



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.38.2018.MKZ

**Protokół nr 36/2018**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 1 października 2018 roku**  
**w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Agencja)**

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni przy rozpoczęciu posiedzenia (wymagane kworum – 7 osób):

1. Anna Cieślik
2. Anna Gręziak
3. Michał Myśliwiec
4. Rafał Niżankowski
5. Piotr Szymański – prowadził posiedzenie
6. Janusz Szyndler
7. Andrzej Śliwczyński

Proponowany porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia, omówienie i zatwierdzenie porządku obrad, omówienie konfliktów interesów członków Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Lemtrada (alemtuzumabum) w ramach programu lekowego: „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu (ICD-10 C35)”..
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Cerdelga (eliglustatum) w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Gauchera typu I u dorosłych z zastosowaniem eliglustatu (ICD 10 E75.2)”.
4. Przygotowanie opinii w sprawie skuteczności klinicznej i praktycznej oraz bezpieczeństwa stosowania procesorów mowy we wszczepionych pacjentom implantach ślimakowych do pnia mózgu oraz procesorów dźwięku w innych implantach słuchowych.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Trimbaw (beclometasoni dipropionas + formoteroli fumaras + glycopyrronii bromidum) we wskazaniu: leczenie podtrzymujące u pacjentów dorosłych z umiarkowaną lub ciężką przewlekłą obturacyjną chorobą płuc (POChP).
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Symbicort (budesonidum + formoteroli fumaras dihydricus) we wskazaniu: przewlekła obturacyjna choroba płuc.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Roactemra (tocilizumabum) w ramach programu lekowego: „Tocilizumab w leczeniu olbrzymiokomórkowego zapalenia tętnic (ICD-10 M31.5, M31.6)”.
8. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej: „Badanie diagnostyczne EKG z analizą wyniku z wykorzystaniem oprogramowania



analitycznego i narzędzi telemedycznych, w populacji ogólnej powyżej 25 r.ż. w celu wczesnego wykrywania chorób serca”.

9. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Mabthera (rituximab) we wskazaniu: steroidozależny zespół nerczycowy (ICD-10 N03.0).
10. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Mylotarg (gemtuzumab ozogamycin) we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa FLT3+ (ICD-10 C92.0).
11. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Rydapt (midostaurin) we wskazaniu: agresywna mastocytoza z obecnością mutacji cKIT D816V (ICD-10 C96.2).
12. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
  - 1) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy wśród dzieci w wieku szkolnym w mieście Krosno”,
  - 2) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad wzroku wśród dzieci w wieku 4-6 lat w mieście Krosno”,
  - 3) „Program profilaktyki chorób układu krążenia dla mieszkańców Krosna w wieku 18+ na lata 2018-2020”,
  - 4) „Program profilaktyki chorób układu krążenia dla uczniów szkół ponadgimnazjalnych w mieście Krosno”.
13. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
14. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 1.** Posiedzenie rozpoczęło się o godzinie 10:05, przy obecności 7 członków Rady, co zapewniło uzyskanie niezbędnego kworum.

Rada jednogłośnie (7 osób obecnych) przyjęła zaproponowany porządek obrad oraz żaden z członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

**Ad 2.** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych dotyczących wniosku refundacyjnego (*objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego*).

W trakcie prezentacji analitycznej na posiedzenie przybył Artur Zaczyński, który złożył Deklarację o Braku Konfliktu Interesów (8 osób obecnych).

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Piotr Szymański, Rafał Niżankowski oraz Andrzej Śliwczyński.

Następnie, Rada wysłuchiwała opinii dopuszczonego do udziału w posiedzeniu przedstawiciela pacjentów p. Magdaleny Fac-Skhirtladze, Sekretarz Generalnej Polskiego Towarzystwa Stwardnienia Rozsianego, która odpowiadała również na pytania Rady.

W dalszej kolejności, projekt stanowiska przedstawił Janusz Szyndler.

W trakcie przedstawiania projektu stanowiska Rady, na posiedzenie przybył Jakub Pawlikowski, który złożył Deklarację o Braku Konfliktu Interesów (9 osób obecnych).

W wyniku dyskusji, w której udział brali: Andrzej Śliwczyński, Piotr Szymański, Janusz Szyndler oraz Artur Zaczyński, sformułowano treść stanowiska, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła stanowisko (załącznik do protokołu).

**Ad 3.** Na wstępie Rafał Niżankowski przedstawił informacje wprowadzające do tematu, a następnie analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych dotyczących wniosku refundacyjnego.

W dalszej kolejności Rada wysłuchała opinii dopuszczonych do udziału w posiedzeniu: przedstawiciela pacjentów, p. Wojciecha Oświecińskiego, Prezesa Stowarzyszenia Rodzin z Chorobą Gauchera oraz eksperta, prof. dr hab. n. med. Katarzyny Ziemnickiej z Katedry i Kliniki Endokrynologii, Przemiany Materii i Chorób Wewnętrznych Uniwersytetu Medycznego w Poznaniu. Odpowiadali oni także na pytania Rady.

Dalej propozycję stanowiska przedstawił Rafał Niżankowski.

W wyniku dyskusji, w trakcie której głos zabrali: Andrzej Śliwczyński, Artur Zaczyński, Rafał Niżankowski oraz Piotr Szymański, sformułowano treść stanowiska.

W trakcie formułowania stanowiska Rady, na posiedzenie przybył Tomasz Pasierski, który złożył Deklarację o Braku Konfliktu Interesów (10 osób obecnych), po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada 9 głosami za, przy 1 głosie przeciw uchwaliła stanowisko (załącznik do protokołu).

**Ad 4.** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych dotyczących skuteczności klinicznej i praktycznej oraz bezpieczeństwa stosowania procesorów mowy i dźwięku, a następnie propozycję opinii przedstawił Artur Zaczyński.

W wyniku dyskusji, w trakcie której głos zabrali: Andrzej Śliwczyński, Piotr Szymański, Artur Zaczyński oraz Rafał Niżankowski, sformułowano treść opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła opinię (załącznik do protokołu).

**Ad 5.** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych dotyczących wniosku refundacyjnego, a następnie propozycję stanowiska przedstawił Jakub Pawlikowski.

W wyniku dyskusji, w trakcie której głos zabrali: Piotr Szymański, Jakub Pawlikowski, Rafał Niżankowski, Anna Cieślik oraz Michał Myśliwiec, sformułowano treść stanowiska, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła stanowisko (załącznik do protokołu).

**Ad 6.** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych dotyczących wniosku refundacyjnego, a następnie propozycję stanowiska przedstawił Jakub Pawlikowski.

W wyniku dyskusji, w trakcie której głos zabrali: Rafał Niżankowski, Jakub Pawlikowski, Andrzej Śliwczyński oraz Piotr Szymański, sformułowano treść stanowiska, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła stanowisko (załącznik do protokołu).

**Ad 7.** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych dotyczących wniosku refundacyjnego, a następnie propozycję stanowiska przedstawił Tomasz Pasierski.

W wyniku dyskusji, w trakcie której głos zabrali: Rafał Niżankowski oraz Piotr Szymański, sformułowano treść stanowiska, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła stanowisko (załącznik do protokołu). W głosowaniu nie brał udziału Rafał Niżankowski z powodu nieobecności na sali.

**Ad 8.** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych dotyczących zasadności zakwalifikowania świadczenia jako świadczenia gwarantowanego, a następnie propozycję stanowiska przedstawił Piotr Szymański.

W wyniku dyskusji, w trakcie której udział brali: Michał Myśliwiec i Piotr Szymański, prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła stanowisko (załącznik do protokołu). W głosowaniu nie brał udziału Rafał Niżankowski z powodu nieobecności na sali.

**Ad 9.** Ten punkt porządku obrad Rada zaczęła od wstępnej dyskusji, w której głos zabrali: Michał Myśliwiec, Artur Zaczyński oraz Andrzej Śliwczyński.

Dalej, analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych dotyczących RDTL (*zasadność finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych*), a następnie propozycję opinii przedstawił Michał Myśliwiec.

W wyniku braku głosów krytycznych wobec proponowanej treści opinii, prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła opinię (załącznik do protokołu). W głosowaniu nie brał udziału Rafał Niżankowski z powodu nieobecności na sali.

**Ad 10.** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych dotyczących RDTL, a następnie propozycję opinii przedstawiła Anna Cieślik.

W wyniku dyskusji, w trakcie której głos zabrali: Tomasz Pasierski, Anna Cieślik, Piotr Szymański, Michał Myśliwiec, Janusz Szyndler oraz Artur Zaczyński, sformułowano treść opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada 5 głosami za, przy 4 głosach przeciw uchwaliła opinię (załącznik do protokołu). W głosowaniu nie brał udziału Rafał Niżankowski z powodu nieobecności na sali.

**Ad 11.** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych dotyczących RDTL, a następnie propozycję opinii przedstawiła Anna Cieślik.

W trakcie prezentacji analitycznej posiedzenie opuścił Tomasz Pasierski (9 osób obecnych).

W wyniku braku głosów krytycznych wobec proponowanej treści opinii, prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła opinię (załącznik do protokołu).

**Ad 12 1)** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych dotyczących programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego, a następnie propozycję opinii przedstawiła Anna Gręziak.

W wyniku dyskusji, w trakcie której głos zabrali: Piotr Szymański, Michał Myśliwiec, Rafał Niżankowski, Jakub Pawlikowski oraz Anna Gręziak, sformułowano treść opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za, przy 1 głosie przeciw uchwaliła opinię (załącznik do protokołu).

**2)** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych dotyczących programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego, a następnie propozycję opinii przedstawiła Anna Gręziak.

W wyniku dyskusji, w trakcie której głos zabrali: Artur Zaczyński, Michał Myśliwiec, Piotr Szymański oraz Rafał Niżankowski, sformułowano treść opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła opinię (załącznik do protokołu).

**3)** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych dotyczących programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Rafał Niżankowski, Piotr Szymański oraz Andrzej Śliwczyński.

Następnie propozycję opinii przedstawił Andrzej Śliwczyński.

W wyniku dyskusji, w trakcie której głos zabrali: Piotr Szymański oraz Rafał Niżankowski, sformułowano treść opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła opinię (załącznik do protokołu).

**4)** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych dotyczących programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego, po czym propozycję opinii przedstawił Andrzej Śliwczyński.

W trakcie prezentacji analitycznej posiedzenie opuścił Michał Myśliwiec (8 osób obecnych).

W czasie przeznaczonym na dyskusję głos zabrał Piotr Szymański, a następnie zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (8 osób obecnych) uchwaliła opinię (załącznik do protokołu).

**Ad 13.** Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 29 października 2018 r.

**Ad 14.** Posiedzenie zakończyło się o godzinie 15:35.



Rada **Przejrzystości**

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 89/2018 z dnia 1 października 2018 roku  
w sprawie oceny leku Lemtrada (alemtuzumabum) w ramach  
programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego  
po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu (ICD-10 G35)”**

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Lemtrada (alemtuzumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 12 mg/1,2 ml, 1 fiol. 1,2 ml, kod EAN: 5909991000156, w ramach wnioskowanego programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu (ICD-10 G35)”.*

*Jednocześnie Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Lemtrada (alemtuzumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 12 mg/1,2 ml, 1 fiol. 1,2 ml, kod EAN: 5909991000156, w ramach istniejącego programu lekowego B46 „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego”, wyłącznie u chorych po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu, w ramach istniejącej grupy limitowej „1160.0, Alemtuzumab” i wydawanie go bezpłatnie. Rada Przejrzystości wnioskuje o [redacted].*

*Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego:*

- [redacted]
- w ramach ujednolicenia zapisów z aktualnie obowiązującym programem lekowym B46;
- [redacted];
- [redacted].

**Uzasadnienie**

Problem decyzyjny

*Minister Zdrowia zlecił przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT*



na podstawie art. 35 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2018 poz. 281 z późn. zm.) w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego Lemtrada (alemtuzumab) 12 mg koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 1 fiol. kod EAN 5909991000156, w ramach programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu (ICD-10 G35)”.

Stwardnienie rozsiane jest przewlekłym schorzeniem o nieznanym etiologii, charakteryzującym się występowaniem rozsianych ognisk demielinizacji w ośrodkowym układzie nerwowym prowadzących do zaburzeń ruchowych, czuciowych, mózdkowych, autonomicznych, a w konsekwencji do niepełnosprawności.

Populacja chorych w Polsce wynosi 40-60 tys. osób. Średni współczynnik zapadalności w Europie wynosi 4,3 nowych przypadków na 100 tys., zaś w Polsce oscyluje w granicach 1,5 do 3,7 przypadków na 100 000 osób na rok.

#### Dowody naukowe

Alemtuzumab był oceniany w populacji osób po niepowodzeniu wcześniejszej terapii lekami DMT (IFN $\beta$  lub octan glatirameru) jedynie w jednym badaniu RCT, CARE MS II. Wykazano, że stosowanie alemtuzumabu w porównaniu z IFN $\beta$ 1a wiąże się z istotną statystycznie redukcją rocznej częstości rzutów, zwiększeniem odsetka pacjentów wolnych od rzutów, zmniejszeniem odsetka pacjentów z nowymi zmianami GD+, a także zwiększenie odsetka pacjentów w populacji ogólnej z utrwaloną poprawą oraz z korzystniejszymi wynikami w skali EDSS. Wyniki dotyczące wpływu terapii alemtuzumabem na jakość życia były niejednoznaczne. Nie stwierdzono istotnych statystycznie różnic dla całkowitej populacji badania w ocenie jakości życia mierzonej kwestionariuszem EQ-5D po 12 i 24 miesiącach oraz SF-36 MCS po 24 miesiącach. Zaobserwowano istotne różnice w jakości życia mierzone dedykowanym dla stwardnienia rozsianego kwestionariuszem FAMS zarówno po 12 jak i 24 miesiącach obserwacji. Długoterminowe obserwacje pacjentów z badania CARE-MS II wskazują na utrzymywanie się u większości pacjentów efektów terapeutycznych alemtuzumabu. Należy podkreślić, że inne dostępne badania pierwotne alemtuzumabu - CAMMS223 i CARE-MS-I, dotyczyły stosowania leku w pierwszej linii leczenia, czyli w populacji niezgodnej z założeniami programu lekowego. Nie są także dostępne bezpośrednie porównania alemtuzumabu z innymi lekami rekomendowanymi w II linii leczenia postaci rzutowo-remisyjnej stwardnienia rozsianego, tj. natalizumabem i fingolimodem. Przeprowadzona analiza pośrednia wykazała wyższą skuteczność alemtuzumabu w porównaniu do fingolimodu oraz porównywalną z natalizumabem między innymi pod względem rocznej częstości rzutów oraz odsetka pacjentów wolnych od rzutu. Ze względu na liczne ograniczenia analizy pośredniej (np. różny wyjściowy

stopień niesprawności pacjentów biorących udział w poszczególnych, włączonych do analizy badaniach) jej wyniki należy traktować z ostrożnością.

Dodatkowo, do analizy wnioskodawcy włączono 1 badanie obserwacyjne Kalincik 2017. Wykazano w nim istotną statystycznie przewagę alemtuzumabu nad fingolimodem dla ARR, natomiast nie wykazano istotnych statystycznie różnic w porównaniu do natalizumabu. Nie wykazano istotnych statystycznie różnic dla porównania alemtuzumab vs. fingolimod i natalizumab dla punktów końcowych związanych z niepełnosprawnością.

Analiza bezpieczeństwa wykazała, że stosowanie alemtuzumabu jest obarczone ryzykiem pojawienia się autoprzeciwciał i zwiększeniem ryzyka schorzeń z autoagresji w tym immunologicznej plamicy małopłytkowej, chorób tarczycy, nefropatii z obecnością przeciwciał przeciwko błonie podstawnej kłębuszków nerkowych, zwiększeniem ryzyka występowania zakażeń, a także reakcji związanych z infuzją leku.

Według rekomendacji klinicznych towarzystw naukowych, zarówno polskich, jak i zagranicznych (PTN 2016, AAN 2018, ECTRIMS EAN 2018, MSC 2017, ABN 2015), alemtuzumab jest lekiem rekomendowanym w stwardnieniu rozsianym, głównie w II linii leczenia, po niepowodzeniu leczenia lekami modyfikującymi przebieg choroby i stanowi alternatywę przede wszystkim dla natalizumabu i fingolimodu.

Zgodnie z rekomendacjami refundacyjnymi alemtuzumab jest finansowany w leczeniu rzutowo-remisyjnej postaci stwardnienia rozsianego, głównie w przypadku nieskuteczności leków pierwszego rzutu (NICE 2014, SMC 2014, NCPE 2014, HAS 2016, CADATH 2016 oraz PBAC 2014). Nie odnaleziono rekomendacji negatywnych. Eksperti kliniczni poproszeni o opinię zgodnie popierają włączenie alemtuzumabu do programu leczenia pacjentów ze stwardnieniem rozsianym.

#### Problem ekonomiczny

Wyniki analizy ekonomicznej wskazały, że alemtuzumab w porównaniu zarówno do fingolimodu, jak i do natalizumabu,

[redacted]

Najważniejszymi ograniczeniami niniejszej analizy był brak danych specyficznych dla wnioskowanej populacji.

Przeprowadzona analiza ekonomiczna przeprowadzona z perspektywy NFZ, wspólnej (NFZ+pacjent) i społecznej wykazała, że objęcie refundacją ocenianej technologii lekowej będzie związane [redacted].

#### Główne argumenty decyzji

Alemtuzumab jest lekiem o wysokiej skuteczności, stosowanym w rzutowo-remisyjnej postaci stwardnienia rozsianego. Jego wysoka efektywność kliniczna



*jest równocześnie obarczona znacznym ryzykiem wystąpienia niebezpiecznych działań niepożądanych, które wymagają ścisłego monitorowania (np. immunologicznej plamicy małopłytkowej, autoimmunologicznych zapaleń tarczycy, nefropatii), a także poważnych działań niepożądanych związanych z wlewem leku.*



*Rada zwraca uwagę na konieczność podjęcia działań mających na celu scalenie wszystkich programów leczenia stwardnienia rozsianego.*

**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.4331.22.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku Lemtrada (alemtuzumab) w programie lekowym: »Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu (ICD-10 G35)«”. Data ukończenia: 20 września 2018.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Genzyme Therapeutics Ltd).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Genzyme Therapeutics Ltd 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:** Genzyme Therapeutics Ltd



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 90/2018 z dnia 1 października 2018 roku  
w sprawie oceny leku Cerdelga (eliglustat) w ramach programu  
lekowego „Leczenie choroby Gauchera typu I u dorosłych  
z zastosowaniem eliglustatu (ICD-10 E75.2)”**

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Cerdelga (eliglustat), kapsułki twarde, 84 mg, 56 kapsułek, kod EAN: 5909991205942, w ramach wnioskowanego programu lekowego „Leczenie choroby Gauchera typu I u dorosłych z zastosowaniem eliglustatu (ICD-10 E75.2)”.*

*Jednocześnie Rada Przejrzystości, mając na względzie aktualnie funkcjonujące programy lekowe dla leczenia choroby Gauchera Typu I (osobne dla leku welaglucerazy alfa i leku imiglucerazy) oraz wnioski o finansowanie w ramach programu lekowego eliglustatu, a także biorąc pod uwagę, iż żaden z trzech analizowanych leków nie wykazuje zdecydowanej przewagi klinicznej, stoi na stanowisku, iż istniejące programy należy scalić i w tych ramach objąć refundacją produkt leczniczy Cerdelga (eliglustat), kapsułki twarde, 84 mg, 56 kapsułek, kod EAN: 5909991205942 i wydawanie go bezpłatnie, w ramach nowej grupy limitowej, wspólnej dla wszystkich ww. substancji stosowanych w leczeniu choroby Gauchera.*

*Rada Przejrzystości nie akceptuje propozycji instrumentu dzielenia ryzyka uznając go za niewystarczający.*

### **Uzasadnienie**

#### Problem decyzyjny

*Choroba Gauchera - dziedziczona w sposób recesywnie autosomalny - rzadka (50-100 chorych w Polsce) lizosomalna choroba spichrzeniowa prowadzi to do obniżenia aktywności enzymu glukocerebrozydazy, który hydrolizuje glukozyloceramid do ceramidu i glukozy.*

*Metody leczenia obejmują:*

- enzymatyczną terapię zastępczą (ang. enzyme replacement therapy; ERT),*
- terapię redukującą substrat (ang. substrate reduction therapy; SRT).*



### Dowody naukowe

Za adekwatny komparator dla stosowania wnioskowanego eliglustatu w długotrwałym leczeniu dorosłych pacjentów z chorobą Gauchera typu 1 uznawane są leki ERT - imigluceraza oraz welagluceraza alfa, oba aktualnie finansowane ze środków publicznych w ramach dwóch osobnych programów lekowych NFZ.

W badaniu ENCORE nie wykazano statystycznie znamiennej różnicy w skuteczności na korzyść eliglustatu, w stosunku do imiglucerazy, w prawie wszystkich analizowanych punktach końcowych. W odniesieniu do bezpieczeństwa, w 12-miesięcznym okresie obserwacji zdarzenia niepożądane występowały częściej w grupie eliglustatu. Zatem efektywność kliniczną eliglustatu należy uznać za nieco niższą niż imiglucerazy. Wyniki te stanowiły powód odrzucenia wniosku o wpisanie eliglustatu na listę leków refundowanych w leczeniu choroby Gauchera typu I przez australijską agencję PBAC.

### Problem ekonomiczny

Wprowadzenie leku do refundacji nie powinno spowodować zwiększenia wydatków płatnika publicznego ponoszonych na leczenie choroby Gauchera typu 1.

### Główne argumenty decyzji

Mając na względzie poszerzenie opcji terapeutycznej dla pacjentów z chorobą Gauchera oraz wyniki badań wskazujące na brak wyraźnej przewagi poszczególnych preparatów w zakresie skuteczności oraz niezbyt duże różnice w zakresie bezpieczeństwa Rada uważa, iż zarówno wnioskowany lek, jak i dwa finansowane już w ramach programów lekowych, winny być objęte jednym wspólnym programem lekowym, pod warunkiem, że rzeczywiste, ponoszone przez płatnika publicznego koszty leczenia wnioskowanym lekiem nie będą wyższe od obecnie finansowanych preparatów.

Rada wskazuje na zasadność coraz szerszego stosowania wszystkich ww. preparatów w trybie ambulatoryjnym.

### **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.4331.23.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku Cerdelga (eliglustat) w ramach programu lekowego: »Leczenie choroby Gauchera typu I u dorosłych z zastosowaniem eliglustatu (ICD-10 E 75.2)«”. Data ukończenia: 20 września 2018.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie przedstawiciela pacjentów i eksperta przedstawione w trakcie posiedzenia.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Genzyme Europe B.V.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Genzyme Europe B.V.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:** Genzyme Europe B.V.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 261/2018 z dnia 1 października 2018 roku w sprawie skuteczności klinicznej i praktycznej oraz bezpieczeństwa stosowania procesorów mowy we wszczepionych pacjentom implantach ślimakowych do pnia mózgu oraz procesorów dźwięku w innych implantach słuchowych

*Rada Przejrzystości uznaje stosowanie procesorów mowy we wszczepionych pacjentom implantach ślimakowych do pnia mózgu oraz procesorów dźwięku w innych implantach słuchowych za bezpieczne i skuteczne klinicznie/praktycznie. Jednocześnie, Rada wskazuje na konieczność określenia standardów dotyczących zasad i częstotliwości wymiany procesorów mowy lub dźwięku.*

#### **Uzasadnienie**

*W wyniku wyszukiwania systematycznego nie odnaleziono publikacji, które odnosiłyby się bezpośrednio do przedmiotu zlecenia - nie zidentyfikowano publikacji, których głównym celem była ocena skuteczności i bezpieczeństwa procesorów mowy/dźwięku. W większości odnosiły się one do całego systemu implantu oraz procesu implantowania, potwierdzając ich skuteczność.*

*W zarządzeniu Prezesa NFZ ośrodkom wszczepiającym implanty w zaburzeniach słuchu, zabezpieczono również kwoty na wymianę części składowych implantów. Brak jednak wyszczególnionych i ujednoliconych wycen poszczególnych składowych implantów.*

*Wymiana dokonywana jest wyłącznie w oparciu o opinię ekspertów z ośrodka, który wszczepiał urządzenie, bez udziału ekspertów producenta.*

*Zdaniem Konsultanta Krajowego istnieje w związku z tym zwiększone ryzyko nieuzasadnionych wymian procesorów w okresie poprzedzającym utratę gwarancji.*

*W chwili obecnej, brak jest wytycznych krajowych, które odnosiłyby się do okresu i zakresu gwarancji, wymiany, a także formy użytkowania aparatu słuchowego.*

*Jego stan faktyczny określa się indywidualnie dla każdego urządzenia. Praktyka notowana w innych krajach jest zróżnicowana: w Kanadzie obowiązuje umowa abonamentowa zawierana na okres od roku do 3 lat, obejmująca koszt*



urządzeń zamiennych w całym okresie użytkowania, z kolei np. w Wielkiej Brytanii wewnętrzna część implantu ślimakowego jest objęta gwarancją na bezpłatne naprawy i/lub wymiany na okres 10 lat, zaś zewnętrzna część implantu ślimakowego jest objęta gwarancją na bezpłatne naprawy i/lub wymianę, okres gwarancji wynosi 3 lata, procesor mowy powinien być wymieniany co 10 lat.

Zdaniem Rady niezbędne jest określenie kryteriów kwalifikacji do wymiany procesorów mowy we wszczepionych pacjentom implantach ślimakowych, do pnia mózgu oraz procesorów dźwięku w innych implantach słuchowych. Należy rozważyć określenie w wykazie świadczeń gwarantowanych rekomendowanego okresu wymiany procesorów mowy lub dźwięku dla implantów ślimakowych/ pniowych /zakotwiczonych, wprowadzenie dla świadczeniodawców obowiązku prowadzenia spersonalizowanych list oczekujących na wymianę, w celu zapewnienie wszystkim pacjentom równego dostępu do świadczeń opieki zdrowotnej. Wskazane jest wprowadzenie wymogów jakościowych dla świadczeń związanych z leczeniem zaburzeń słuchu za pomocą implantów.

Zamienne aparaty słuchowe lub dodatki na aparaty słuchowe powinny być dostępne wtedy, gdy obecny aparat słuchowy nie może być naprawiony lub zmodyfikowany w celu zaspokojenia obecnych potrzeb pacjenta, a wymiana jest jedyną realną opcją.

#### **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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), w nawiązaniu do zlecenia Ministra Zdrowia, zawartego w piśmie IK: 1325873.DS z dnia 30.05.2018 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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby Rady Przejrzystości/Prezesa Agencji/Ministra Zdrowia nr: WS.434.5.2018 „Skuteczność kliniczna i praktyczna oraz bezpieczeństwo stosowania procesorów mowy we wszczepionych pacjentom implantach ślimakowych do pnia mózgu oraz procesorów dźwięku w innych implantach słuchowych”. Data ukończenia: 27.09.2018 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 91/2018 z dnia 1 października 2018 roku

w sprawie oceny leku Trimbow (beclometasoni dipropionas + formoteroli fumaras + glycopyrronii bromidum) we wskazaniu: leczenie podtrzymujące u pacjentów dorosłych z umiarkowaną lub ciężką przewlekłą obturacyjną chorobą płuc (POChP)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Trimbow (beclometasoni dipropionas + formoteroli fumaras + glycopyrronii bromidum), 87 mcg + 5 mcg + 9 mcg, aerozol inhalacyjny, roztwór, kod EAN: 8025153008156, we wskazaniu: leczenie podtrzymujące u pacjentów dorosłych z umiarkowaną lub ciężką przewlekłą obturacyjną chorobą płuc (POChP), w ramach nowej grupy limitowej, jako leku dostępnego w aptece na receptę i wydawanie go za odpłatnością ryczałtową, pod warunkiem obniżenia ceny leku i pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka (RSS), gwarantującego koszty leczenia na poziomie niższym od najniższych kosztów terapii trójlekowej najtańszymi dostępnymi produktami leczniczymi, zarówno z perspektywy płatnika publicznego jak i pacjenta. Rozważyć należy również zawężenie populacji do grup chorych, dla których w największym stopniu potwierdzono skuteczność terapeutyczną wnioskowanej technologii, tj. zgodnej z Charakterystyką Produktu Leczniczego.*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*Przewlekła obturacyjna choroba płuc (POChP) jest powszechnie występującą chorobą (obejmującą nawet 22% populacji powyżej 40 r.ż. w niektórych regionach kraju) cechującą się utrwalonym i zazwyczaj postępującym ograniczeniem przepływu powietrza w drogach oddechowych. Dane epidemiologiczne wskazują, że choroba staje się coraz częstszą przyczyną zgonów w Polsce.*

*Oceniany produkt leczniczy zawiera beklometazon dipropionianu, formoterol i glikopironium w postaci roztworu tworzącego aerozol o bardzo drobnych cząstkach (mniejszych niż w większości innych postaci aerozoli) ze zdolnością do jednoczesnej depozycji wszystkich trzech składników. Dostępność wspomnianych substancji czynnych w jednym preparacie jest istotną różnicą*





w stosunku do dotychczasowego stanu, w którym były one dostępne w preparatach jedno- lub dwuskładnikowych. Wybór komparatorów należy uznać za zasadny.

Powoduje to możliwość refundacji leku pacjentom, dla których nie ma wystarczających dowodów naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa ocenianej technologii medycznej.

#### Dowody naukowe

Większość badań włączonych do analizy charakteryzowało się wysoką jakością i wskazywało na porównywalną lub wyższą skuteczność w stosunku do komparatorów oraz zbliżony profil bezpieczeństwa.

W badaniu TRINITY porównującym lek Trimbow z terapią trójlekową stosowaną z dwóch inhalatorów wykazano porównywalną skuteczność kliniczną i bezpieczeństwo. Analiza danych z badania TRILOGY oraz badania TRIBUTE, w których porównano lek Trimbow z terapią dwulekową, wskazała na przewagę technologii wnioskowanej nad refundowaną terapią dwulekową.

Wytyczne kliniczne (GOLD 2018, PTChP 2014, NICE 2016) rekomendują stosowanie trójlekowej terapii LAMA + LABA + ICS u chorych z nasilonymi objawami i wysokim ryzykiem zaostrzeń w pierwszej lub II linii leczenia po nieskuteczności schematów LAMA + LABA i/lub LABA + ICS, z uwzględnieniem odpowiedzi, preferencji pacjenta, potencjału leku redukującego ryzyko zaostrzeń, skutków ubocznych oraz kosztów.

#### Problem ekonomiczny

Wyniki przeprowadzonej przez wnioskodawcę analizy ekonomicznej wskazują, że koszt 45-dniowej terapii Trimbow w wariantcie z zaproponowanym RSS jest w porównaniu z terapią komparatorem [redacted] z perspektywy płatnika publicznego i [redacted] perspektywy wspólnej. Uwzględnienie w analizie nowych danych obejmujących wydatki na refundację leków po rozszerzeniu programu „leki 75+” [redacted]

[redacted]. W związku z wynikami analizy klinicznej, które nie dowodzą wyższości leku Trimbow nad komparatorami zachodzą okoliczności art. 13 ust. 3 ustawy o refundacji, a więc koszt stosowania preparatu Trimbow powinien być niższy od kosztu terapii trójlekowej produktami leczniczymi o najniższym koszcie stosowania z perspektywy płatnika publicznego i pacjenta.

Wyniki analizy wpływu na budżet przewidują [redacted]

[redacted]. Aktualizacja analizy wpływu na budżet o nowe dane refundacyjne (dane DGL za maj 2018 r.)

Odnaleziono pojedyncze rekomendacje refundacyjne, a także odnotowano, że lek Trimbow jest obecnie refundowany w 3 krajach UE i EFTA, z czego dwa mają zbliżony poziom PKB per capita do Polski.

#### Główne argumenty decyzji

Dowody wysokiej jakości wskazują na porównywalną (z refundowanymi komparatorami) skuteczność i bezpieczeństwo wnioskowanej technologii, a jej stosowanie jest zgodne z wytycznymi klinicznymi. Połączenie w jednym inhalatorze trzech stosowanych dotychczas substancji leczniczych istotnie zwiększa komfort terapii z perspektywy pacjenta. Należy jednak dążyć do obniżenia kosztów związanych ze stosowaniem wnioskowanej technologii,

#### **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.4330.12.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku Trimbow (beklometazon/ formoterol/ glikopirionium) we wskazaniu: leczenie podtrzymujące u pacjentów dorosłych z umiarkowaną lub ciężką przewlekłą obturacyjną chorobą płuc”. Data ukończenia: 20 września 2018 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Chiesi Poland Sp. z 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:** Chiesi Poland Sp. z o.o.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 92/2018 z dnia 1 października 2018 roku

w sprawie oceny leku Symbicort (budesonidum + formoteroli fumaras dihydricus) we wskazaniu: przewlekła obturacyjna choroba płuc

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Symbicort (budesonidum + formoteroli fumaras dihydricus), aerozol inhalacyjny, zawiesina, 160 µg + 4,5 µg/dawkę inhalacyjną, 120 dawek, kod EAN: 5000456011648, we wskazaniu: przewlekła obturacyjna choroba płuc, w ramach istniejącej grupy limitowej 199.2 i wydawanie go za odpłatnością 30%, w ramach listy A Obwieszczenia Ministra Zdrowia.*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*Przewlekła obturacyjna choroba płuc (POCHP) jest powszechnie występującą chorobą cechującą się utrwalonym i zazwyczaj postępującym ograniczeniem przepływu powietrza w drogach oddechowych. Celem analizy jest ocena zasadności refundowania w tej chorobie produktu leczniczego Symbicort (budezonid + formoterol w postaci aerozolu inhalacyjnego), który podawany jest za pomocą inhalatora ciśnieniowego z odmierzaną dawką (pMDI).*

##### Dowody naukowe

*Badania włączone do analizy wskazywały na porównywalną skuteczność w stosunku do komparatora oraz zbliżony profil bezpieczeństwa. Nie zauważono istotnych statystycznie różnic w ryzyku występowania ciężkich zaostrzeń astmy, konieczności zastosowania doustnych steroidów, hospitalizacji lub wizyty na szpitalnym oddziale ratunkowym, czy porannej wartości szczytowego przepływu wydechowego (ang. peak expiratory flow, PEF). Jedynie odsetek dni bez objawów choroby, a także odsetek dni z kontrolą astmy był istotnie statystycznie większy podczas terapii komparatorem.*

*Profil farmakokinetyczny dla obu leków (budezonid oraz formoterol) był bardzo zbliżony w przypadku wnioskowanej technologii i komparatora. Jedyne istotne statystycznie różnice odnotowano w ocenie*



[REDAKTOWANE]

Większość z odnalezionych wytycznych klinicznych dotyczących leczenia POChP wskazuje na możliwość zastosowania terapii skojarzonej formoterolem i budezonidem, zwłaszcza u pacjentów z POChP przebiegającą z zaostrzeniami lub z nakładającą się astmą.

#### Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie wnioskowanej technologii w miejsce komparatora jest [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]. Zasadne byłoby jednak uwzględnienie w analizie możliwości podania ocenianego leku w inhalacji z wykorzystaniem komory inhalacyjnej szczególnie u pacjentów, którzy mają lub mogą mieć trudności z koordynacją uruchomienia inhalatora i wdychania (zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego). Koszt zakupu komory ponosi pacjent, co powoduje [REDAKTOWANE]

Wyniki analizy wpływu na budżet wskazują, że objęcie refundacją wiązać się będzie z [REDAKTOWANE]

Odnaleziono 3 pozytywne rekomendacje refundacyjne, opowiadające się za finansowaniem wnioskowanego leku ze środków publicznych we wskazaniu POChP z różnymi wartościami wyjściowymi wskaźnika FEV1.

Ograniczeniem analizy ekonomicznej jest założenie [REDAKTOWANE]

#### Główne argumenty decyzji

Wnioskowana technologia wykazuje porównywalną z refundowanym komparatorem skuteczność i profil bezpieczeństwa, [REDAKTOWANE]

#### **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.4330.10.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku Symbicort (budesonidum + formoteroli fumaras dihydricus) we wskazaniu: przewlekła obturacyjna choroba płuc”. Data ukończenia: 20 wrzesień 2018 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (AstraZeneca AB).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem AstraZeneca AB 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:** AstraZeneca AB



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 93/2018 z dnia 1 października 2018 roku  
w sprawie oceny leku RoActemra (tocilizumabum) w ramach  
programu lekowego „Tocilizumab w leczeniu olbrzymiokomórkowego  
zapalenia tętnic (ICD-10 M31.5, M31.6)”**

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego RoActemra (tocilizumabum), roztwór do wstrzykiwań, 162 mg, 4 amp.-strzyk. 0,9 ml, kod EAN: 5902768001075, w ramach programu lekowego „Tocilizumab w leczeniu olbrzymiokomórkowego zapalenia tętnic (ICD-10 M31.5, M31.6)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem dokonania zmian w programie lekowym. Rada nie akceptuje zaproponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.*

### **Uzasadnienie**

#### Problem decyzyjny

*Olbrzymiokomórkowe zapalenia tętnic jest najpowszechniejszą formą zapalenia naczyń, która może powodować krytyczne niedokrwienie i dlatego uważa się je za stan nagły wymagający pilnej interwencji. W przebiegu choroby nawet u 1/5 pacjentów dochodzi do utraty wzroku, czemu może zapobiec wczesne rozpoznanie i podjęcie leczenia. Leczeniem pierwszego rzutu są glikokortykosteroidy (GKS), w wysokich i umiarkowanych dawkach. Program przewiduje leczenie pacjentów z brakiem remisji lub utratą remisji uzyskanej po zastosowaniu GKS oraz pacjentów z istotnymi działaniami niepożądanymi bądź przeciwwskazaniami do stosowania GKS w zalecanych dawkach.*

#### Dowody naukowe

*Dowody naukowe, pochodzą z randomizowanego badania klinicznego GiACTA wysokiej jakości i wskazują na skuteczność wnioskowanej technologii w leczeniu olbrzymiokomórkowego zapalenia tętnic. Należy jednak zauważyć, że wnioskowany program lekowy zgodnie z zaproponowanymi kryteriami dopuszcza*

*[redacted]. Zdaniem eksperta Tocilizumab jest lekiem działającym objawowo a nie przyczynowo, a zatem zaostżenia po jego odstawieniu będą raczej częste (aktualnie brak danych)*





*i powinny być traktowane jako niepowodzenie terapii.*

### Problem ekonomiczny

*Wyniki analiz ekonomicznych wskazują na istotne prawdopodobieństwo przekroczenia progu opłacalności kosztowej terapii*

*W raporcie analitycznym zawarto liczne uwagi do treści samego programu lekowego, dotyczące między innymi*

### Główne argumenty decyzji

*Tocilizumab jest lekiem skutecznym we wnioskowanym wskazaniu, jednak przedkładany mechanizm dzielenia ryzyka nie zapewnia jednoznacznie opłacalności kosztowej terapii a treść programu budzi zastrzeżenia ekspertów klinicznych.*

### **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.4331.21.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku RoActemra (tocilizumab) we wskazaniu: Tocilizumab w leczeniu olbrzymiokomórkowego zapalenia tętnic (ICD-10 M31.5, M31.6)”. Data ukończenia: 20 września 2018 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Roche 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:** Roche Polska Sp. z o.o.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 94/2018 z dnia 1 października 2018 roku

w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej „Badanie diagnostyczne EKG z analizą wyniku z wykorzystaniem oprogramowania analitycznego i narzędzi telemedycznych, w populacji ogólnej powyżej 25 r.ż. w celu wczesnego wykrywania chorób serca” jako świadczenia gwarantowanego

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Badanie diagnostyczne EKG z analizą wyniku z wykorzystaniem oprogramowania analitycznego i narzędzi telemedycznych, w populacji ogólnej powyżej 25 r.ż. w celu wczesnego wykrywania chorób serca” jako świadczenia gwarantowanego.*

#### Uzasadnienie

##### Problem kliniczny

*SATRO ECG jest oprogramowaniem do automatycznej analizy sygnału EKG, wykorzystującym autorski model SFHAM, opartym na realizacji badań naukowych z zakresu medycyny, fizyki, sztucznej inteligencji oraz IT. Celem zaimplementowania SATRO ECG jest uruchomienie w szerokim zakresie badań przesiewowych, podjęcie działań profilaktycznych, monitorowanie efektów leczenia lub rozpoczęcie specjalistycznych badań w warunkach szpitalnych.*

##### Dowody naukowe

*Na podstawie przeprowadzonego przeglądu systematycznego oraz wyszukiwania niesystematycznego nie odnaleziono publikacji spełniających zdefiniowane kryteria włączenia, dotyczących metody diagnostycznej SATRO ECG. Dostępne dowody naukowe nie mogą stanowić podstawy do wprowadzenia SATRO ECG do praktyki klinicznej. Zgodnie z najnowszymi rekomendacjami USPSTF (2018) brak jest wystarczających dowodów naukowych na potwierdzenie zasadności wykonywania badań przesiewowych EKG w celu zapobiegania zdarzeniom sercowo-naczyniowym u bezobjawowych osób dorosłych o niskim ryzyku sercowo-naczyniowym. Dowody są zdaniem USPSTF niewystarczające do oceny bilansu korzyści i szkód związanych z badaniem przesiewowym z EKG spoczynkowym lub wysiłkowym w celu zapobiegania zdarzeniom sercowo-naczyniowym u bezobjawowych osób*



*dorostych przy pośrednim lub wysokim ryzyku wystąpienia zdarzeń sercowo-naczyniowych.*

*Problem ekonomiczny*

*Odstąpiono od przeprowadzenia analizy ekonomicznej, z uwagi na brak dostępnych dowodów naukowych wysokiej jakości, w związku z tym brak empirycznych danych umożliwiających oszacowanie wpływu wprowadzenia technologii SATRO ECG na stan zdrowia populacji.*

*Główne argumenty decyzji*

*Brak przekonujących dowodów naukowych, umożliwiających oszacowanie wpływu wprowadzenia technologii SATRO ECG na stan zdrowia populacji.*

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej nr: WS.430.2.2018 „Badanie diagnostyczne EKG z analizą wyniku z wykorzystaniem oprogramowania analitycznego i narzędzi telemedycznych, w populacji ogólnej powyżej 25 r.ż. w celu wczesnego wykrywania chorób serca”. Data ukończenia: 27.09.2018.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 262/2018 z dnia 1 października 2018 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,  
leku MabThera (rytuksymab) we wskazaniu:  
steroidozależny zespół nerczycowy (ICD-10: N03.0)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku MabThera (rytuksymab), proszek, fiolka á 500 mg, we wskazaniu: steroidozależny zespół nerczycowy (ICD-10: N03.0), w populacji pediatrycznej, odpornej na dostępne leki immunosupresyjne, pod warunkiem, że oceniany lek jest najtańszym, dostępnym w Polsce, preparatem rytuksymabu.*

#### Uzasadnienie

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

Zespół nerczycowy (ZN) to zespół objawów chorobowych wywołanych nadmierną nieskompensowaną utratą białka z moczem (białkomoczem), któremu towarzyszą: obrzęki, hipoalbuminemia i hiperlipidemia. Powikłaniami ZN są: zakrzepica, zakażenia i niewydolność nerek. Najczęściej u dzieci występuje ZN idiopatyczny. Podstawą leczenia są glikokortykosteroidy. Steroidozależny ZN to stan, w którym nawroty białkomoczu występują w trakcie zmniejszania dawki prednizonu lub w okresie krótszym niż 2 tygodnie po jego odstawieniu. W takich przypadkach dodaje się cyklofosfamid lub inhibitory kalcyneuryny, np. cyklosporynę A.

Zapadalność na ZN o niewyjaśnionej przyczynie (idiopatyczny) wynosi 2–7 nowych przypadków/100 000 dzieci < 15 roku życia, a chorobowość sięga 16/100 000 w populacji pediatrycznej.

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

Kilka procent stanowi ZN steroidozależny, w którym nie można odstawić steroidów i trudniej jest uzyskać remisję, pomimo dodania leków immunosupresyjnych, co prowadzi do zwiększonej liczby zagrażających życiu powikłań.

Odnaleziono trzy przeglądy systematyczne: Haffner 2009, Noone 2018, Otukesh 2013, opierające się na kilkudziesięciu opisach przypadków i 22 pacjentach



włączonych do prospektywnego wielośrodowego badania, z których wynika, że rytuksymab jest skuteczny w terapii ratunkowej ZN u dzieci. Skuteczność i bezpieczeństwo rytuksymabu, w porównaniu z placebo, potwierdzono u 48 dzieci z częstymi nawrotami lub steroidozależnym ZN. Większość pacjentów otrzymywała od dwóch do czterech dawek leku (375 mg / m<sup>2</sup>) tygodniowo. Jeśli wystąpi nawrót w ciągu pierwszych 6 miesięcy leczenia, sugeruje się dodatkowe dawki rytuksymabu przez okres 18 miesięcy.

#### Bezpieczeństwo stosowania

Rytuksymab jest ogólnie bezpieczny i dobrze tolerowany u większości dzieci. Potencjalnie poważne działania niepożądane obejmują: utrzymujący się niski poziom limfocytów B i ryzyko hipogammaglobulinemii, sprzyjające infekcjom. Najczęściej odnotowane działania niepożądane są łagodne i przemijające. Powikłania związane z infuzją są spowodowane przeciwciałami anty-CD20 i zwykle występują wyłącznie podczas pierwszego podania leku. Należą do nich: gorączka, dreszcze, wysypki, skurcz oskrzeli, niedociśnienie i anafilaksja. Można je łagodzić przez podanie glikokortykosteroidu i leku przeciwhistaminowego. Bardzo rzadkie zdarzenia niepożądane obejmują: zapalenie wątroby wywołane reaktywacją wirusa zapalenia wątroby typu B, postępującą wieloogniskową leukoencefalopatię, zwłóknienie płuc, zapalenie mięśnia sercowego, pneumocystozę, wrzodziejące zapalenie okrężnicy i agranulocytozę.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wydaje się, że w omawianym wskazaniu korzyści przeważają nad ryzykiem stosowania rytuksymabu.

#### Konkurencyjność cenowa

Szacowany koszt jednego podania 500 mg rytuksymabu dożylnie jest wysoki. Oczekuje się wprowadzenia w Polsce preparatów biopodobnych rytuksymabu, co powinno obniżyć koszt leczenia.

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

Nie otrzymano opinii od ekspertów dot. liczebności dzieci ze steroidozależnym ZN, opornych na dostępne leczenie immunosupresyjne w Polsce, ale szacunkowa liczba dzieci wymagających rytuksymabu wynosi kilkadziesiąt rocznie.

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

W odnalezionych wytycznych klinicznych, nie wskazano żadnej alternatywy dla ocenianej technologii lekowej.

**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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.38.2018 „MabThera (rytuksymab) we wskazaniu: steroidozależny zespół nerczycowy (ICD-10: N03.0)”. Data ukończenia: 26 września 2018 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 263/2018 z dnia 1 października 2018 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,  
leku Mylotarg (gemtuzumab ozogamycin) we wskazaniu:  
ostra białaczka szpikowa FLT3+ (ICD10: C92.0)

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Mylotarg (gemtuzumab ozogamycin) proszek, ampułka à 1 mg/ml, we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa FLT3+ (ICD10: C92.0).*

#### Uzasadnienie

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

*Ostre białaczki szpikowe (AML) są nowotworami złośliwymi układu białokrwinkowego powstającymi wskutek proliferacji (niepodlegającej fizjologicznym mechanizmom regulacji) klonu stransformowanych komórek wywodzących się z wczesnych stadiów mielopozy. Do transformacji białaczkowej dochodzi wskutek mutacji genów o kluczowym znaczeniu dla proliferacji, różnicowania, dojrzewania i przeżycia komórek. Zasadnicze znaczenie mają zmiany (mutacje, fuzje, amplifikacje, rearanżacje) w genach, w tym między innymi FLT3 (częstość 59% dla całej kategorii „aktywacja szlaków sygnałowych proliferacji”) i NPM1 (27%).*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Brak randomizowanych badań, w których populacja w pełni odpowiadałaby analizowanemu problemowi, brak badań oceniających skuteczność i bezpieczeństwo terapii gemtuzumabem ozogamycyny skojarzonym z sorafenibem w populacji pacjentów z ostrą białaczką mieloblastyczną FLT3+ (ICD-10 C92.0), z wczesnym nawrotem choroby. Odnaleziono jedno jednoramienne, badanie przeprowadzone w populacji pacjentów z AML z FLT3+. Należy zwrócić uwagę, że jedynie 20,8% pacjentów miało FLT3+, a wyniki podano łącznie dla wszystkich pacjentów. Ponadto w badaniu produkt Mylotarg podawany był w skojarzeniu cytarabiną, a nie, jak we wniosku, z sorafenibem.*

*Ponadto odnaleziono badanie oceniające skuteczność i bezpieczeństwo gemtuzumabu w terapii indukcyjnej u pacjentów z pierwszym nawrotem*





choroby. Nie podano informacji, czy w badaniu tym uczestniczyli pacjenci z FLT3+.

#### Bezpieczeństwo stosowania

Najczęściej występującymi ( $\geq 1\%$ ) działaniami niepożądanymi, które doprowadziły do całkowitego zaprzestania stosowania niniejszego produktu w ramach leczenia skojarzonego były: małopłytkowość, VOD, krwotok i zakażenie. Najczęściej występującymi ( $\geq 1\%$ ) działaniami niepożądanymi, które doprowadziły do całkowitego zaprzestania leczenia w ramach monoterapii, były: zakażenie, krwotok, niewydolność wielonarządowa i VOD.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Z dodatkowych informacji o stanie zdrowia wynika, że pacjent jest „z wczesnym nawrotem choroby, po kondycjonowaniu mieloablacyjnym BuCy2 oraz chth reindukcyjnej CLAG-M” ponadto terapia produktem Mylotarg ma być prowadzona w skojarzeniu z sorafenibem.

Natomiast zgodnie z zapisami charakterystyki produktu leczniczego Mylotarg w skojarzeniu daunorubicyną i cytarabiną, wskazany jest do stosowania u pacjentów z wcześniej nieleczoną ostrą białaczką szpikową z ekspresją antygeny CD-33. W związku z powyższym wskazanie z wniosku wykracza poza zapisy rejestracyjne dla produktu Mylotarg. Brak możliwości oceny stosunku korzyści do ryzyka stosowania.

#### Konkurencyjność cenowa

Wytyczne europejskie i polskie nie określają postępowania terapeutycznego u pacjentów z oporną na leczenie/ w nawrocie AML FLT3+.

Koszt terapii produktem Mylotarg [REDAKTOWANE], które były opiniowane w ramach ratunkowego dostępu do leków w tym wskazaniu.

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

Ze względu na brak danych umożliwiających szczegółowe oszacowanie wielkości populacji docelowej (brak opinii ekspertów), nie jest możliwe oszacowanie wydatków płatnika publicznego związanych z refundacją produktu Mylotarg we wnioskowanym wskazaniu.

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

Wytyczne europejskie i polskie nie określają postępowania terapeutycznego u pacjentów z oporną na leczenie/ w nawrocie AML FLT3+. Jedynie wytyczne NCCN wskazują na możliwość zastosowania 5-azacytydyny lub decytabiny i sorafenibu w leczeniu pacjentów AML z FLT3-ITD. po nawrocie/wznowie AML, bądź AML odpornej na leczenie.

**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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.37.2018 „Mylotarg (gemtuzumab ozogamicin) we wskazaniu: ostra białaczka szpikowa FLT3+ (ICD10: C92.0)”. Data ukończenia: 26.09.2018.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Pfizer Europe MA EEIG, Bayer Pharma AG, Novartis Europharm Limited).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Pfizer Europe MA EEIG, Bayer Pharma AG, 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:** Pfizer Europe MA EEIG, Bayer Pharma AG, Novartis Europharm Limited



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 264/2018 z dnia 1 października 2018 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Rydapt (midostaurin) we wskazaniu: agresywna mastocytoza z obecnością mutacji cKIT D816V (ICD10: C96.2)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Rydapt (midostaurin), kapsułki miękkie á 25 mg, we wskazaniu: agresywna mastocytoza z obecnością mutacji cKIT D816V (ICD10: C96.2).*

#### Uzasadnienie

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

*Agresywna mastocytoza układowa (Aggressive systemic mastocytosis – ASM) to ciężka postać mastocytozy układowej. Mastocytoza jest chorobą rzadką. W Duńskim badaniu kohortowym chorobowość mastocytozy oceniono na 9,50/100 000 mieszkańców. Brak jest dokładnych danych epidemiologicznych dotyczących zachorowalności i chorobowości związanej z różnymi fenotypami mastocytozy. W różnych badaniach wskazuje się, iż agresywna postać choroby dotyczy 2-12% pacjentów.*

*Według orpha.net agresywna mastocytoza dotyczy mniej niż 10% pacjentów z mastocytozą, a jej rozpowszechnienie szacuje się na 1/400 000 do 1/250 000 osób.*

*Rokowanie w agresywnej mastocytozie jest negatywne. Średni czas przeżycia szacowany jest na 3,5 roku. U części pacjentów występuje szybka progresja choroby i zgon w okresie 12-24 miesięcy.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Produkt leczniczy Rydapt zarejestrowany jest we wskazaniu agresywna mastocytoza układowa. Wnioskowane wskazanie obejmuje natomiast jedynie pacjentów z agresywną mastocytozą układową z mutacją cKIT D816V. W związku z powyższym analizowane wskazanie jest węższe od wskazania zarejestrowanego. Skuteczność produktu leczniczego Rydapt we wnioskowanym wskazaniu została wykazana w wysokiej jakości badaniach, które były podstawą jego rejestracji.*



### Bezpieczeństwo stosowania

Działania niepożądane opisane w Charakterystyce Produktu Leczniczego są znane, i obejmują występujące bardzo często: ból głowy, zawroty głowy, zakażenie układu moczowego, zakażenie górnych dróg oddechowych, duszność, kaszel, wysięk opłucnowy, krwawienie z nosa, nudności, wymioty, biegunka, zaparcie, obrzęk obwodowy, uczucie zmęczenia, gorączka. Nie odnaleziono żadnych komunikatów bezpieczeństwa dotyczących produktu leczniczego Rydapt.

### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wskazanie, którego dotyczy wniosek mieści się w obrębie wskazania rejestracyjnego produktu leczniczego Rydapt. W związku z powyższym stosunek korzyści do ryzyka stosowania leku został oceniony przez EMA jako pozytywny.

Analiza ogólnej odpowiedzi na leczenie przedstawiona w oparciu o kryteria Międzynarodowej Grupy Roboczej – Badań i Leczenia Nowotworów Mieloproliferacyjnych – Europejskiej Sieci Ośrodków Zajmujących się Mastocytozą (IWG-MRT-ECNM) dostarczyła dowodów potwierdzających skuteczność midostauryny i wykazała, że midostauryna zapewnia korzyści kliniczne pacjentom, którzy uzyskali odpowiedź na leczenie. Profil bezpieczeństwa midostauryny został uznany za akceptowalny ze względu na ciężkość choroby i obserwowane korzyści.

### Konkurencyjność cenowa

Nie zidentyfikowano alternatywnych technologii, które można stosować we wnioskowanym wskazaniu, w sytuacji wyczerpania innych możliwych do zastosowania w tym wskazaniu dostępnych technologii medycznych finansowanych ze środków publicznych. Stąd należy uznać, iż komparatorem dla wnioskowanej technologii jest najlepsza dostępna terapia wspomagająca.

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

Ze względu na brak danych epidemiologicznych dla Polski, duże rozbieżności w dostępnych publikacjach dotyczące rozpowszechnienia agresywnej postaci choroby oraz brak informacji od ekspertów, którzy w praktyce klinicznej stosowaliby lek Rydapt, wyliczenia wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców mogą być obarczone dużym błędem.

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

Biorąc pod uwagę wytyczne kliniczne jako potencjalne alternatywne technologie dla terapii midostauryną w populacji pacjentów z ASM z mutacją cKIT D816V można wskazać przede wszystkim kladrybinę oraz interferon alfa, a także polichemioterapię, które obecnie są refundowane w ramach katalogu

*chemioterapii we wskazaniu określanym kodem ICD-10 C96.2. W związku z powyższym, nie mogą one stanowić komparatora dla terapii ratunkowej.*

*Należy również zauważyć, iż przeszczepienie alloSCT również nie zostało uwzględnione jako komparator dla analizowanej technologii, ze względu na fakt, iż jedynie część młodszych pacjentów może zostać poddana tego typu zabiegom, a także fakt, iż przeprowadzenie przeszczepienia wymaga odnalezienia odpowiedniego dawcy. Stąd dostępność do tego typu terapii dla wielu pacjentów jest ograniczona.*

*W związku z powyższym jako komparator dla midostauryny stosowanej u pacjentów z agresywną mastocytozą w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych przyjęto najlepszą terapię wspomagającą, obejmującą leczenie objawowe.*

#### **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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.39.2018 „Rydapt (midostaurin) we wskazaniu: agresywna mastocytoza z obecnością mutacji cKIT D816V (ICD10: C96.2)”. Data ukończenia: 26 września 2018 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 265/2018 z dnia 1 października 2018 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy wśród dzieci w wieku szkolnym w mieście Krosno”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy wśród dzieci w wieku szkolnym w mieście Krosno”.*

#### Uzasadnienie

*Projekt PPZ miasta Krosno dotyczy wczesnego wykrywania wad postawy u dzieci klas II, IV, VI szkół podstawowych (łącznie ok. 1 484 dzieci – 100% populacji docelowej).*

*W ramach programu przewidziano realizację 4 etapów: działania edukacyjne, badania przesiewowe, grupową gimnastykę korekcyjną oraz badania kontrolne.*

*Adresatami działań edukacyjnych będą także rodzice/opiekunowie dzieci (ok. 1 400 osób).*

*Drugim etapem PPZ będzie realizacja badań przesiewowych oraz kwalifikacji dzieci z rozpoznanymi wadami postawy do etapu grupowej gimnastyki korekcyjnej. Za ich przeprowadzenie odpowiedzialny będzie lekarz rehabilitacji medycznej, magister fizjoterapii, magister rehabilitacji ruchowej lub fizjoterapeuta. Etap ten będzie obejmował edukację zdrowotną ukierunkowaną na profilaktykę wad postawy oraz przeprowadzenie testów przesiewowych do wykrywania zaburzeń narządu ruchu (postawa prawidłowa i nieprawidłowa, skrzywienia boczne kręgosłupa, nadmierna kifoza piersiowa, lordoza pogłębiona) – badanie symetrii: osi długiej kręgosłupa w płaszczyźnie czołowej, uwypuklenia klatki piersiowej i okolicy lędźwiowej podczas skłonu w przód, przeprowadzenie testu zgięciowego Adamsa, ocena kąta rotacji tułowia przeprowadzona za pomocą skoliometru Bunnela, badanie postawy ciała metodą Moire’a.*

*Grupowa (max. 10 osób) gimnastyka korekcyjna, prowadzona będzie przez okres 9 miesięcy (siedem 45. minutowych zajęć w każdym miesiącu) przez lekarza rehabilitacji medycznej, magistra fizjoterapii, magistra rehabilitacji ruchowej lub fizjoterapeutę. Według ekspertów klinicznych nie jest wskazane*



realizowanie zajęć korekcyjnych w formie zajęć grupowych. Postępowanie terapeutyczne musi być zindywidualizowane.

W ramach ewaluacji programu porównywany będzie wskaźnik zapadalności na zniekształcenia kręgosłupa w populacji dzieci szkolnych (dane z lat 2013-2017, z wartością osiągniętą w latach 2019-2022 - do 2 lat po zakończeniu programu).

Kompleksowa ocena stanu zdrowia obejmująca diagnostykę wad postawy znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej i zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia, powinna być przeprowadzana u dzieci w ramach testów przesiewowych wykonywanych przez pielęgniarki lub higienistki szkolne m.in. w czasie rocznego obowiązkowego przygotowania przedszkolnego (bądź w I klasie szkoły podstawowej), w III i V klasie szkoły podstawowej, a także w klasach I szkół gimnazjalnych i ponadgimnazjalnych.

Opiniowany projekt programu uzupełnia świadczenia gwarantowane, obejmując swoim zakresem uczniów klas II ( 8/9 lat), IV (10/11 lat), VI (12/13 lat) szkół podstawowych.

W odniesieniu do dzieci w wieku 10/11 lat (IV klasa) oraz 12/13 lat (VI klasa) wiek populacji wybranej przez wnioskodawcę częściowo pokrywa się z wskazanym w odnalezionych rekomendacjach (AAOS, SRS, POSNA, AAP 2015). W przypadku dzieci w wieku 8/9 lat (II klasa), badanie przesiewowe w kierunku wykrycia wad postawy nie znajduje odzwierciedlenia w odszukanych dowodach naukowych, rekomendacjach czy opiniach eksperckich.

Całkowity koszt programu został oszacowany na 190 726 zł. Program ma być finansowany w 10% z budżetu Krosna oraz w 90% ze środków uzyskanych z projektu „zwiększenie dostępu do usług zdrowotnych w Krośnie i Użgorodzie” realizowanego w ramach Programu Współpracy Transgranicznej Polska-Białoruś-Ukraina 2014-2020. Miasto Krosno znajduje się na liście beneficjentów tego programu. Na realizację zadań z zakresu zwiększenia dostępu do usług zdrowotnych miasta Krosno i Użgorod otrzymały kwotę w wysokości 421 357,25 euro.

Dostępne rekomendacje dotyczące wykrywania wad postawy różnią się zasadniczo w kwestii zasadności przeprowadzania badań w populacji bezobjawowej. Według najnowszego stanowiska USPSTF (2018) podzielonego przez American Academy of Family Physicians z 2018 r. (AAFP 2018), obecne dowody naukowe nie są wystarczające do oceny bilansu korzyści i szkód związanych z przesiewem w kierunku wykrycia skoliozy młodzieńczej u dzieci i młodzieży w wieku od 10 do 18 lat. Wytyczne UK NSC (2016) również nie rekomendują prowadzenia tego typu badań. Ponadto w przeglądzie systematycznym Montgomery 1990 wskazuje się na niską wartość predykcyjną



wyniku dodatniego standardowego badania przesiewowego w kierunku wad postawy (ok. 5%), a częstsze badania przesiewowe zwiększają o ok. 30% liczbę skierowań na dalszą diagnostykę, nie zmieniając liczby ostatecznych rozpoznań. Poza tym, projekt ma inne mankamenty związane z brakiem spełniania założeń S.M.A.R.T. przez cel główny i cele szczegółowe oraz nie w pełni poprawnym doborem mierników efektywności. Biorąc powyższe pod uwagę, Rada negatywnie opiniuje projekt programu zdrowotnego.

**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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.168.2018 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy wśród dzieci w wieku szkolnym w mieście Krosno” realizowany przez: Miasto Krosno, Warszawa, wrzesień 2018 oraz Aneksu „Programy profilaktyki i korekcji wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny” z marca 2018 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 266/2018 z dnia 1 października 2018 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad wzroku wśród dzieci w wieku 4-6 lat w mieście Krosno”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad wzroku wśród dzieci w wieku 4-6 lat w mieście Krosno”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Program skierowany jest do dzieci w wieku 4-6 lat (roczniki 2013-2015), uczęszczających do przedszkola lub szkoły na terenie miasta Krosna, nieobjętych stałą opieką okulistyczną (ok. 1220 osób). Założono udział w programie 100% populacji docelowej. Główne interwencje zaplanowane w ramach programu to: badania przesiewowe w kierunku wad wzroku u dzieci oraz edukacja zdrowotna ich rodziców/opiekunów.*

*Niektóre towarzystwa naukowe (USPSTF 2017, CPS 2016, NCCVEH 2015, AAPOS 2014, UK NSC 2013, RCO/OSC 2009), a także eksperci kliniczni zalecają przeprowadzanie programów z zakresu profilaktyki wad wzroku w populacji pediatrycznej. Większość wytycznych zaleca przeprowadzanie badań przesiewowych wzroku w populacji dzieci w wieku 3-6 lat. Eksperci są zgodni, że wczesne wykrywanie i odpowiednia korekcja wad wzroku jest kluczowa dla prawidłowego rozwoju dziecka, a ich opóźnione wykrycie może niekiedy powodować nieodwracalne zmiany.*

*W programie zaplanowano przeprowadzenie badania ostrości wzroku za pomocą optotypów (tablice obrazkowe/tablice Snellena), badania widzenia obuocznego (test muchy), badania ustawienia oraz ruchomości gałek ocznych, testu naprzemiennego zasłaniania gałek ocznych (cover test), testu zakrywania i odkrywania (cover uncover test), badania refrakcji obiektywnej metodą skieskopii lub autorefraktometru.*

*Ocena ostrości wzroku przy pomocy tablic Snellena jest zalecana przez Polskie Towarzystwo Ortoptyczne jako badanie podstawowe z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku/chorób oczu u dzieci (PTOOrt 2016). Badanie ostrości wzroku przy użyciu tablic optometrycznych, dostosowanych do wieku dziecka,*



pozostaje preferowaną metodą badań przesiewowych w kierunku wad wzroku (CPS 2016, NCCVEH 2015, AAPOS 2014A, AAPOS 2014B, RCO/OSC 2009, AAO 2007, IMD 2002).

Obecnie w ramach świadczeń gwarantowanych z zakresu wczesnego wykrywania wad wzroku wśród dzieci poniżej 6 r.ż., realizowane są jedynie orientacyjne badania zaburzeń ostrości wzroku i uszkodzeń słuchu wśród 4-latków i 5-latków w ramach świadczeń pielęgniarstwa POZ oraz badania w kierunku zezów (cover test, test Hirschberga) i badania ostrości wzroku wśród dzieci w czasie rocznego przygotowania przedszkolnego w ramach świadczeń lekarza POZ oraz pielęgniarstwa lub higienistki szkolnej. Część interwencji przewidzianych w programie będzie zatem uzupełnieniem świadczeń finansowanych w ramach NFZ.

Ocena jakości świadczeń w programie ma być prowadzona w oparciu o analizę wyników ankiety satysfakcji oraz pisemne uwagi uczestników programu. Do projektu załączono wzór ankiety.

Całkowity koszt programu został oszacowany na 33 800 zł. Program ma być finansowany w 10% z budżetu Krosna oraz w 90% ze środków uzyskanych z projektu „zwiększenie dostępu do usług zdrowotnych w Krośnie i Użgorodzie” realizowanego w ramach Programu Współpracy Transgranicznej Polska-Białoruś-Ukraina 2014-2020. Na realizację zadań z zakresu zwiększenia dostępu do usług zdrowotnych miasto Krosno i Użgorod otrzymało kwotę w wysokości 421 357,25 euro.

#### **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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.171.2018 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad wzroku wśród dzieci w wieku 4-6 lat w mieście Krosno” realizowany przez: Miasto Krosno, Warszawa, wrzesień 2018 oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2017.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 267/2018 z dnia 1 października 2018 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki chorób układu krążenia dla mieszkańców Krosna w wieku 18+ na lata 2018-2020”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki chorób układu krążenia dla mieszkańców Krosna w wieku 18+ na lata 2018-2020”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT, w szczególności ograniczenia populacji do mężczyzn powyżej 40 r.ż. i kobiet powyżej 50 r.ż.*

#### Uzasadnienie

*Wnioskodawca w treści projektu przedstawia zwięzły opis problemu zdrowotnego jakim są choroby układu sercowo-naczyniowego. Odniesiono się do głównych schorzeń ww. układu oraz czynników ryzyka ich występowania, zwracając szczególną uwagę na czynniki modyfikowalne, w tym zmianę stylu życia. Podkreślono znaczenie profilaktyki. Opiniowany projekt programu realizuje następujący priorytet: „zmniejszenie zapadalności i przedwczesnej umieralności z powodu chorób układu sercowo-naczyniowego, w tym zawałów serca, niewydolności serca i udarów mózgu” należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469). Wskazano, że zachorowalność ogólna dorosłych mieszkańców woj. podkarpackiego zwiększyła się z 1161,5/100 tys. ludności w 2007 r. do 1909,1/100 tys. ludności w 2016 r. Wśród przyczyn zachorowalności dominuje choroba nadciśnieniowa. W mieście Krosno oraz na terenie powiatu krośnieńskiego wskaźnik zachorowalności u osób w wieku 19 lat i więcej wyniósł w 2016 r. 19,9/1 tys. ludności.*

*W projekcie programu są proponowane następujące interwencje:*

- badania przesiewowe – badania biochemiczne krwi (stężenie cholesterolu całkowitego, LDL, HDL, trójglicerydów, poziom cukru na czczo), pomiar ciśnienia tętniczego oraz określenie BMI,*
- badania przedmiotowe wraz z określeniem ryzyka wystąpienia incydentu sercowo-naczyniowego w przyszłości na podstawie algorytmu SCORE,*



- edukacja (tematyka: czynniki ryzyka, diagnostyka i leczenie chorób układu krążenia, kształtowanie prawidłowych wzorców zdrowotnych i żywieniowych, konieczność podejmowania regularnej aktywności fizycznej).

Odnalezione rekomendacje wskazują na zasadność prowadzenia systematycznej oceny ryzyka S-N u osób z obciążonym wywiadem zdrowotnym (ESC, EACPR 2016; NICE 2014\_2016, BCMoH 2014, NGC\_AHRQ 2012). Narzędziem służącym ocenie ww. ryzyka, wystandaryzowanym dla populacji polskiej, są tablice Pol-SCORE (PFP 2015). Przy czym należy zaznaczyć, że są one przeznaczone dla osób w wieku od 40. do 70. r.ż. U osób młodszych należy stosować tablice ryzyka względnego (PFP 2015). Wnioskodawca nie odnosi się do powyższej kwestii w treści projektu. Mając na uwadze wskazany wiek populacji docelowej (18+), zgodnie z odnalezionymi wytycznymi (ESC, EACPR 2016; NICE 2014\_2016, BCMoH 2014, NGC\_AHRQ 2012), należy zaznaczyć, że ocenę czynników ryzyka S-N można rozważyć wśród wszystkich mężczyzn >40. r.ż. i kobiet >50. r.ż. (lub po menopauzie). Nie zaleca się systematycznej oceny ryzyka S-N u mężczyzn w wieku < 40 lat oraz kobiet w wieku < 50 lat i bez rozpoznanych czynników ryzyka S-N (EACPR 2016). Wytyczne australijskie sugerują, że ocena czynników ryzyka S-N powinna zostać wdrożona w populacji dorosłych  $\geq 45$ . r.ż., u których nie rozpoznano ChSN lub które nie są automatycznie zakwalifikowane do wysokiego ryzyka ww. chorób (RACGP 2016).

Zasadność prowadzenia oceny czynników ryzyka S-N nie znajduje swojego bezpośredniego potwierdzenia w odnalezionych przeglądach systematycznych/metaanalizach. Systematyczna ocena ryzyka w kierunku ChSN (za pomocą programu przesiewowego w ramach POZ) nie ma statystycznie istotnego efektu w odniesieniu do klinicznych punktów końcowych takich jak śmiertelność (Daykova 2016). Ocena czynników ryzyka ChSN nie wykazuje także wpływu na wystąpienie zdarzeń S-N w porównaniu do standardowej opieki (Karmali 2017). Ponadto, populacyjne programy oceny ryzyka S-N charakteryzują się niewystarczającą liczbą silnych dowodów naukowych. W związku z powyższym niemożliwe do tej pory było przeprowadzenie analizy efektywności kosztowej działań w omawianym zakresie (Lee 2017). W odnalezionych przeglądach systematycznych autorzy są jednak zgodni co do tego, że u osób z podwyższonym ryzykiem S-N, ocena ryzyka może nieznacznie obniżyć poziom konkretnych czynników, takich jak np. zmniejszenie poziomu cholesterolu całkowitego i skurczowego ciśnienia krwi (Karmali 2017, Collins 2016 i Dyakova 2016). Podsumowując zaznaczyć należy, że w obliczu dostępnych przeglądów systematycznych nie można w sposób jednoznaczny stwierdzić czy planowane do podjęcia przez wnioskodawcę działania z zakresu oceny czynników ryzyka S-N na poziomie populacyjnym można uznać za skuteczne klinicznie oraz ekonomicznie. Ponadto, zgodnie z Obwieszczeniem

*Ministra Zdrowia z dnia 17 grudnia 2017 r. (Dz. U. 2016 poz. 86 z późn. zm.), świadczenia gwarantowane lekarza POZ obejmują m.in. świadczenia w ramach profilaktyki chorób układu krążenia, w tym: wykonanie badań biochemicznych krwi (stężenie we krwi cholesterolu całkowitego, LDL-cholesterolu, HDL-cholesterolu, trójglicerydów), pomiar ciśnienia tętniczego krwi czy edukację zdrowotną świadczeniobiorcy.*

#### **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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.169.2018 „Program profilaktyki chorób układu krążenia dla mieszkańców Krosna w wieku 18+ na lata 2018-2020” realizowany przez: Miasto Krosno, Warszawa, wrzesień 2018 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu profilaktyki chorób sercowo-naczyniowych – wspólne podstawy oceny”, luty 2013 r. i Raportu oceny o nr OT.440.8.2017 dot. programu polityki zdrowotnej pn. „Ogólnopolski program profilaktyki w zakresie miażdżycy tętnic i chorób serca poprzez edukację osób z podwyższonymi czynnikami ryzyka sercowo-naczyniowego (KORDIAN)”.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 268/2018 z dnia 1 października 2018 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki chorób układu krążenia dla uczniów szkół ponadgimnazjalnych w mieście Krosno”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki chorób układu krążenia dla uczniów szkół ponadgimnazjalnych w mieście Krosno”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Oceniany projekt programu dotyczy istotnego problemu zdrowotnego jakim jest nadwaga oraz otyłość wśród dzieci i młodzieży. Jak zaznaczył wnioskodawca, zakres programu jest zgodny z celem Narodowego Programu Zdrowia (NPZ) na lata 2016-20201 („poprawa sposobu żywienia, stanu odżywienia oraz aktywności fizycznej społeczeństwa”). Wnioskodawca w opisie problemu zdrowotnego przedstawia m.in. definicję nadwagi i otyłości, ich etiologię oraz wskazuje na ich wpływ podczas rozwoju chorób sercowo-naczyniowych. W treści problemu zdrowotnego odniesiono się także do profilaktyki otyłości występującej wśród dzieci oraz podkreślono rolę trwałej zmiany nawyków żywieniowych zarówno dziecka, jak i jego rodziny, co zagwarantować ma długofalowy sukces w utrzymywaniu należytej masy ciała.*

*Opiniowany projekt realizuje priorytety: „zmniejszenie zapadalności i przedwczesnej umieralności z powodu chorób układu sercowo-naczyniowego, w tym zawałów serca, niewydolności serca i udarów mózgu” oraz „przeciwdziałanie nadwadze i otyłości” należące do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).*

*Proponowane interwencje obejmują: badanie przesiewowe całej populacji młodzieży z klas I-III szkół ponadgimnazjalnych z terenu miasta Krosno w oparciu o badania antropometryczne, konsultację dietetyczną (wraz z przeprowadzeniem wywiadu żywieniowego, pomiaru masy ciała oraz przygotowaniem jadłospisu dla dziecka), edukacja żywieniowa w trakcie badania przesiewowego (tematyka: czynniki ryzyka i powikłania nadwagi, otyłości oraz nadciśnienia tętniczego); podczas konsultacji dietetycznej*



(w formie pogadanki skierowanej do uczniów oraz rodziców/opiekunów pranych, obejmująca wiedzę na temat kształtowania prawidłowych nawyków zdrowotnych i żywieniowych oraz konieczność podejmowania regularnej aktywności fizycznej); ulotki edukacyjne przekazane każdemu uczniowi.

Populację docelową programu stanowią dzieci uczęszczające do klas I-III szkół ponadgimnazjalnych z terenu miasta Krosna. Zgodnie z treścią projektu, działaniami realizowanymi w ramach programu planuje się objąć ok. 4 776 osób. Badanie przesiewowe skierowane będzie do 100% populacji młodzieży w danej grupie wiekowej, a także rodziców/opiekunów prawnych (ok. 1 015 osób), natomiast konsultacja dietetyczna dla ok. 20% populacji docelowej (powyższy odsetek przyjęto na podstawie danych przekazanych przez Urząd Miasta Krosno, które wskazują, że 80% młodzieży nie ma nadwagi/otyłości). Dane IŻŻ wskazują, że problem nadwagi/otyłości dotyczy 21,5% dzieci i młodzieży z województwa podkarpackiego. Wnioskodawca podkreśla, że w przypadku zakwalifikowania większej liczby osób do etapu konsultacji dietetycznej „Krosno zapewni finansowanie świadczeń dla całej zakwalifikowanej do ww. interwencji populacji” (str. 24 projektu). Przedstawione liczby osób w wieku upoważniającym do edukacji w klasach I-III w szkołach ponadgimnazjalnych zostały zweryfikowane przez analityka i są zbliżone do danych zamieszczonych na stronie internetowej GUS. Zgodnie z treścią projektu przewidziano przeprowadzenie pomiarów wzrostu, masy ciała oraz ciśnienia tętniczego. Zgodnie z rekomendacjami (PFP 20114) pomiar ciśnienia tętniczego należy wykonać u wszystkich osób bez rozpoznanego nadciśnienia tętniczego, począwszy od 3. roku życia przynajmniej raz w roku, a u dzieci z wartością ciśnienia pomiędzy 90. a 95. percentylem pomiar ten należy przeprowadzać częściej. Należy podkreślić, że w projekcie programu przedstawiono interwencje nakierowane na zmniejszenie zjawiska nadwagi/otyłości. Zgodnie z rekomendacjami, najlepszą formą profilaktyki otyłości dzieci i młodzieży są skoordynowane interwencje łączące zarówno problemy dietetyczne, edukację zdrowotną oraz aktywność fizyczną (UPSTF 2017, NICE 2006, WHO 2010). Ponadto rekomendacje podkreślają konieczność udziału w programach z zakresu nadwagi i otyłości wielodyscyplinarnego zespołu specjalistów (NICE 2015, CTFPHC 2015, EASO 2015). Należy podkreślić, że w przesłanym projekcie nie zaplanowano działań z zakresu aktywności fizycznej. Zgodnie z wytycznymi wszystkie osoby z nadmierną masą ciała należy zachęcać do regularnych ćwiczeń fizycznych (NICE 2016, PTD 2015, EASO 2015, AHA/ACA/TOS 2013, NHMRC 2013). W odnalezionych dowodach wskazuje się, że interwencje oparte jedynie na poradzie dietetycznej lub ćwiczeniach skutkowały minimalną redukcją wagi (Franz 2007).

Pomiary antropometryczne (masa ciała, wzrost, wskaźnik BMI) oraz pomiar ciśnienia krwi znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych pielęgniarstwa



*lub higienistki szkolnej udzielanych w środowisku nauczania i wychowania i są wykonywane jako badania przesiewowe m.in. wśród uczniów w pierwszej i ostatniej klasie szkoły ponadgimnazjalnej. Przedstawione w projekcie programu interwencje dotyczące pomiarów antropometrycznych i pomiarów ciśnienia krwi stanowią powielenie świadczeń gwarantowanych dla osób uczęszczających do pierwszych i ostatnich klas szkół ponadgimnazjalnych oraz uzupełnienie świadczeń gwarantowanych dla osób uczęszczających do drugiej klasy ww. szkół.*

#### **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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.170.2018 „Program profilaktyki chorób układu krążenia dla uczniów szkół ponadgimnazjalnych w mieście Krosno” realizowany przez: Miasto Krosno, Warszawa, wrzesień 2018 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Edukacja w zakresie zdrowego odżywiania oraz profilaktyka i leczenie nadwagi i otyłości – wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2016.