiami we wnioskowanym lub zbliżonym wskazaniu i brak możliwości przeprowadzenia porównania pośredniego. Wnioskodawca przedstawił porównanie bezpośrednie wnioskowanej technologii jedynie z placebo. Ponadto, w niektórych badaniach randomizowanych i obserwacyjnych oceniana populacja nie była w pełni zgodna z wnioskowaną - tylko część pacjentów miała ciężką postać choroby.

Odnaleziono dziewięć wytycznych, z czego w sześciu z nich wskazano możliwość stosowania alitretynoiny w analizowanych wskazaniach. W większości wytycznych analizowanym problemem zdrowotnym był wyprysk rąk. Trzy wytyczne odnosiły się do atopowego zapalenia skóry i jedna do kontaktowego zapalenia. W opinii eksperta wskazana została również alitretynoina, która będzie stosowana przez 100% pacjentów w przypadku objęcia jej refundacją, ale również 100% pacjentów nadal będzie stosowała emolienty, a 30% miejscowe glikokortykosteroidy.

#### Problem ekonomiczny



*Celem analizy wnioskodawcy była ocena zasadności ekonomicznej stosowania produktu leczniczego Toctino (ALI) w leczeniu dorosłych chorych z ciężkim przewlekłym wypryskiem rąk, którzy nie odpowiadają na leczenie silnymi kortykosteroidami do stosowania miejscowego, w ramach programu lekowego. Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego (NFZ), wspólnej i społecznej, w 10-letnim horyzoncie czasowym.*

*Wyniki analizy wnioskodawcy wskazały, że wnioskowana technologia lekowa stosowana wraz z emolientami w porównaniu do samych emolientów była opłacalna z każdej perspektywy, bez względu na zastosowanie RSS.*

*Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę Toctino (alitretynoina) w dawce 10 mg i 30 mg jest finansowany w 14 krajach UE i EFTA (na 31 wskazanych).*

#### *Główne argumenty decyzji*

*Ze względu na brak badań porównujących wnioskowaną technologię z aktywnymi komparatorami (ACY, CYK, PUVA, AZA) oraz ograniczenia dostępnych danych dla komparatorów (konieczność przyjmowania niepewnych założeń) przedstawione wyniki z analizy ekonomicznej są wysoce niepewne. Podjęcie pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych ocenianej technologii lekowej spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego. Wyniki z perspektywy wspólnej są zbieżne z oszacowaniami wykonanymi dla perspektywy NFZ.*

*Dodatkowo, ze względu na działanie teratogenne oraz wywoływanie zaburzeń neuropsychiatrycznych, zgodnie z decyzją KE C(2018)4024 z dnia 22 czerwca 2018 r., podmioty odpowiedzialne dla produktów leczniczych zawierających doustne retinoidy zostały zobowiązane do wprowadzenia dodatkowych środków minimalizacji ryzyka oraz do przeprowadzenia badania klinicznego potwierdzającego skuteczność wprowadzonych środków. Rada sugeruje złożenie wniosku refundacyjnego po zakończeniu w/w badania.*

#### **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.4331.11.2018, „Wniosek o objęcie refundacją leku Toctino (alitretynoina) w ramach programu lekowego: „Leczenie ciężkiego przewlekłego wyprysku rąk, opornego na leczenie silnymi kortykosteroidami do stosowania miejscowego (ICD 10: L20, L23, L24, L25, L30)”. Data ukończenia: 28 czerwca 2018 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 163/2018 z dnia 9 lipca 2018 roku w sprawie oceny zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej „Operacja stożka rogówki metodą cross-linking (X-linking)” jako świadczenia gwarantowanego

*Rada Przejrzystości, odnosząc się do „Rekomendacji Prezesa AOTMiT w sprawie zakwalifikowania świadczenia »Operacja stożka rogówki metodą cross-linking (X-linking)« jako świadczenia gwarantowanego z zakresu leczenia szpitalnego”, w świetle dowodów naukowych odnalezionych po 2015 r. uznaje za zasadne zakwalifikowanie ww. świadczenia jako gwarantowanego.*

#### **Uzasadnienie**

##### Problem decyzyjny

*Na podstawie art. 31n pkt 5 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. z 2017 r. poz. 1938, z późn. zm.) pismem ASG.4082.110.2017.KoM (data pisma 04.01.2018 r.) Minister Zdrowia przekazał AOTMiT zlecenie przygotowania materiałów analitycznych i opinii Prezesa poprzedzonej stanowiskiem Rady Przejrzystości dla oceny zasadności zakwalifikowania jako świadczenie gwarantowane operacji stożka rogówki metodą cross-linking (X-linking) celem zweryfikowania aktualności informacji zawartych w rekomendacji Prezesa Agencji nr 93-2015 z dnia 1 grudnia 2015 r.*

*Zgodnie z Kartą Problemu Zdrowotnego, populację docelową stanowią pacjenci w początkowym stadium stożka rogówki, z udokumentowaną progresją w stadium 1 i 2 według Amslera, w wieku 18 do 40 lat, przy grubości rogówki powyżej 400 µm.*

*Stożek rogówki (ang. keratoconus) to niezapalne, dystroficzne, postępujące schorzenie rogówki, w wyniku którego dochodzi do zmniejszenia grubości rogówki i jej uwypuklenia stożkowego, z towarzyszącym nieregularnym astygmatyzmem.*

*Stożek rogówki zaliczany jest do postępujących, niezapalnych, degeneracyjnych ektazji rogówki. W przebiegu choroby krzywizna rogówki przybiera stożkowaty kształt na skutek zmniejszenia grubości i nadmiernego uwypuklenia rogówki w jej części centralnej lub paracentralnej.*



Stożek rogówki zgodnie z klasyfikacją ICD-10 należy do innych zaburzeń rogówki. Stożek rogówki nie prowadzi do ślepoty, może jednak znacznie ograniczać jakość życia. Z reguły pacjenci ze stożkiem rogówki, nawet w zaawansowanych stadiach choroby, mogą prowadzić samochód i czytać.

Progresja choroby prowadzi do wystąpienia nieregularnego astygmatyzmu, krótkowzroczności, ścięczenia rogówki. Nieodwracalnego pogorszenia ostrości wzroku.

Rada Konsultacyjna rekomendowała w 2009 roku tymczasowe finansowanie ze środków publicznych operacji stożka rogówki metodą cross-linking (X-linking) w ramach odrębnej grupy w systemie JGP, na okres 2 lat jednak z uwagi na małą liczbę badań klinicznych o wysokiej wiarygodności metodycznej (randomizowane badania kliniczne i inne eksperymentalne badania kliniczne z grupą kontrolną), niską liczebność prób oraz brak oceny efektywności klinicznej CXL w długim horyzoncie czasowym nie otrzymało rekomendacji Prezesa AOTMiT ani w 2009 ani w 2015 roku.

#### Dowody naukowe

Nowe dowody naukowe, odnalezione po 2015 r. potwierdzają skuteczność metody, jednak nadal nie gwarantują pełnej skuteczności i trwałości wyników leczenia, co wymagać może dłuższego okresu obserwacji. Procedura ta nie gwarantuje odstąpienia od zabiegu przeszczepu rogówki, ale opóźnia jego wykonanie i zmniejsza liczbę osób wymagających przeszczepu w trybie planowym. W niektórych przypadkach okres obserwacji sięga ponad 10 lat. Jednak pomimo ukazania się szerszych badań, obejmujących duże grupy pacjentów w dłuższym okresie obserwacji, nadal uznanym postępowaniem ostatecznym, ale przynoszącym wyleczenie, jest allogeniczny przeszczep rogówki.

#### Problem ekonomiczny

CXL zmniejszy liczbę koniecznych przeszczepów rogówki w tym wskazaniu.

Rada pragnie zauważyć, że wprowadzenie tej metody wymaga zabezpieczenia następstw niepowodzeń leczenia przez ośrodki wykonujące CTX, które w niektórych przypadkach wymagać mogą laserowej terapii, już nie refundowanej, wszczepiania pierścieni INTACS lub kontynuacji leczenia za pomocą przeszczepów rogówki.

W praktyce stosuje się też inne odmiany procedury CXL: transepitelialny CXL (epi-on CXL), gdzie nabłonek nie jest usuwany oraz przyspieszony CXL (ang. accelerated CXL), który polega na naświetlaniu rogówki lampą UV o mocniejszej mocy, przy wykorzystaniu ryboflawiny z witaminą E. Czas zabiegu skraca się do 20-25 minut, przy komercyjnej cenie nieznacznie wyższej od standardowego CXL.

*Rada zauważa że wprowadzenie do oceny technologii uaktualnionych danych odnośnie do opisu świadczenia, uwzględniających najnowsze metody, pozwoli na skrócenie procedury o połowę, przy zachowaniu podobnego kosztu leczenia.*

*Mając na uwadze skuteczność metody, potwierdzoną w najnowszych badaniach wieloletnich, duże bezpieczeństwo oraz opisywaną w literaturze poprawę jakości życia, Rada Przejrzystości rekomenduje finansowanie ze środków publicznych operacji stożka rogówki metodą cross-linking (X-linking).*

#### Główne argumenty decyzji

*CXL zmniejsza liczbę osób wymagających przeszczepienia, a u niektórych chorych opóźnia jego wykonanie. Omawiana metoda jest przeznaczona dla osób młodych z szybką progresją choroby, co może znacznie zmniejszyć problem wykluczenia zawodowego. Metoda pozwala na skrócenie czasu oczekiwania na przeszczep rogówki z innych wskazań. Zgodnie z oszacowaniami Agencji, koszt omawianej technologii jest niższy niż koszt przeszczepienia rogówki.*

#### **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 ASG.4082.110.2017.KoM z dnia 4 stycznia 2018 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 nr: OT.4320.2.2018 „Operacja stożka rogówki metodą X-linking. Opracowanie dotyczące weryfikacji aktualności informacji zawartych w Rekomendacji Prezesa Agencji”. Data ukończenia: 2 lipca 2018 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 164/2018 z dnia 9 lipca 2018 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,  
leków Tafinlar (dabrafenib) i Mekinist (tramety nib),  
we wskazaniu: rak gruczołowy płuca (ICD-10: C34)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leków:*

- *Tafinlar (dabrafenib), kapsułki twarde á 75 mg,*
- *Mekinist (tramety nib), tabletki á 2 mg,*

*we wskazaniu: rak gruczołowy płuca (ICD-10: C34), w przypadku obecności mutacji BRAF po niepowodzeniu chemioterapii opartej na cisplatynie.*

#### **Uzasadnienie**

##### *Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek*

*Rak gruczołowy (ang. adenocarcinoma) stanowi około 35% pierwotnych nowotworów płuca. W Polsce zachorowalność na raka oskrzela i płuca w latach 2011–2015 wzrastała od 20 805 przypadków w 2011 roku do 21 963 przypadków w 2015 roku. Jednocześnie wraz ze wzrostem zachorowalności w tym okresie wzrastała umieralność z powodu raka oskrzela i płuca i wyniosła 22 216 przypadków w 2011 roku i 23 715 przypadków w 2015 roku.*

##### *Skuteczność kliniczna i praktyczna*

*W ramach przeprowadzonego wyszukiwania nie odnaleziono badań wtórnych oraz badań, w których porównywano skuteczność i bezpieczeństwo stosowania terapii skojarzonej dabrafenibem i tramety nibem z najlepszą terapią wspomagającą (BSC). Odnaleziono natomiast badanie niekontrolowane (BRF113928), do którego sekwencyjnie włączono 3 kohorty pacjentów (A, B i C). W ramach kohorty B pacjenci byli leczeni terapią skojarzoną dabrafenibem i tramety nibem. Dane dla kohorty B pochodzą z publikacji pełnotekstowej Planchard 2016 oraz dodatkowo włączonego abstraktu konferencyjnego, tego samego autora, w którym przedstawiono wyniki z dłuższego okresu obserwacji. W publikacji Planchard 2016 okres obserwacji pacjentów leczonych terapią skojarzoną dabrafenibem i tramety nibem wynosił 11,6 miesiąca, w tym okresie zmarło 23 pacjentów (40%). Mediana przeżycia bez progresji choroby (PFS)*



w ocenie niezależnej komisji wyniosła 8,6 miesiąca (95%CI: 5,2; 19,1), a odsetek całkowitych odpowiedzi na leczenie (ORR) wyniósł 63,2% (95%CI: 49,3; 75,6).

#### Bezpieczeństwo stosowania

W trakcie niekontrolowanego badania (BRF113928) z powodu zdarzeń niepożądanych zmarło 4 pacjentów, żaden ze zgonów nie miał związku ze stosowaną terapią. W badaniu 98% pacjentów doświadczyło co najmniej jednego zdarzenia niepożądanego a 49% pacjentów doświadczyło co najmniej jednego zdarzenia niepożądanego 3-4 stopnia. Najczęściej zgłaszanymi zdarzeniami niepożądanymi były: gorączka, nudności, wymioty, biegunka, astenia i zmniejszenie apetytu (każde z powyższych zdarzeń wystąpiło u ponad 30% pacjentów). Najczęściej zgłaszanymi zdarzeniami niepożądanymi 3-4 stopnia były neutropenia, hiponatremia i anemia.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Jedną z przyczyn raka gruczołowego płuca mogą być nieprawidłowości w genach kodujących białka bądź domeny wewnątrzkomórkowe receptorów czynników wzrostu. Są to między innymi geny *PiK3CA*, *DDR2*, *BRAF*. Ich aktywacja powoduje ciągłą stymulację komórki do dojrzewania, dzielenia się, proliferacji i przeżycia. Mutacje *BRAF* wykrywane są dość rzadko, bo u około 2% pacjentów z NDRP. W przypadku wykrycia mutacji *BRAF* w NDRP prawie 80% z nich stanowi mutacja w *V600E* następująca przez substytucję aminokwasów w eksonie 15.

W wytycznych NCCN z 2018 roku przedstawiono zalecenia dotyczące leczenia gruczolakoraka z mutacją *BRAF V600E*, a w wytycznych ASCO z 2017 roku przedstawiono zalecenia dotyczące leczenia raka niedrobnokomórkowego płuc IV stopnia z mutacją *BRAF V600E*. Zarówno w wytycznych NCCN z 2018 roku oraz wytycznych ASCO z 2017 roku dopuszczone jest stosowanie terapii skojarzonej dabrafenibem i trametynibem.

#### Konkurencyjność cenowa

Innymi terapiami zalecanymi w odnalezionych wytycznych w leczeniu raka gruczołowego płuc z mutacją *BRAF V600E* są: chemioterapia, terapia działająca na punkty kontrolne układu odpornościowego (pembrolizumab, niwolumab, atezolizumab) oraz wemurafenib/dabrafenib w monoterapii – stosowane w przypadku nietolerancji terapii skojarzonej dabrafenibem i trametynibem. Komparatorem dla terapii skojarzonej dabrafenibem i trametynibem jest BSC.

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

Oszacowany koszt brutto rocznej terapii jednego pacjenta wyniesie około [REDAKTOWANE]. Przyjmując, na podstawie opinii ekspertów klinicznych, iż liczba pacjentów w populacji docelowej wyniesie 42 osoby, oszacowano, iż koszt dla płatnika publicznego związany z refundacją wnioskowanego produktu leczniczego w okresie 3 miesięcy wszystkim pacjentom z populacji docelowej

wyniesie ok. [REDACTED], natomiast szacunkowe koszty stosowania leku przez 1 rok u 42 pacjentów wyniosą ok. [REDACTED]

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

Na podstawie Planchard 2016 oraz abstraktu konferencyjnego tego samego autora, można wywnioskować, że zaproponowana terapia może być skuteczna klinicznie i posiada akceptowalny profil bezpieczeństwa.

Główne argumenty decyzji

Zgodnie z danymi z publikacji Planchard 2016 mediana PFS w ocenie niezależnej komisji wyniosła 8,6 miesiąca (95%CI: 5,2; 19,1), a odsetek ORR wyniósł 63,2% (95%CI: 49,3; 75,6). Dane te należy jednak traktować z ostrożnością jako wstępne.

**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.422.18.2018 „Tafinlar (dabrafenib) i Mekinist (trametynib) we wskazaniu: rak gruczołowy płuca (ICD-10: C34). Opracowanie w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych”, data ukończenia: 3 lipca 2018 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Novartis Europharm Limited).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Novartis Europharm Limited o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust.2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 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 Europharm Limited





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 165/2018 z dnia 9 lipca 2018 roku

w sprawie substancji czynnych: lamotrygina, kwas walproinowy, wenlafaksyna, we wskazaniu pozarejestacyjnym: leczenie neuralgii i neuropatii w obrębie twarzy

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancje czynne: lamotrygina, kwas walproinowy, wenlafaksyna, we wskazaniu pozarejestacyjnym: leczenie neuralgii i neuropatii w obrębie twarzy.*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*Problem zdrowotny dotyczy dolegliwości w obrębie twarzy o charakterze neuralgii lub neuropatii. Głównymi typami neuralgii występującymi w obrębie twarzy jest neuralgia nerwu trójdzielnego oraz nerwu językowo-gardłowego. Oba typy charakteryzują się napadowymi dolegliwościami bólowymi, czasem bardzo intensywnymi obejmującymi obszar będący w zakresie unerwienia poszczególnych gałęzi nerwowych. Neuropatie obwodowe to duża grupa chorób obwodowego układu nerwowego, charakteryzująca się zaburzeniami struktury i funkcji neuronów obwodowych (włókien czuciowych, ruchowych lub autonomicznych). Przyczyną bólu neuropatycznego jest uszkodzenie nerwu obwodowego w następstwie znanej przyczyny, na przykład w przebiegu cukrzycy, alkoholizmu czy w wyniku ucisku struktur nerwowych.*

##### Dowody naukowe

*Dostępne dane kliniczne pochodzące z randomizowanych badań klinicznych oraz z opracowań wtórnych wskazują na skuteczność lamotryginy, kwasu walproinowego i wenlafaksyny w redukcji bólu w neuralgiach i neuropatiach w obrębie twarzy. Istotnie statystycznie różnice na korzyść analizowanych leków uzyskano dla porównań z placebo a w przypadku lamotryginy także dla porównań z karbamazepiną. Analizowane badania charakteryzują się pewnymi ograniczeniami, głównie niskimi liczebnościami badanych grup, możliwością stosowania dodatkowych leków a także względnie mało precyzyjnym wskazaniem jakim był ból w obrębie twarzy bez ściślejszego definiowania jego pochodzenia. Profil działań niepożądanych wymienionych leków stosowanych*



w leczeniu bólu w obrębie twarzy nie różnił się od obserwowanego w odniesieniu do innych wskazań.

Wytyczne kliniczne dotyczące leczenia neuralgii trójdzielnej wskazują lamotryginę jako opcję terapeutyczną do zastosowania w drugiej linii leczenia. W odniesieniu do kwasu walproinowego wskazuje się na niejednoznaczne dowody naukowe oraz na nieudowodnioną skuteczność. W aktualnych wytycznych leczenia neuralgii brak jest odniesień do wenlafaksyny. Wytyczne kliniczne dotyczące leczenia bólu neuropatycznego (NICE 2010 aktualizacja 2018; CPS 2014, PTBB/PTN 2015) wskazują, że stosowanie wszystkich ocenianych leków może być zasadne jednakże poszczególne wytyczne w zróżnicowany sposób wskazują linię leczenia. Jedynie w odniesieniu do kwasu walproinowego wytyczne CPS 2014 wskazują, że wyniki dotyczące skuteczności kwasu walproinowego są niejednoznaczne.

Według opinii konsultanta krajowego ds. neurologii finansowanie wymienionych leków we wnioskowanych wskazaniach jest zasadne. Jest to szczególnie istotne w przypadku pacjentów, u których stosowanie leków pierwszego rzutu jest nieskuteczne lub związane z występowaniem uciążliwych działań niepożądanych.

#### Analiza ekonomiczna

Przeprowadzona analiza ekonomiczna wykazała, że przy założeniu, że docelowa populacja chorych wyniesie 538 chorych rocznie, maksymalne roczne wydatki płatnika publicznego związane z refundacją ocenianych substancji czynnych we wskazaniu neuralgia i neuropatia w obrębie twarzy mogą wynieść około 300 tys. zł.

#### Główne przesłanki decyzji

Dostępne dowody kliniczne wskazują na skuteczność lamotrygina, kwas walproinowy, wenlafaksyna we wnioskowanych wskazaniach. Ich stosowanie jest zgodne z aktualnymi wytycznymi klinicznymi, jest także popierane przez konsultanta krajowego poproszonego o opinię w przedmiotowej sprawie a ponadto wiąże się z niskimi obciążeniami finansowymi dla płatnika publicznego.

#### **Przedmiot zlecenia**

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLA.4604.374.2018.PB z dnia 13 czerwca 2018 r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie substancji czynnych: Lamotrygina, kwas walproinowy, wenlafaksyna, we wskazaniu pozarejestacyjnym: Leczenie neuralgii i neuropatii w obrębie twarzy.

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.)

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby Rady Przejrzystości w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leków we wskazaniach innych niż ujęte w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr OT.4320.10.2018 „Lamotrygina, kwas walproinowy, wenlafaksyna we wskazaniu: Leczenie neuralgii i neuropatii w obrębie twarzy”, data ukończenia: 29.06.2018 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 166/2018 z dnia 9 lipca 2018 roku o projekcie programu „Profilaktyka i wczesne wykrywanie nowotworów skóry na lata 2019 - 2021”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Profilaktyka i wczesne wykrywanie nowotworów skóry na lata 2019 - 2021”.*

#### **Uzasadnienie**

*Oceniany projekt programu dotyczy istotnego problemu zdrowotnego jakim są nowotwory skóry, niemniej jednak zaproponowane badania przesiewowe będą zastrzeżenia Rady.*

*Należy zaznaczyć, że badania przesiewowe skóry polegające na wzrokowej ocenie stanu skóry pacjenta przez lekarza w ogólnej populacji osób dorosłych nie są zalecane (USPSTF 2016, ACD 2014, ACN 2008). Ryzyko szkody takiej interwencji wyraźnie istnieje, włączając w to wysoki odsetek niepotrzebnie wykonywanych biopsji, skutkujących kosmetycznymi, rzadziej funkcjonalnymi, działaniami niepożądanymi, jak również ryzykiem nadwykrywalności oraz nadmiernego leczenia (USPSTF 2016, ACD 2014, ACN 2008).*

*Należy przy tym zaznaczyć, że nie ma uzasadnienia epidemiologicznego dla realizacji badań przesiewowych w kierunku nowotworów skóry w populacji ogólnej osób między 15 a 49 r.ż.*

*Program powiela świadczenia gwarantowane w zakresie porady lekarza POZ oraz porady dermatologicznej.*

*Nie jest jasne dlaczego oszacowanie populacji, możliwej do objęcia działaniami programu, zostało oparte o dane ogólnopolskie, skoro są dostępne rzetelne dane lokalne. Opis kosztów jednostkowych w ramach programu zawiera liczne niejasności.*

#### **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.441.107.2018 „Profilaktyka i wczesne wykrywanie nowotworów skóry na lata 2019 - 2021” realizowany



przez: Województwo Zachodniopomorskie, lipiec 2018 r. oraz Aneksu „Profilaktyka nowotworów skóry – wspólne podstawy oceny” z lipca 2017 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 167/2018 z dnia 9 lipca 2018 roku  
o projekcie programu „Wczesne wykrywanie i rehabilitacja  
wad wzroku wśród uczniów pierwszej klasy szkoły podstawowej  
na lata 2019 - 2021”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Wczesne wykrywanie i rehabilitacja wad wzroku wśród uczniów pierwszej klasy szkoły podstawowej na lata 2019 - 2021”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

### Uzasadnienie

*Projekt programu dotyczy istotnego problemu zdrowotnego jakim jest poprawa stanu zdrowia związanego z funkcjonowaniem narządu wzroku u dzieci, poprzez edukację zdrowotną, wczesne wykrywanie oraz leczenie wad wzroku wśród uczniów klas pierwszych szkoły podstawowej w województwie zachodniopomorskim w latach 2019-2021. Program skierowany jest wszystkich dzieci uczęszczających do klas I szkół podstawowych czyli do ok. 33 tys. osób (edukacja i badania). Populacją docelową programu jest również personel pielęgniarski, nauczyciele (szkolenia) oraz rodzice i opiekunowie prawni (edukacja). Planowany koszt całkowity realizacji programu oszacowano na 7 980 000 zł. Program został zaplanowany na 3 lata.*

*Projekt odnosi się do dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego jakim są wady wzroku występujące u dzieci, a wcześniej Agencja już wielokrotnie zajmowała stanowisko w podobnych programach. W ocenie programu należy uwzględnić dane epidemiologiczne wskazujące na wzrost liczny dzieci, u których stwierdzono wady wzroku (zaburzenia refrakcji i akomodacji oka w województwie zachodniopomorskim: wzrost z 3829 w roku 2012 do 5662 w roku 2015, tj. o 48%). Należy również zwrócić uwagę na fakt, że nie są obecnie prowadzone obowiązkowe badania dot. wykrywania wad wzroku w tej grupie wiekowej. Niemniej eksperci cytowani w raporcie AOTMiT nie są zgodni co do optymalnego wieku badań przesiewowych wad wzroku jak również rodzaju interwencji.*



Należy zaznaczyć, że dany cel główny nie jest w pełni zgodny z zasadą S.M.A.R.T. , a szczególnie brakuje określenia wartości poszczególnych punktów (edukacji, wykrywalności), które mają wpływać na jego poprawę. Nie jest również jasne w jak dużym stopniu wzrost świadomości społecznej, czy też wzrost wykrywalności będzie korelować z celem głównym. Wnioskodawca formułuje 4 cele szczegółowe, spośród których trzy cele nie zostały określone w czasie. Poza tym niezrozumiałym jest sformułowanie ostatniego z celów jako „zwiększenie (...) liczby dzieci ze skorygowanymi wadami wzroku”. Wnioskodawca nie określił co chciałby osiągnąć uzyskując taki cel.

W projekcie programu, w którym głównym założeniem są działania edukacyjne i prowadzenie badań przesiewowych, celem może być wzrost wykrywalności lub świadomości dzieci na temat wad wzroku. Wnioskodawca natomiast wskazał także 10 mierników efektywności wskazanych na str. 14 projektu, które mają charakter zarówno ilościowy, jak i jakościowy i zostały sformułowane w sposób prawidłowy oraz odnoszą się do wszystkich zaplanowanych interwencji. Spośród 5 poziomów programu 4 mają oparcie w wytycznych, rekomendacjach wnioskach z przeglądu Powell (2004) lub opinii eksperckich. Jedynie w Poziomie IV (badania przesiewowe wśród dzieci) brak jest zgodności wcześniej już wspomnianych dot. wieku jak i rodzaju interwencji.

W treści projektu nie wskazano wysokości kosztów pośrednich. Nie określono również jakie elementy będą wchodzić w ich skład. Zgodnie z pkt. 5 rozdz. 8.4. Wytycznych, koszty pośrednie rozliczane są wyłącznie z wykorzystaniem następujących stawek ryczałtowych. Koszty pośrednie w przypadku niniejszego projektu programu powinny wynieść do 10% kosztów bezpośrednich. Projekt programu zakłada współfinansowanie działań w programie ze środków Europejskiego Funduszu Społecznego (EFS) w wysokości 85%. Pozostałe środki będą pochodzić od wnioskodawcy (15%).

Wybór realizatora programu ma nastąpić w drodze konkursu ofert, a projekt programu zakłada współfinansowanie działań w programie ze środków Europejskiego Funduszu Społecznego (EFS) w perspektywie 2014-2020.

#### **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.441.108.2018 „Wczesne wykrywanie i rehabilitacja wad wzroku wśród uczniów pierwszej klasy szkoły podstawowej na lata 2019 - 2021” realizowany przez: Województwo Zachodniopomorskie, lipiec 2018 r. oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2017 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Opinia Rady Przejrzystości  
nr 168/2018 z dnia 9 lipca 2018 roku  
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej  
dot. zapobiegania rozwojowi chorób cywilizacyjnych, ukierunkowany  
na wczesną diagnostykę i prewencję cukrzycy oraz nadwagi i otyłości  
wśród mieszkańców Miasta Gliwice”**

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej dot. zapobiegania rozwojowi chorób cywilizacyjnych, ukierunkowany na wczesną diagnostykę i prewencję cukrzycy oraz nadwagi i otyłości wśród mieszkańców Miasta Gliwice”.*

### **Uzasadnienie**

*Celem programu jest „zapobieganie rozwojowi chorób cywilizacyjnych przez wczesną diagnostykę i prewencję cukrzycy oraz nadwagi i otyłości wśród mieszkańców miasta Gliwic”, ale zawiera on istotne błędy.*

*W projekcie zaproponowano 7 mierników efektywności programu, z których wszystkie odnoszą się do wielkości udziału mieszkańców w Programie. Żaden ze wskaźników nie odnosi się do skuteczności Programu.*

*Program zawiera istotne wady, dyskwalifikujące go:*

- oznaczanie glikemii przygodnej w populacji ogólnej, obejmującej także dzieci i młodzież,*
- u dzieci i młodzieży zalecane są badania glikemii na czczo w grupach ryzyka,*
- przeszacowano koszt oznaczania glikemii.*

### **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.441.102.2018 „Program polityki zdrowotnej dot. zapobiegania rozwojowi chorób cywilizacyjnych, ukierunkowany na wczesną diagnostykę i prewencję cukrzycy oraz nadwagi i otyłości wśród mieszkańców Miasta Gliwice” realizowany przez: Miasto Gliwice, lipiec 2018 r. oraz Aneksów do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania cukrzycy – wspólne podstawy oceny”, kwiecień 2016 r. i „Edukacja w zakresie zdrowego odżywiania oraz profilaktyka i leczenie nadwagi i otyłości – wspólne podstawy oceny”, kwiecień 2016 r.

