



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.39.2018.LAn

**Protokół nr 37/2018**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 8 października 2018 roku**  
**w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Agencji)**

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

1. Anna Cieślik
2. Adam Maciejczyk
3. Konrad Maruszczuk
4. Michał Myśliwiec – prowadził posiedzenie
5. Tomasz Pasierski
6. Rafał Suwiński
7. Janusz Szyndler

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Anna Gręziak
2. Dariusz Tereszowski-Kamiński

Proponowany porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia, omówienie i zatwierdzenie porządku obrad, omówienie konfliktów interesów członków Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny FASENRA (benralizumab) w ramach programu lekowego: „Leczenie ciężkiej astmy alergicznej IgE zależnej (ICD-10 J45.0) oraz ciężkiej astmy eozynofilowej (ICD-10 J45)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku ALECENSA (alectinibum) w ramach programu lekowego:
  - 1) „Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca (ICD-10 C34)”,
  - 2) „Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca (ICD-10 C34) - I linia leczenia”.
4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku ZELBORAF (vemurafenibum) we wskazaniu: choroba Erdheima-Chester.
5. Przygotowanie opinii nt. zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną amantadyna we wskazaniu: dyskineza późna u osób dorosłych - leczenie.
6. Przygotowanie opinii nt. zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną salbutamolum we wskazaniu: bradykardia u dzieci do 18 roku życia.
7. Przygotowanie opinii w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków ich realizacji: „Programy Polityki Zdrowotnej z zakresu profilaktyki osteoporozy – przedstawienie raportu



w sprawie działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów polityki zdrowotnej”.

8. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego, (Art. 48 – program polityki zdrowotnej):
  - 1) „Program kontroli stomatologicznej dla uczniów szkół podstawowych działających na terenie Gminy Zabierzów w latach 2018-2019”,
  - 2) „Profilaktyka i leczenie odleżyn w Jaworznie”,
  - 3) „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) na lata 2019-2024 w powiecie oleckim”,
  - 4) „Program profilaktyki zakażeń wirusami brodawczaka ludzkiego (HPV) na terenie Gminy Miasta Gdyni na lata 2018-2020”.
9. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
10. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 1.** Posiedzenie rozpoczęło się o godzinie 10:10.

Rada jednogłośnie (7 osób obecnych) przyjęła zaproponowany porządek obrad.

Żaden z członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Z uwagi na nieobecność Anetty Undas, członka Rady wyznaczonego przez prowadzącego do przygotowania projektu stanowiska dla leku Fasenna, Rada zdecydowała, że rozpocznie obrady od omówienia pkt 3. porządku obrad.

**Ad 3.** Z uwagi na zbieżność treści dotyczących obydwu wniosków dla leku Alecensa, Rada naprzemiennie omawiała podpunkty 1. i 2. niniejszego punktu porządku obrad.

**1)** Rada rozpoczęła ten punkt obrad od przedstawienia przez Adama Maciejczyka propozycji stanowiska, dotyczącego leku Alecensa w niedrobnokomórkowym raku płuca.

**2)** Rada rozpoczęła ten punkt obrad od przedstawienia przez Adama Maciejczyka propozycji stanowiska, dotyczącego leku Alecensa w niedrobnokomórkowym raku płuca w I linii leczenia.

Analitik Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych.

**1) cd.** Analitik Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych.

**2) cd.** Rada wysłuchała opinii eksperta dopuszczonego do udziału w posiedzeniu, lek. med. Anny Wrony z Kliniki Onkologii i Radioterapii Uniwersyteckiego Centrum Klinicznego w Gdańsku.

W dyskusji głos zabrali: Rafał Suwiński, Adam Maciejczyk, Michał Myśliwiec i Janusz Szyndler.

**1) cd.** Rada sformułowała treść stanowiska, w czym udział brali: Michał Myśliwiec i Rafał Suwiński.

**2) cd.** Rada sformułowała treść stanowiska, w czym udział brali: Michał Myśliwiec i Rafał Suwiński.

**1) cd.** Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 osób za) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

**2) cd.** Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 osób za) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

**Ad 4.** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących leku Zelboraf (vemurafenibum) w chorobie Erdheima-Chesterera (RDTL).

Michał Myśliwiec przedstawił propozycję opinii, a w części przeznaczony na dyskusję głos zabrał Tomasz Pasierski. Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 osób za) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

**Ad 5.** Propozycję opinii dotyczącej substancji czynnej amantadyna w dyskinezie późnej, w ramach oceny off-label, przedstawił Rafał Suwiński.

Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 osób za) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

**Ad 6.** We wstępnej dyskusji, dotyczącej substancji czynnej salbutamolom w bradykardii, w ramach cyklicznej oceny off-label, udział brali: Tomasz Pasierski i Michał Myśliwiec.

Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji z materiałów analitycznych, po czym propozycję opinii przedstawił Tomasz Pasierski.

W wyniku dyskusji, w trakcie której głos zabrali: Michał Myśliwiec, Rafał Suwiński, Tomasz Pasierski i Janusz Szyndler, sformułowano treść opinii, a następnie prowadzący zarządził głosowanie. Rada 6 głosami za, przy 1 głosie przeciw (7 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

**Ad 7.** Głos zabrał Michał Myśliwiec, po czym analityk Agencji podsumował informacje dotyczące zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków ich realizacji w zakresie osteoporozy.

Propozycję opinii przedstawił Janusz Szyndler.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 osób za) uchwaliła opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Rada podjęła decyzję o omawianiu wniosku dot. leku Fasentra – pkt 2. porządku obrad.

**Ad 2.** Analityk Agencji podsumował informacje dotyczące leku Fasentra (benralizumab) w ramach programu lekowego dot. astmy.

Janusz Szyndler przedstawił propozycję stanowiska, w formułowaniu którego udział wzięli również Michał Myśliwiec, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (7 osób za) uchwaliła stanowisko.

Rada zdecydowała o konieczności wprowadzenia dalszych zmian w treści stanowiska. Po sformułowaniu treści, w czym udział brali: Michał Myśliwiec, Konrad Maruszczuk, Janusz Szyndler i Rafał Suwiński, prowadzący zarządził ponowne głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 osób za) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 7 do protokołu).

**Ad 8. 1)** Analityk Agencji podsumował informacje dotyczące programu polityki zdrowotnej gminy Zabierzów, odnoszącego się do kontroli stomatologicznej, a następnie głos zabrał Michał Myśliwiec.

Propozycję opinii przedstawiła Anna Cieślik, po czym Rada rozpoczęła dyskusję, w trakcie której głos zabrali: Konrad Maruszczyk i Michał Myśliwiec. Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 osób za) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

**2)** Analityk Agencji podsumował informacje dotyczące programu polityki zdrowotnej m. Jaworzno, odnoszącego się do kwestii odleżyn, po czym głos zabrał Michał Myśliwiec.

Propozycję opinii przedstawił Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 osób za) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

**3)** Analityk Agencji podsumował informacje dotyczące programu polityki zdrowotnej pow. oleckiego, odnoszącego się do profilaktyki zakażeń HPV.

Propozycję opinii przedstawił Konrad Maruszczyk.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 osób za) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

**4)** Analityk Agencji podsumował informacje dotyczące programu polityki zdrowotnej gminy i miasta Gdynia, odnoszącego się do profilaktyki zakażeń HPV.

Propozycję opinii przedstawił Konrad Maruszczyk.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (7 osób za) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

**Ad 9.** Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie w dniu 5 listopada 2018 r.

**Ad 10.** Posiedzenie zakończyło się o godzinie 13:58

Michał Myśliwiec  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

.....  
(data i podpis)



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 95/2018 z dnia 8 października 2018 roku  
w sprawie oceny leku Alecensa (alektynib) w ramach programu  
lekowego: „Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca  
(ICD-10 C34)” – III linia**

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Alecensa (alektynib), kapsułki twarde, 150 mg, 224, kaps., kod EAN: 5902768001143, w ramach programu lekowego „Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca (ICD-10 C34)” – III linia, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia ceny leku*

*Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

### **Uzasadnienie**

#### *Problem decyzyjny*

*Rak płuca jest najczęstszym nowotworem złośliwym na świecie i należy do najgorzej rokujących nowotworów. Ocenia się, że odsetek 5-letnich przeżyć ogółu chorych wynosi ok. 10-14%. W ostatnich latach duże nadzieje budzi wprowadzenie nowych leków w ramach tzw. terapii celowanej, która polega na zastosowaniu leku bezpośrednio oddziałującego na charakterystyczny element komórki nowotworowej. Zastosowanie takiej terapii jest możliwe tylko po szczegółowej ocenie patomorfologicznej i genetycznej. Około 95% wszystkich raków płuca stanowią 4 typy histologiczne: gruczołowy (najczęstszy typ u osób niepalących), płaskonabłonkowy, drobnokomórkowy oraz wielkokomórkowy. Do poddanej analizie grupy pacjentów z rearanżacją kinazy ALK zalicza się 2–6% przypadków niedrobnokomórkowego raka płuca (NDRP). Wykrycie obecności rearanżacji ALK związane jest z wysoką wrażliwością na specyficzne leczenie inhibitorami tej kinazy.*

*Celem analizy jest ocena zasadności objęcia refundacją, należącego do inhibitorów ALK, alektynibu (ALC), w ramach programu lekowego „Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca (ICD-10 C 34)” w III linii terapeutycznej.*



### Dowody naukowe

Odnaleziono 7 wytycznych klinicznych dotyczących leczenia niedrobnokomórkowego raka płuca z rearanżacją genu ALK. Większość wytycznych, a zwłaszcza rekomendacje PTOK 2013 wskazują, iż wybór leczenia powinien być zależny od cech molekularnych nowotworu. U pacjentów z zaburzeniami w genach EGFR i ALK postępowaniem z wyboru jest leczenie ukierunkowane molekularnie, a u pozostałych chemioterapia. Cztery wytyczne (NCCN2018, ESMO2016, ASCO2017, PTOK2013) wyszczególniają w terapii alektynib, najczęściej po niepowodzeniu terapii kryzotynibem. Wytyczne stawiają na równi alektynib z cerytynibem i wybór między nimi zależy od lekarza prowadzącego. Wytyczne ESMO2016 zalecają stosowanie alektynibu w III linii, reszta wytycznych zaleca terapię już w II linii.

Jako komparatory dla ocenianej technologii wybrano stosowanie docetakselu lub pemetreksedu w monoterapii. Zastosowanie alektynibu w porównaniu do chemioterapii wpłynęło na istotne statystycznie wydłużenie czasu wolnego od progresji choroby (PFS). Mediana PFS u pacjentów leczonych alektynibem była prawie 7-krotnie dłuższa niż u pacjentów leczonych chemioterapią. Odnotowano również znacznie mniej przypadków progresji w ośrodkowym układzie nerwowym w porównaniu do chemioterapii. W zakresie jakości życia stosowanie ALC przyczyniło się do istotnego statystycznie obniżenia poziomu odczuwania zmęczenia oraz mniejszego ubytku w zakresie funkcji poznawczych i łysienia. Nie wykazano natomiast znamienych statystycznie różnic odnośnie do występowania ryzyka ciężkich objawów niepożądanych prowadzących do zgonu, do zaprzestania terapii oraz

### Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy i analityków Agencji, z perspektywy płatnika publicznego stosowanie wnioskowanej interwencji (ALC) w miejsce komparatora (CTH) w ramach III linii leczenia NDRP

Refundacja wnioskowanej technologii spowoduje

### Główne argumenty decyzji

Alektynib jest lekiem, który powinien być dostępny w III linii leczenia pacjentów z NDRP u których wykryto rearanżację ALK. Wydano dotychczas 2 pozytywne rekomendacje refundacyjne (PBS 2017 i CADTH 2018) u dorosłych pacjentów z NDRP ALK+, leczonych wcześniej kryzotynibem. W obu podkreślono, że istotnym problemem jest wysoki koszt terapii, warunkując pozytywne rekomendacje wymogiem poprawy efektywności kosztowej.

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.29.2018 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Alecensa (alektynib) w ramach programu lekowego: „Leczenie nie drobnokomórkowego raka płuca (ICD 10 C34) – III linia”. Data ukończenia: 27.09.2018 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.

## 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 96/2018 z dnia 8 października 2018 roku  
w sprawie oceny leku Alecensa (alektynib) w ramach programu  
lekowego: „Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca  
(ICD-10 C34)” – I linia**

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Alecensa (alektynib) kapsułki twarde, 150 mg, 224 kaps., kod EAN: 5902768001143, w ramach programu lekowego „Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca (ICD-10 C34)” – I linia, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia ceny leku*

*Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

### **Uzasadnienie**

#### *Problem decyzyjny*

*Rak płuca jest najczęstszym nowotworem złośliwym na świecie i należy do najgorzej rokujących nowotworów. Ocenia się, że odsetek 5-letnich przeżyć ogółu chorych wynosi ok. 10-14%. W ostatnich latach duże nadzieje budzi wprowadzenie nowych leków w ramach tzw. terapii celowanej, która polega na zastosowaniu leku bezpośrednio oddziałującego na charakterystyczny element komórki nowotworowej. Zastosowanie takiej terapii jest możliwe tylko po szczegółowej ocenie patomorfologicznej i genetycznej. Około 95% wszystkich raków płuca stanowią 4 typy histologiczne: gruczołowy (najczęstszy typ u osób niepalących), płaskonabłonkowy, drobnokomórkowy oraz wielkokomórkowy. Do poddanej analizie grupy pacjentów z rearanżacją kinazy ALK zalicza się 2–6% przypadków niedrobnokomórkowego raka płuca (NDRP). Wykrycie obecności rearanżacji ALK związane jest z wysoką wrażliwością na specyficzne leczenie inhibitorami tej kinazy.*

*Celem analizy jest ocena zasadności objęcia refundacją, należącego do inhibitorów ALK, alektynibu (ALC), w ramach programu lekowego „Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca (ICD-10 C 34)” w III linii terapeutycznej.*



### Dowody naukowe

Celem analizy klinicznej była ocena skuteczności i bezpieczeństwa produktu leczniczego ALC stosowanego u dorosłych pacjentów z zaawansowanym niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NDRP) o podtypie gruczołowym lub wielkokomórkowym lub z przewagą utkania raka gruczołowego lub o nieustalonym podtypie (NOS), z obecnością rearanżacji w obrębie genu ALK, uprzednio nieleczonych systemowo o charakterze paliatywnym. Nie odnaleziono badań bezpośrednio porównujących ALC ze wskazanym przez wnioskodawcę komparatorem: chemioterapią złożoną z pemetreksedu (PEM) stosowanym z cisplatyną (CIS) lub karboplatyną (KAR).

Do analizy klinicznej włączono dwa randomizowane badania kliniczne, porównujące ALC z kryzotynibem (badanie ALEX) oraz badanie porównujące kryzotynib z klasycznym dwulekowym schematem, składającym się z PEM i CIS (badanie PROFILE 1014).

Należy zaznaczyć, że w warunkach polskich, w I linii leczenia zaawansowanego ALK-dodatniego NDRP, jedyną dostępną opcją terapeutyczną jest standardowa chemioterapia. Badania ALEX i PROFILE1014 cechowały się dużą homogennością metodyczną i kliniczną, co umożliwiło przeprowadzenie porównania.

W badaniach wykazano istotną statystycznie przewagę ALC nad PEM + pochodne platyny w odniesieniu do:

- wydłużenia przeżycia wolnego od progresji choroby w ocenie niezależnej komisji (HR = 0,23 [0,15; 0,35]),
- wydłużenia czasu do progresji w ośrodkowym układzie nerwowym (OUN) (HR = 0,10 [0,04; 0,21]),
- ogólnej odpowiedzi na leczenie (RR = 1,80 [1,44; 2,25]).

Pomimo istotnego statystycznie wydłużenia przeżycia wolnego od progresji choroby, w analizie porównawczej nie wykazano znamienych różnic odnośnie do przeżycia całkowitego pomiędzy ALC i PEM + pochodne platyny (HR = 0,62 [0,33; 1,16]). Należy zwrócić uwagę na fakt, że obecność przerzutów do OUN, która powoduje złe rokowanie i krótszy czas przeżycia, wpłynęła na wyniki tego badania. Europejska Agencja Leków zauważyła, że wpływ alektynibu na poprawę wyników leczenia chorych z przerzutami do OUN jest szczególnie przekonujący i ma duże znaczenie kliniczne. W analizowanym programie lekowym pacjenci z przerzutami do OUN nie są objęci programem lekowym.

W zakresie jakości życia, stosowanie ALC przyczyniło się do istotnego statystycznie obniżenia poziomu odczuwania zmęczenia. Nie wykazano natomiast znamienych statystycznie różnic odnośnie do występowania ryzyka objawów ubocznych ogółem, a także prowadzących do zgonu, do zaprzestania terapii oraz ryzyka wystąpienia zgonu uznanego za związany z leczeniem.

W grupie chorych leczonych ALC niższe było ryzyko wystąpienia nudności ( $RR = 0,27 [0,17; 0,44]$ ) oraz wymiotów ( $RR = 0,24 [0,13; 0,47]$ ). Najczęściej występującymi działaniami niepożądanymi w badaniach klinicznych (występującymi  $\geq 20\%$  pacjentów) były zaparcia (35%), obrzęki (30) oraz bóle mięśni (28%).

### Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy i analityków Agencji, z perspektywy płatnika publicznego stosowanie wnioskowanej interwencji (ALC) w miejsce komparatora (CTH) w ramach III linii leczenia NDRP [REDACTED].

Refundacja wnioskowanej technologii spowoduje istotny wzrost wydatków płatnika publicznego.

### Główne argumenty decyzji

Alektynib jest lekiem, który powinien być wykorzystywany w pierwszej linii leczenia pacjentów z NDRP, u których wykryto obecności rearanżacji ALK. Należy podkreślić, że znaczny odsetek odpowiedzi na ten lek odnotowano również w grupie pacjentów z przerzutami do mózgu. Wszystkie odnalezione rekomendacje (NICE 2018, SMC 2018 i CADTH 2018) odnoszą się pozytywnie do stosowania i finansowania leku Alecensa w leczeniu pierwszej linii pacjentów z NDRP. Należy jednak podkreślić, że wszystkie wymienione rekomendacje zwracają również uwagę na znaczne koszty tej terapii, warunkując pozytywne rekomendacje wymogiem poprawy efektywności kosztowej.

Zdaniem Rady, przesłanki farmakoekonomiczne najbardziej uzasadniałyby refundację ALK w drugiej linii leczenia, jednak pod warunkiem, dostępności kryzotynibu w pierwszej linii leczenia. Przemawiają za tym wyniki badania ALEX, w którym brak było zysku w zakresie przeżyć całkowitych, w przypadku stosowania ALK w pierwszej linii leczenia, w porównaniu z kryzotynibem. Większość towarzystw naukowych rekomenduje stosowanie w pierwszej linii leczenia kryzotynibu, w oczekiwaniu na końcowe wyniki badania ALEX.

### **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.4331.28.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku Alecensa (alektynib) we wskazaniu: w ramach programu lekowego »Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca (ICD-10: C34)«”. Data ukończenia: 27.09.2018.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.

## 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

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 269/2018 z dnia 8 października 2018 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Zelboraf (wemurafenib) we wskazaniu: choroba Erdheima-Chester (ICD10: C96.1)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, Zelboraf (wemurafenib), tabletki powlekane 240 mg, we wskazaniu: choroba Erdheima-Chester (ICD10: C96.1), z mutacją BRAF-V600.*

#### Uzasadnienie

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

*Choroba Erdheima-Chester (ECD) to postać histiocytozy nie wywodzącej się komórek Langerhansa, polegającej na niekontrolowanym nacieku limfocytów i histiocytów w szpiku kostnym i innych narządach. Jest to choroba wieloukładowa, objawiająca się zajęciem układu kostnego z bólami kostnymi, a także wytrzeszczem, moczówką prostą, uszkodzeniem nerek i ośrodkowego układu nerwowego i/lub zajęciem układu sercowo-naczyniowego. Jest to choroba bardzo rzadka, zwykle dotyczy mężczyzn między 5 i 7 dekadą życia, ale może także wystąpić u dzieci. Według powołanego eksperta, w Polsce jest 2-8 chorych na ECD. Rokowanie jest zróżnicowane, ale ogólnie gorsze u pacjentów z zajęciem ośrodkowego układu nerwowego. Przed erą interferonu alfa, średnia długość przeżycia po rozpoznaniu wynosiła 19,2 miesiący. Obecnie, śmiertelność wynosi tylko 26%, a 5-letni okres przeżycia wynosi 68%. Chorobę leczy się głównie dużymi dawkami interferonu alfa. Nowym lekiem u osób z mutacją BRAF- V600E jest wemurafenib -inhibitor kinaz, stosowany doustnie.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Jedynie dostępne badanie Diamonda 2017 (jednoramienne, wieloośrodkowe, otwarte, nierandomizowane ) wykazało, że w grupie 18 pacjentów z rozpoznaniem ECD i mutacją BRAF-V600E, po zastosowaniu inhibitora kinaz – wemurafenibu, stwierdzono poprawę u 54,5% pacjentów (częściowa odpowiedź u 50% pacjentów). Całkowita remisja u 4,5% pacjentów), poza tym*



u 40% pacjentów uzyskano stabilizację choroby. Żaden z leczonych wemurafenibem nie miał progresji choroby podczas okresu obserwacji, którego mediana wynosiła 28,8 m-cy.

Nie odnaleziono badań oceniających skuteczność praktyczną wemurafenibu.

#### Bezpieczeństwo stosowania

Wg. Charakterystyki Produktu Leczniczego Zelboraf, do najczęstszych (>30%) działań niepożądanych o dowolnym stopniu nasilenia, związanych ze stosowaniem wemurafenibu należą: bóle stawów, zmęczenie, wysypka, nadwrażliwość na światło, łysienie, nudności, biegunka, ból głowy, świąd, wymioty, brodawczak skóry i hiperkeratoza. Najczęstszymi (≥5%) działaniami niepożądanymi o 3 stopniu nasilenia były: rak kolczystokomórkowy skóry, rogowiak kolczystokomórkowy, wysypka, ból stawów i zwiększenie aktywności gamma-glutamylotransferazy.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Relacja ta jest niemożliwa do ustalenia, gdyż nie ma wystarczających danych klinicznych. Odnaleziono 2 rekomendacje (międzynarodowy Konsensus Ekspertów 2014 oraz PTOK 2013) dotyczące stosowania wemurafenibu w ocenianym wskazaniu.

#### Konkurencyjność cenowa

Zelboraf jest [REDAKTOWANE] od dotychczas w Polsce stosowanych leków w ECD; dotychczas nie ma odpowiedników generycznych.

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

Koszt leku dla jednego pacjenta wynosi [REDAKTOWANE] rocznie.

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

Z analizy wytycznych klinicznych wynika, że ewentualnym komparatorem dla wemurafenibu byłoby zastosowanie imatynibu, który nie jest refundowany ze środków publicznych w przedmiotowym wskazaniu.

#### **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.422.40.2018 „Zelboraf (wemurafenib) we wskazaniu: choroba Erdheima-Chesterera (ICD-10: C96.1)”. Data ukończenia: 2 października 2018 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** 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 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:** Roche Polska Sp. z o.o.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 270/2018 z dnia 8 października 2018 roku w sprawie substancji czynnej amantadyna we wskazaniu pozarejestacyjnym: dyskineza późna u osób dorosłych - leczenie

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną amantadyna we wskazaniu pozarejestacyjnym: dyskineza późna u osób dorosłych – leczenie.*

#### **Uzasadnienie**

*Amantadyna jest lekiem stosowanym jako lek przeciwwirusowy w leczeniu grypy typu A oraz choroby Parkinsona (ze względu na nasilanie przewodnictwa dopaminergicznego). Dyskineza późna u osób dorosłych jest dla amantadyny wskazaniem pozarejestacyjnym. Zgodnie z aktualnymi rekomendacjami, za technologie alternatywne dla amantadyny w ocenianym wskazaniu uważa się inhibitory VMAT (pęcherzykowy transporter monoamin - ang. vesicular monoamine transporter, np. deutetrabenazyna, tetrabenazyna, walbenazyna), klonazepam, Ginkgo biloba oraz głęboką stymulację mózgu. Spośród tych terapii żadna nie jest refundowana we wnioskowanym wskazaniu. Spośród badań dotyczących omawianego zagadnienia, jedynie publikacja Pappa 2010 jest badaniem z randomizacją, dostępnym w wersji pełnotekstowej. Jakość badania Pappa 2010 jest niemożliwa do ustalenia, ze względu na brak kluczowych informacji dotyczących sposobu przeprowadzenia randomizacji oraz niepewność związaną z prawidłowością zaślepienia pacjentów i personelu medycznego. Pierwszorzędowym punktem w badaniu był wynik w skali AIMS (Abnormal Involuntary Movement Scale), uzyskany przez chorego na początku oraz po 2 tygodniach terapii. Zaobserwowano istotne statystycznie różnice pomiędzy grupą kontrolną a grupą leczoną amantadyną, na korzyść terapii aktywnej. Lek wykazuje zadowalającą tolerancję: w badaniu Pappa nie odnotowano żadnych poważnych zdarzeń niepożądanych. Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego, do najczęściej występujących działań niepożądanych amantadyny należą: zaburzenia psychiczne, zaburzenia układu nerwowego, zaburzenia widzenia, kołatanie serca, niedociśnienie ortostatyczne, zaburzenia skóry, bóle mięśni i obrzęk kostek.*

*Wielkość populacji we wnioskowanym wskazaniu oszacowano na 225 osób. Zgodnie z oszacowaniami analityków Agencji miesięczny koszt terapii*





*z perspektywy NFZ dla 1 pacjenta preparatem zawierającym amantadynę wynosi ok. 26 zł, z perspektywy pacjenta koszty miesięczne terapii wynoszą odpowiednio ok. 11 zł.*

*Odnaleziono dwie rekomendacje kliniczne (PTN 2017 i AAN 2018). Wytyczne te zalecają stosowanie amantadyny także w połączeniu z lekami neuroleptycznymi jako uzupełnienie leczenia dyskinez późnych. Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada uznała za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną amantadyna w omawianym wskazaniu pozarejestracyjnym.*

#### **Przedmiot zlecenia**

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLA.4604.569.2018.2.ISO z dnia 12.09.2018 r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie substancji czynnej amantadyna, we wskazaniu pozarejestracyjnym: dyskineza późna u osób dorosłych – leczenie.

#### **Tryb wydania opinii**

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

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr: OT.4320.17.2018 „Amantadyna we wskazaniu: dyskineza późna u osób dorosłych – leczenie”. Data ukończenia: 4 października 2018 r.



Rada **Przejrzystości**

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Opinia Rady Przejrzystości**  
**nr 271/2018 z dnia 8 października 2018 roku**  
**w sprawie substancji czynnej salbutamolom we wskazaniu**  
**pozarejestacyjnym: bradykardia u dzieci do 18 roku życia**

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną salbutamolom we wskazaniu pozarejestacyjnym: bradykardia u dzieci do 18 roku życia.*

**Uzasadnienie**

*Stosowanie salbutamolu w bradykardii u dzieci jest praktykowane przez kardiologów dziecięcych, bowiem opóźnić może wszczęcie układu stymulującego, dotyczy niewielkiej grupy pacjentów ok. 100 rocznie.*

**Przedmiot zlecenia**

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLA.4604.825.2017.3.ISO z dnia 15.06.2018 r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie substancji czynnej salbutamolom, we wskazaniu pozarejestacyjnym: bradykardia u dzieci do 18 roku życia.

**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.), w związku z art. 40 ust. 4 ww. ustawy.

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr: OT.4321.4.2018 „Salbutamolom we wskazaniu: bradykardia u dzieci do 18 roku życia”. Data ukończenia: 3 października 2018 r.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 272/2018 z dnia 8 października 2018 roku w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów, dotyczących profilaktyki i wczesnego wykrywania osteoporozy pierwotnej

#### Problem zdrowotny

*Osteoporoza to choroba szkieletu, charakteryzująca się zwiększonym ryzykiem niskoenergetycznych złamań kości, rozwijająca się zwykle u kobiet po menopauzie, rzadziej u mężczyzn w wieku podeszłym; bywa też następstwem stosowania niektórych leków, najczęściej glikokortykosteroidów (GKS). Szacuje się, że w wysoko rozwiniętych krajach europejskich ok. 40% kobiet 50-letnich do końca życia doznaje  $\geq 1$  złamania związanego z osteoporozą – najczęściej złamania kręgu lędźwiowego, bliższego końca kości udowej, rzadziej kości przedramienia. Ryzyko złamań u mężczyzn jest mniejsze (13-30% do końca życia w przypadku mężczyzn 50-letnich). W Polsce w 2010 r. stwierdzono 2 710 000 złamań osteoporotycznych, z czego ponad 80% dotyczyło kobiet.*

*W większości rekomendacji, za podstawę rozpoznania osteoporozy uznaje się wartość T-score  $\leq -2,5$  zgodną z kryteriami WHO (WFO 2017, ESCEO/IOF 2013 oraz CTFPHC 2010, 2013, AACE/ACE 2016, ACOG 2012). Poszczególne organizacje zwracają uwagę na dodatkowe wskazania, będące podstawą do rozpoznania osteoporozy i wdrożenia leczenia – głównie jest to wystąpienie złamania niskoenergetycznego.*

*Leczenie osteoporozy obejmuje postępowanie nefarmakologiczne i farmakoterapię. Postępowanie nefarmakologiczne obejmuje: redukcję czynników ryzyka, odpowiednie odżywianie, zapewnienie optymalnego stężenia 25(OH)D w surowicy (dieta i ekspozycja na słońce), zapobieganie upadkom, ćwiczenia fizyczne, rehabilitację po złamaniach, zaopatrzenie ortopedyczne oraz walkę z bólem. W leczeniu farmakologicznym stosuje się: wapń, witaminę D, bisfosfoniany, ranelinian strontu, denosumab, teryparatyd, raloksyfen oraz hormonalną terapię zastępczą.*



### Podsumowanie aktualnego postępowania i stanu finansowania ze środków publicznych

W ramach Narodowego Programu Zdrowia na lata 2016-2020 w Polsce realizowany jest cel operacyjny „promocja zdrowego i aktywnego starzenia się”. Realizacja ww. celu ma przebiegać m.in. poprzez: wspomaganie jak najdłuższej aktywności społecznej, zawodowej i rodzinnej osób starszych, dostosowanie systemu opieki zdrowotnej do potrzeb osób starszych, działania edukacyjne oraz prowadzenie działalności naukowo-badawczej i współpracy międzynarodowej związanej ze zdrowiem osób starszych.

Zgodnie z „Wykazem świadczeń gwarantowanych w przypadku porad specjalistycznych oraz warunków ich realizacji” świadczenia gwarantowanego pn. „Porada specjalistyczna – leczenie osteoporozy” udzielać mogą: lekarz specjalista w dziedzinie chirurgii ortopedycznej lub chirurgii urazowo-ortopedycznej, lub ortopedii i traumatologii, lub ortopedii i traumatologii narządu ruchu, lub reumatologii, lub endokrynologii, lub położnictwa i ginekologii albo lekarz specjalista w dziedzinie chorób wewnętrznych. Ponadto, w ww. rozporządzeniu wskazano na konieczność zapewnienia wyposażenia w densytometr DXA do badania kręgosłupa i kości udowej oraz zapewnienia dostępu do badań laboratoryjnych i mikrobiologicznych wykonywanych w medycznym laboratorium diagnostycznym wpisanym do ewidencji Krajowej Rady Diagnostów Laboratoryjnych, USG oraz RTG.

### Podsumowanie rekomendacji

Na podstawie rekomendacji można wyodrębnić trzy główne grupy, do których mogą być skierowane badania w kierunku wczesnego wykrywania osteoporozy: kobiety  $\geq 65$  r.ż., kobiety po menopauzie  $< 65$  r.ż. oraz mężczyźni  $> 50$  r.ż. z dodatkowymi czynnikami ryzyka (w szczególności  $> 70$  r.ż.).

Większość odnalezionych rekomendacji dotyczących populacji kobiet  $\geq 65$  r.ż. wskazuje na zasadność wykonywania badań przesiewowych z wykorzystaniem jedynie badania densytometrycznego (pomiar BMD) (rekomendacje: USPSTF 2018a, ACR 2017, ICSI 2017, ACOG 2012, ESC 2012, NOF 2014, ISCD/IOF 2011). Poprzedzenie densytometrii oceną ryzyka złamania, za pomocą odpowiedniego narzędzia oceny ryzyka złamania (np. FRAX lub QFracture) wśród kobiet  $\geq 65$  r.ż., rekomenduje NICE 2017, NOGG 2017 oraz AACE/ACE 2016. Zastosowanie narzędzia FRAX lub QFracture wraz z densytometrią rekomenduje także SIGN 2017, jednak wskazuje na populacje kobiet  $> 50$  r.ż., u których wystąpiło złamanie niskoenergetyczne.

W odniesieniu do kobiet po menopauzie  $< 65$  r.ż., u których występują dodatkowe czynniki ryzyka złamania tj. niska masa ciała, złamania w przeszłości, stosowanie GKS, choroba lub stan związany z utratą kości, rekomenduje się densytometrię, jako badanie przesiewowe (ACR 2017,

ICSI 2017, ACOG 2012), jednakże większość wytycznych zaleca także poprzedzenie densytometrii oceną ryzyka złamania za pomocą odpowiedniego narzędzia (USPSTF 2018a, NICE 2017, NOF 2014, ISCD/IOF 2011).

Dostępne dowody naukowe, dotyczące populacji docelowej, wieku osób poddawanych badaniu, interwału czasowego pomiędzy kolejnymi badaniami oraz rekomendowanej interwencji wskazują, że badania przesiewowe, mające na celu zapobieganie złamaniom osteoporotycznym, mogą zmniejszać ryzyko wystąpienia złamania szyjki kości udowej u kobiet (grupa poddana ocenie przesiewowej (FRAX+DXA) 2,6% vs. grupa kontrolna 3,5%; HR 0,72; 95%CI: 0,59-0,89) (Viswanathan 2018). W badaniu SALT (Merlijn 2018), w którym brało udział 11 331 kobiet z  $\geq 1$  czynnikiem ryzyka złamania w wieku 65-90 lat, które zostały poddane badaniom densytometrycznym i ocenie złamań kręgow za pomocą narzędzia FRAX, wykazano, że badanie przesiewowe i w konsekwencji zalecone leczenie, nie miało wpływu na czas do wystąpienia pierwszego złamania (HR 0,96 95%CI: 0,86-1,08). Jednak wyniki te należy traktować z ostrożnością, ponieważ są to wstępne wyniki, punkt końcowy w postaci złamań nie został sprecyzowany a także ze względu na krótki okres obserwacji (średni czas 3,9 lat, natomiast horyzont czasowy narzędzia FRAX wynosi 10 lat).

Badania przesiewowe mężczyzn  $>70$  r.ż., z zastosowaniem densytometrii, zalecane jest przez następujące towarzystwa naukowe: ACR 2017, ESC 2012, NOF 2014, ISCD/IOF 2011. U mężczyzn w wieku 50-69 lat, z dodatkowymi czynnikami ryzyka, rekomenduje się ocenę ryzyka złamania za pomocą odpowiedniego narzędzia (np. FRAX) oraz badanie densytometryczne (ESC 2012, NOF 2014, ISCD/IOF 2011). NICE 2017 zaleca, aby badaniom tym poddać mężczyzn  $\geq 75$  lat oraz mężczyzn  $<75$ . r.ż. w przypadku obecności czynników ryzyka, np. złamaniaiskoenergetycznego w przeszłości. Należy jednak zauważyć, że najnowsze wytyczne USPSTF 2018a sugerują, że nie ma wystarczających dowodów naukowych, aby rekomendować badania przesiewowe w jakiegokolwiek grupie wiekowej mężczyzn.

W odniesieniu do określenia interwału czasowego wykonywania badań przesiewowych absorpcjometrii rentgenowskiej o podwójnej energii (DXA), w przypadku braku nowych czynników ryzyka, badania DXA nie powinny być wykonywane częściej niż co 2 lata (NICE 2017). W przeglądzie Viswanathan 2018 nie wykazano korzyści w prognozowaniu złamań, wynikających z powtarzania testów pomiaru gęstości kości w okresie od 4 do 8 lat, po wstępnym badaniu przesiewowym.

Rekomendowanym badaniem stosowanym w rozpoznawaniu osteoporozy jest DXA, która pozostaje złotym standardem służącym wykonaniu pomiaru BMD w rozpoznaniu osteoporozy (WFO 2017, ICSI 2017, AACE/ACE 2016, MCG 2016, ESC 2012, przegląd systematyczny Høiberg 2016). Metoda ta jest także

rekomendowana w monitorowaniu efektów terapii (USPSTF 2018a, AACE/ACE 2016, MCG 2016, ISCD 2015, ESCEO/IOF 2013, ESC 2012). DXA umożliwia pomiar BMD bliższego końca kości udowej, lędźwiowego odcinka kręgosłupa, kości przedramienia lub całego kośćca. Ponadto, są dostępne narzędzia służące ocenie ryzyka występowania osteoporozy - OST, ORAI, OSIRIS, SCORE oraz FRAX (walidowany do populacji polskiej). W większości odnalezionych rekomendacji wskazuje się na FRAX, jako główne narzędzie przesiewowe. W polskich rekomendacjach WFO 2017 wskazuje się na narzędzie FRAX, jako rekomendowane do oceny ryzyka złamania w populacji polskiej. Autorzy dostępnych przeglądów systematycznych, dotyczących narzędzi wykorzystywanych w ocenie ryzyka złamań, zaznaczają, że niezbędne są nadal wysokiej jakości badania RCT, mające na celu ocenę kalibracji tych narzędzi, a także uwzględniające różne grupy pacjentów.

Zgodnie z rekomendacjami, w prewencji osteoporozy mają zastosowanie interwencje o zróżnicowanym charakterze. Podkreśla się znaczenie działań edukacyjnych, w zakresie odpowiedniej diety (podaż wapnia i witaminy D), aktywnego trybu życia, eliminacji używek, bezpiecznej ekspozycji na światło słoneczne oraz utrzymywania odpowiedniego wskaźnika BMI (WFO 2017, NOGG 2017, RACGP 2017, EULAR/EFORT 2016, SOGC 2014, SMS 2013). Dostępne dane, pochodzące z przeglądów systematycznych, nie wskazują na istotne znaczenie powszechnego stosowania suplementacji witaminą D w populacji osób dorosłych bez czynników ryzyka jej niedoboru, w celu prewencji osteoporozy. Ponadto, w przeglądzie Kahwati 2018 (opracowanym na potrzeby rekomendacji USPSTF) nie wykazano zmniejszenia częstości złamań w obrębie kości udowej u osób dorosłych, u których nie stwierdzono niedoboru witaminy D, osteoporozy lub wcześniejszego złamania. W przeglądzie Cochrane (Avenell 2014), stwierdzono, że jest mało prawdopodobne, aby stosowanie, w populacji kobiet po menopauzie i mężczyzn w starszym wieku, samej witaminy D miało wpływ na zapobieganie złamaniom bliższego końca kości udowej. Jednak zaobserwowano, że suplementacja witaminy D, w połączeniu z suplementacją wapnia, może zapobiegać tym złamaniom. W zapobieganiu i leczeniu osteoporozy istotną rolę odgrywa także optymalizacja spożycia białka (1,2 g/kg mc./dz.), potasu (ok. 3500 mg/dz.) oraz magnezu (>300 mg/dz.) (WFO 2017). SIOMMMS wskazuje, że zwiększenie podaży białka u osób z jego niewystarczającym spożyciem, zmniejsza ryzyko wystąpienia złamania biodra wśród osób obojga płci (SIOMMMS 2016).

W przypadku osób z osteoporozą lub zagrożonych jej wystąpieniem rekomenduje się wykonywanie regularnych ćwiczeń fizycznych, które będą dostosowane do indywidualnych potrzeb i możliwości pacjenta (NOGG 2017, RACGP 2017, SMS 2013, AACE/ACE 2016, CTFPHC 2010, 2013). Wyniki odnalezionych przeglądów systematycznych wykazują pozytywne efekty

ćwiczeń fizycznych na poprawę BMD (przeгляд Xu 2016) oraz zmniejszenie liczby osób doświadczających upadków (Guirguis-Blake 2018). Niemniej, w jednym z przeglądów badań RCT (Kastner 2017) nie stwierdzono istotnego statystycznie wpływu żadnej z kompleksowych, wielokomponentowych interwencji (edukacja + informacja zwrotna + kontrola + ocena ryzyka + skryning) na redukcję złamań.

Na podstawie zgromadzonych poniżej danych, wyodrębniono zestaw wskaźników, mogących służyć monitorowaniu oraz ewaluacji programów polityki zdrowotnej (PPZ) z zakresu profilaktyki osteoporozy.

- wskaźniki mające zastosowanie w monitorowaniu: liczba osób, które zgłosiły się na badania przesiewowe w ramach programu; liczba uczestników programu w poszczególnych etapach jego realizacji; liczba osób niezakwalifikowanych do udziału w PPZ z powodu przeciwwskazań lekarskich; liczba osób, które zrezygnowały z udziału w programie w trakcie jego realizacji; liczba osób, które zgłosiły się na badania profilaktyczne realizowane poza programem; liczba porad lekarskich udzielonych w ramach planowanych działań; liczba osób poddanych działaniom edukacyjnym w zakresie osteoporozy; liczba uczestników PPZ, do których skierowane były wyłącznie działania z zakresu edukacji; liczba osób skierowanych do poradni specjalistycznych celem dalszej diagnostyki lub leczenia; liczba osób, u których została wykonana ocena ryzyka złamania; liczba osób, które po przeprowadzonej ocenie ryzyka złamania zakwalifikowano do grupy niskiego, umiarkowanego i wysokiego ryzyka złamania osteoporotycznego (zgodnie z algorytmem narzędzia FRAX); liczba osób, u których wykonano badanie densytometryczne; odsetek pacjentów z wykonanym badaniem BMD; stosunek przebadanych mężczyzn do kobiet.
- wskaźniki mające zastosowanie w ewaluacji: liczba osób z prawidłowym i nieprawidłowym BMD; zmiana wartości BMD (%); odsetek osób, u których stwierdzono osteoporozę w odniesieniu do sytuacji epidemiologicznej w regionie; odsetek osób nowo zdiagnozowanych; liczba uczestników PPZ z wykrytymi zmianami chorobowymi, którzy zostali skierowani do dalszego postępowania medycznego; liczba upadków wśród uczestników programu; liczba złamańiskoenergetycznych wśród uczestników programu; liczba jakichkolwiek złamań wśród uczestników programu; liczba osób, które doświadczyły jednego lub więcej upadku; liczba osób, które doświadczyły jednego lub więcej urazu spowodowanego upadkiem; liczba osób, które doświadczyły upadków zakończonych złamaniem; liczba osób z określonymi czynnikami ryzyka złamania; zmiana poziomu wiedzy nt. osteoporozy; liczba osób, które po przeprowadzonej edukacji zaprzestały palenia papierosów, zmniejszyły spożycie alkoholu; jakość życia (przed i po wdrożeniu PPZ oceniana na podstawie odpowiednich kwestionariuszy).

### Warunki realizacji programów na podstawie rekomendacji

Zgodnie z rekomendacjami WFO 2017, do kompetencji lekarza POZ należy identyfikacja pacjentów zagrożonych złamaniami oraz skierowanie ich do poradni leczenia osteoporozy lub innych specjalistów zajmujących się jej leczeniem. U osób z niskim ryzykiem i bez złamań do kompetencji lekarza podstawowej opieki zdrowotnej (POZ) należą głównie działania profilaktyczne i edukacyjne. Ponadto do zadań lekarza POZ powinna należeć kontynuacja i nadzorowanie leczenia ustalonego przez poradnię leczenia osteoporozy, weryfikacja możliwych działań niepożądanych leków oraz identyfikacja i ewentualna eliminacja nowych czynników ryzyka złamań.

Zadaniem lekarza zajmującego się leczeniem osteoporozy jest potwierdzenie dokonanych złamań, identyfikacja istniejących czynników ryzyka złamań, ustalenie ostatecznego rozpoznania oraz – oparta na diagnostyce różnicowej, densytometrii, obrocie kostnym (optymalnie), określenie równowagi wapniowo-fosforanowej, w tym dobowego wydalania wapnia, stężenia witaminy D w surowicy oraz ostateczna decyzja dotycząca kompleksowej terapii. W rekomendacjach SOGC 2014, ISCD/IOF 2011 ogólnie określono, że ocenę bezwzględnego ryzyka złamania powinni wykonywać pracownicy ochrony zdrowia, klinicyści.

Zgodnie z zaleceniami, konieczne jest pomieszczenie, gdzie będzie można przeprowadzić wywiad lekarski, badanie fizykalne, pomiar wzrostu i masy ciała pacjenta (AACE/ACE 2016, ESCEO/IOF 2013). Potrzebny jest też komputer z kalkulatorem FRAX dla populacji polskiej (WFO 2017). Narzędzia Garvan Fracture Risk Calculator lub Fracture Risk Assessment Tool mogą być przydatne w ocenie potrzeby podjęcia leczenia wśród osób, które nie w pełni wpisują się w ustalone kryteria rozpoznania choroby (RACGP 2017). Konieczna jest też pracownia densytometryczna (WFO 2017, ICSI 2017, USPSTF 2018a, AACE/ACE 2016, MCG 2016, ISCD 2015, ESCEO/IOF 2013, ESC 2012), w której wykonuje się badanie szyjki kości udowej i/lub odcinka lędźwiowego kręgosłupa; w przypadku innych badań obrazowych – pracownia ilościowej tomografii komputerowej oraz ultrasonografii ilościowej (USPSTF 2018a, ISCD 2015, ESCEO/IOF 2013).

Składowe budżetu projektu programów zdrowotnych w przedmiotowym zakresie powinny zawierać: koszt całkowity programu z podziałem na lata realizacji, całkowity koszt jednostkowy na 1 osobę uczestniczącą w programie (w przypadku, gdy w programie występuje kilka interwencji, które są stosowane z podziałem na poszczególne grupy uczestników, sugeruje się określenie kosztu jednostkowego każdej z grup interwencji), koszt jednostkowy wykonanej oceny ryzyka złamania, koszt jednostkowy badania densytometrycznego, koszt akcji informacyjnej z podziałem na poszczególne składowe np. koszt roczny, koszt kampanii medialnej, koszt materiałów informacyjnych, koszt edukacji



*zdrowotnej z podziałem na poszczególne składowe; koszty jednostkowe konsultacji lekarskich, koszt wynajmu pomieszczeń (jeśli zasadne); koszt monitorowania oraz ewaluacji programu, koszty wynagrodzenia personelu realizującego działania programu, źródła finansowania programu (w przypadku partnerstwa w kwestii finansowania należy określić jaki udział będzie mieć finansowanie pochodzące z innego źródła niż budżet jst).*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48aa ust. 4 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu „Profilaktyka i wczesne wykrywanie osteoporozy pierwotnej w ramach programów polityki zdrowotnej”, Warszawa, październik 2018.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Stanowisko Rady Przejrzystości nr 97/2018 z dnia 8 października 2018 roku w sprawie oceny leku Fasentra (benralizumab) w ramach programu lekowego: „Leczenie ciężkiej astmy alergicznej IgE zależnej (ICD-10 J45.0) oraz ciężkiej astmy eozynofilowej (ICD-10 J45)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Fasentra (benralizumab), roztwór do wstrzykiwania w ampułko-strzykawce, 30 mg, 1 amp.-strzyk., 1 ml, kod EAN: 5000456031516, w ramach programu lekowego „Leczenie ciężkiej astmy alergicznej IgE zależnej (ICD-10 J45.0) oraz ciężkiej astmy eozynofilowej (ICD-10 J45)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia kosztów leczenia [REDACTED].

Rada Przejrzystości wskazuje na konieczność zaproponowania korzystniejszej dla płatnika publicznej propozycji instrumentu dzielenia ryzyka.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

Minister Zdrowia zlecił przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT na zasadzie art. 35 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1844 z późn. zm.) w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego: Fasentra (benralizumab), roztwór do wstrzykiwania w ampułko-strzykawce, 30 mg, 1,amp.-strzyk. 1ml EAN: 5000456031516; w ramach programu lekowego: „Leczenie ciężkiej astmy alergicznej IgE zależnej (ICD-10 J45.0) oraz ciężkiej astmy eozynofilowej (ICD-10 J45)”.

##### Dowody naukowe

Analizę efektywności klinicznej benralizumabu przeprowadzono w oparciu o porównanie pośrednie interwencji ocenianej (benralizumab) z mepolizumabem przez wspólną grupę referencyjną, czyli standardowe leczenie przeciwastmatyczne (BSC) na podstawie danych z badań: SIROCCO, CALIMA i ZONDA (BEN+BSC vs PL+BSC) oraz SIRIUS, MENSA i MUSCA (MEP+BSC vs PL+BSC). Porównanie pośrednie BEN+BSC vs MEP+BSC wykazało brak statystycznie istotnych różnic pomiędzy porównywanymi grupami w zakresie analizowanych punktów końcowych, w tym zaostrzeń astmy (także zaostrzeń wymagających wizyty na oddziale ratunkowym lub hospitalizacji); zmian wartości natężonej objętości wydechowej pierwszosekundowej (FEV1) (przed i po podaniu leku rozszerzającego oskrzela); czasu do pierwszego zaostrzenia astmy; pod względem odsetka pacjentów, u których możliwe było zmniejszenie dawki doustnych GKS  $\geq 50\%$  i o 100%. Zarówno stosowanie benralizumabu jak i mepolizumabu, dodanych do standardowej terapii przeciwastmatycznej



skutkuje statystycznie istotną poprawą w zakresie: kontroli objawów wg ACQ-6 Score (w przypadku badań dla BEN) i ACQ-5 Score (w przypadku prób klinicznych dla MEP) oraz jakości życia wg AQLQ (BEN) i SGRQ (MEP).

Analiza profilu bezpieczeństwa, przeprowadzona na potrzeby porównania pośredniego BEN+BSC vs MEP+BSC, wykazała znamienne statystycznie różnice na korzyść MEP, pod względem utraty pacjentów z badania ogółem, zdarzeń niepożądanych prowadzących do rezygnacji z leczenia oraz bólu głowy (jako zdarzenia niepożądanego o częstości  $\geq 5\%$  w jednej z grup). Nie odnotowano różnic pomiędzy porównywanymi grupami między innymi w zakresie: zgonów, utraty pacjentów z badania z powodu zdarzeń niepożądanych, wycofania zgody i innych przyczyny, ciężkich zdarzeń niepożądanych ogółem i związanych z leczeniem. Zdarzenia niepożądane o częstości  $\geq 5\%$ , takie jak: pogorszenie astmy, zapalenie błony śluzowej nosa i gardła, infekcja górnych dróg oddechowych, zapalenie oskrzeli, zapalenie zatok, grypa, ból stawów, ból pleców, kaszel występowały z częstością bardzo zbliżoną w obu porównywanych grupach (BEN+BSC oraz MEP+BSC).

Odnalezione rekomendacje refundacyjne wskazują na zasadność finansowania wnioskowanej technologii (PBAC 2018), jednakże z uwzględnieniem redukcji kosztów do poziomu najtańszego inhibitora IL-5 (CADTH 2018). Dwie inne agencje, IQWiG i NICE, są w trakcie oceny benralizumabu. We wstępnym raporcie NICE zwraca uwagę na zasadność stosowania leku w terapii add-on nieodpowiednio kontrolowanej ciężkiej astmy eozynofilowej, podkreślono także, że charakteryzuje się łatwiejszą metodą podawania w porównaniu z innymi terapiami biologicznymi, chociaż podkreślono brak badań bezpośrednio porównujących benralizumab z mepolizumabem.

#### Problem ekonomiczny

W przeprowadzonej przez AOTMiT analizie, w której wykorzystano dane kosztowe mepolizumabu oszacowane na podstawie Komunikatu DGL NFZ, wykazano, że z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) w horyzoncie dwóch lat, koszty stosowania produktu leczniczego benralizumabu

W analizie przeprowadzonej przez AOTMiT, w której uwzględniono dane kosztowe mepolizumabu na podstawie Komunikatu DGL wykazano, że w przypadku refundacji roczne wydatki płatnika publicznego (budżet NFZ) w wariancie podstawowym niezależnie od uwzględnienia RSS w porównaniu z wydatkami ponoszonymi przy założeniu scenariusza istniejącego.

#### Główne argumenty decyzji

Benralizumab jest lekiem stanowiącym kolejną opcję terapeutyczną w ciężkiej astmie, którego mechanizm działania związany jest z wpływem na działanie IL-5. Dostępne dane wskazują na zadowalającą skuteczność kliniczną. Należy jednakże zauważyć, że benralizumab charakteryzuje się nieco gorszym profilem bezpieczeństwa w stosunku do mepolizumabu, co wymaga uwagi nie tylko z klinicznego punktu widzenia, ale może także wpływać na niedoszacowanie kosztów w analizie ekonomicznej, przy zastosowanej metodzie analitycznej. Ponadto, w chwili obecnej nie są dostępne dane pochodzące z długoterminowych badań na dużej populacji pacjentów. Nieodstępne są także dane pochodzące z bezpośredniego porównania benralizumabu z komparatorem a uzyskane wyniki porównania pośredniego należy traktować z ostrożnością ze względu na: heterogeniczność badań uwzględnionych w porównaniu pośrednim (różnice dot. populacji i czasu dokonywania pomiarów punktów końcowych) oraz brak formalnego testowania równoważności benralizumabu z mepolizumabem. Analiza ekonomiczna wykazała,

że stosowanie benralizumabu będzie wiązało się z [REDACTED]

Biorąc pod uwagę wymienione wyżej zastrzeżenia oraz wyniki analizy ekonomicznej Rada rekomenduje finansowanie wnioskowanej technologii pod warunkiem, że [REDACTED].

#### **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.4331.25.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku Fasentra (benralizumab) we wskazaniu: „Leczenie ciężkiej astmy alergicznej IgE zależnej (ICD-10 J45.0) oraz ciężkiej astmy eozynofilowej (ICD-10 J45)”. Data ukończenia: 26 września 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 ABo 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

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 273/2018 z dnia 8 października 2018 roku  
o projekcie programu „Program kontroli stomatologicznej  
dla uczniów szkół podstawowych działających na terenie Gminy  
Zabierzów w latach 2018-2019”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program kontroli stomatologicznej dla uczniów szkół podstawowych działających na terenie Gminy Zabierzów w latach 2018-2019”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

### Uzasadnienie

*Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Gminę Zabierzów w zakresie profilaktyki stomatologicznej, zakładający przeprowadzenie akcji edukacyjnej (dla dzieci i ich rodziców) i badań stomatologicznych oraz lakowania zębów wśród dzieci uczęszczających do szkół podstawowych na terenie jst (klasy I-VIII – 2 281 osób). Program ma być realizowany w latach 2018-2019. Planowane koszty całkowite programu zostały określone na 120 000 zł. Program w całości finansowany ma być ze środków własnych gminy Zabierzów. W treści projektu przedstawiono mierniki efektywności odpowiadające celom programu i opis jego monitorowania oraz ewaluacji.*

*Opiniowany projekt wpisuje się w następujący priorytet: „tworzenie warunków sprzyjających utrzymaniu i poprawie zdrowia w środowisku nauki, pracy i zamieszkania”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469).*

*Należy zaznaczyć, że AOTMiT opiniowała już podobny projekt programu pod tym samym tytułem, który otrzymała od Gminy Zabierzów pismem WO.2600.11.2018 z dn. 10.04.2018 r. Prezes Agencji wydał w dniu 22 czerwca 2018 r. opinię negatywną (opinia Prezesa Agencji nr 99/2018). W obecnie ocenianym projekcie uwagi zawarte w w/w opinii zostały w większości uwzględnione przez wnioskodawcę.*



**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.441.172.2018 „Regularna kontrola stomatologiczna dla uczniów szkół podstawowych działających na terenie Gminy Zabierzów w latach 2018-2019” realizowany przez: Gminę Zabierzów, Warszawa, październik 2018 oraz Aneksu „Programy profilaktyki próchnicy u dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z listopada 2017 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 274/2018 z dnia 8 października 2018 roku o projekcie programu „Profilaktyka i leczenie odleżyn w Jaworznie”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Profilaktyka i leczenie odleżyn w Jaworznie”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### **Uzasadnienie**

*Program dotyczy ważnego, powszechnego, lecz zbyt często niedostrzeganego problemu zdrowotnego. Planuje wykorzystanie interwencji mających podstawy w wytycznych towarzystw naukowych, poza zaplanowanym masażem, który nie jest rekomendowany w profilaktyce odleżyn. Program nie jest w pełni zgodny z regułą S.M.A.R.T., m.in. brak jest odniesienia do ewaluacji działań edukacyjnych i szkoleniowych personelu. Jego budżet wymaga dopracowania, szczególnie w odniesieniu do „kosztów konsultacji medycznej” i „kosztów zabiegów profilaktyki i leczenia odleżyn”.*

#### **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.441.174.2018 „Profilaktyka i leczenie odleżyn w Jaworznie” realizowany przez: Gminę Miasto Jaworzno, Warszawa, październik 2018.







## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 275/2018 z dnia 8 października 2018 roku

o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) na lata 2019-2024 w powiecie oleckim”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) na lata 2019-2024 w powiecie oleckim”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Oceniany program odnosi się do konkretnego, dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego – profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego, który odgrywa najważniejszą rolę w etiologii raka szyjki macicy.*

*Problem zdrowotny opisany w projekcie programu wpisuje się w priorytety zdrowotne zawarte w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. ws. priorytetów zdrowotnych (Dz. U. 2018 r. poz. 469).*

*Szczepienia z zakresu profilaktyki zakażeń wirusem HPV znajdują się w wykazie szczepień zalecanych, niefinansowanych ze środków znajdujących się w budżecie Ministra do spraw zdrowia, zawartym w Programie Szczepień Ochronnych na rok 2018. Zgodnie z rekomendacjami, rutynowo powinno się szczepić dziewczęta w wieku od 11-12 lat (ACS 2016, ACIP 2015), natomiast po 13 r.ż. zaleca się szczepienie osób, które nie zostały zaszczepione wcześniej lub nie otrzymały pełnego cyklu szczepień (ACS 2016, ACIP 2015, CPS 2007). Jednak część rekomendacji wskazuje wiek 12-15 lat (PTPZ HPV 2008) inne 10-13 r.ż. (NHMRC 2008), 9-13 r.ż. (WHO 2012) czy też 9-18 r.ż. (ATAGI /NHMRC 2014). Zgodnie z Programem Szczepień Ochronnych na 2018 rok szczepienia zaleca się „szczególnie osobom przed inicjacją seksualną”.*

*Wnioskodawca w ramach programu planuje edukację zdrowotną skierowaną do dzieci w wieku 14 lat oraz ich rodziców/opiekunów prawnych, a także wykonanie cyklu szczepień przeciwko zakażeniom wirusem brodawczaka ludzkiego dla 14-letnich dziewcząt z grupy docelowej.*

*W zaleceniach ekspertów oraz w rekomendacjach/wytycznych podkreśla się, że niezbędne jest prowadzenie ustawicznej, rzetelnej edukacji społecznej*



*w zakresie profilaktyki raka szyjki macicy oraz innych zmian wywołanych przez HPV (NYSDH 2013, WHO 2012, ECDC 2012, CCG HPV 2011, PTPZ HPV 2008, CPS 2007).*

*Uwagi zawarte w raporcie AOTMiT głównie odnoszą się do sposobu sformułowania celów programu. Weryfikacji wymagają także informacje dotyczące terminów podania szczepionki czterowalentnej.*

#### **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.441.173.2018 „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) na lata 2019-2024 w powiecie oleckim” realizowany przez: Powiat olecki, Warszawa, październik 2018 oraz Aneksu „Programy przeciwdziałania zakażeniom wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) oraz rakowi szyjki macicy – wspólne podstawy oceny” z listopada 2015.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 276/2018 z dnia 8 października 2018 roku  
o projekcie programu „Program profilaktyki zakażeń wirusami  
brodawczaka ludzkiego (HPV) na terenie Gminy Miasta Gdyni  
na lata 2018-2020”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki zakażeń wirusami brodawczaka ludzkiego (HPV) na terenie Gminy Miasta Gdyni na lata 2018-2020”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

### Uzasadnienie

*Oceniany program odnosi się do konkretnego, dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego – profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego, który odgrywa najważniejszą rolę w etiologii raka szyjki macicy.*

*Problem zdrowotny opisany w projekcie programu wpisuje się w priorytety zdrowotne zawarte w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. ws. priorytetów zdrowotnych (Dz. U. 2018 r. poz. 469).*

*Szczepienia z zakresu profilaktyki zakażeń wirusem HPV znajdują się w wykazie szczepień zalecanych, niefinansowanych ze środków znajdujących się w budżecie ministra do spraw zdrowia, zawartym w Programie Szczepień Ochronnych na rok 2018. Zgodnie z rekomendacjami, rutynowo powinno się szczepić dziewczęta w wieku od 11-12 lat (ACS 2016, ACIP 2015), natomiast po 13 r.ż. zaleca się szczepienie osób, które nie zostały zaszczepione wcześniej lub nie otrzymały pełnego cyklu szczepień (ACS 2016, ACIP 2015, CPS 2007). Jednak część rekomendacji wskazuje wiek 12-15 lat (PTPZ HPV 2008), inne 10-13 r.ż. (NHMRC 2008), 9-13 r.ż. (WHO 2012), czy też 9-18 r.ż. (ATAGI /NHMRC 2014). Zgodnie z Programem Szczepień Ochronnych na 2018 rok szczepienia zaleca się „szczególnie osobom przed inicjacją seksualną”.*

*Wnioskodawca w ramach programu planuje edukację zdrowotną skierowaną do dzieci w wieku 13-14 lat oraz ich rodziców/opiekunów prawnych, a także wykonanie cyklu szczepień przeciwko zakażeniom wirusem brodawczaka ludzkiego dla 13-letnich i 14-letnich dziewcząt z grupy docelowej.*

*W zaleceniach ekspertów oraz w rekomendacjach/wytycznych podkreśla się, że niezbędne jest prowadzenie ustawicznej, rzetelnej edukacji społecznej*



*w zakresie profilaktyki raka szyjki macicy oraz innych zmian wywołanych przez HPV (NYS DH 2013, WHO 2012, ECDC 2012, CCG HPV 2011, PTPZ HPV 2008, CPS 2007).*

*Uwagi zawarte w raporcie AOTMiT głównie odnoszą się do sposobu sformułowania celów programu oraz monitorowania jego efektów. Weryfikacji wymaga także liczba planowanych do zaszczepienia dziewczynek.*

#### **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.441.176.2018 „Program profilaktyki zakażeń wirusami brodawczaka ludzkiego (HPV) na terenie Gminy Miasta Gdyni na lata 2018-2020” realizowany przez: Miasto Gdynię, Warszawa, październik 2018 oraz Aneksu „Programy przeciwdziałania zakażeniom wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) oraz rakowi szyjki macicy – wspólne podstawy oceny” z listopada 2015.