



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.43.2018.LAn

**Protokół nr 41/2018**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 5 listopada 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 Gręziak
2. Konrad Maruszczyk
3. Rafał Niżankowski – prowadził posiedzenie
4. Tomasz Pasierski
5. Jakub Pawlikowski
6. Rafał Suwiński
7. Janusz Szyndler

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. 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 leku INFLECTRA (infliximabum) w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna (chLC) (ICD10 K50)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku VYNDAQEL (tafamidis) w ramach programu lekowego: „Leczenie rodzinnej transtyretynowej polineuropatii amyloidowej (TTR-FAP) (ICD-10 E85.1)”.
4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku CYSTAGON (mercaptaminum) we wskazaniu: cystynoza nefropatyczna (ICD-10 E72.0).
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej: C- Ig\_FISH (zestaw sond) (Cytoplasmic Immunoglobulin FISH) test genetyczny.
6. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
  - 1) „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy Lesznowola”.
  - 2) „Program profilaktyki stomatologicznej dla dzieci uczęszczających do szkół podstawowych na terenie Gminy Aleksandrów”.



- 3) „Program profilaktyki zdrowotnej w zakresie szczepień przeciw rotawirusom” (gm. Pilchowice),
- 4) „Program profilaktycznych szczepień przeciw meningokokom dzieci z Gminy i Miasta Nowe Skalmierzyce na lata 2019-2021”,
- 5) „Program profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Lesznowola powyżej 60 r.ż.”.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego produktu leczniczego Imukin (interferon Gamma-1B) we wskazaniach: pierwotny niedobór odporności – niedobór receptora dla interferonu gamma; określony niedobór odporności – obniżone stężenie IL 12 i INF gamma: obecny receptor INF gamma na monocytach (ICD-10: D84.8).
8. Szkolenie z zakresu metaanaliz.
9. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności utworzenia odrębnej grupy limitowej dla produktu leczniczego Valcyte (valganciclovirum) we wskazaniach: zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom narządów mięszkowych – profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej; zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom nerek – profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 200 dni po przeszczepie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej.
10. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
11. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 1.** Posiedzenie rozpoczęło się o godzinie 10:01.

Rada zdecydowała, że pkt 8. proponowanego porządku obrad zostanie omówiony po pkt 9. Rada jednogłośnie (7 głosów za) przyjęła zmieniony porządek obrad. Żaden z członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Zatwierdzony porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia, omówienie i zatwierdzenie porządku obrad, omówienie konfliktów interesów członków Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku INFLECTRA (infiximabum) w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna (chLC) (ICD10 K50)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku VYNDAQEL (tafamidis) w ramach programu lekowego: „Leczenie rodzinnej transtyretynowej polineuropatii amyloidowej (TTR-FAP) (ICD-10 E85.1)”.
4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku CYSTAGON (mercaptaminum) we wskazaniu: cystynozą nefropatyczna (ICD-10 E72.0).
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej: C- Ig\_FISH (zestaw sond) (Cytoplasmic Immunoglobulin FISH) test genetyczny.
6. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
  - 1) „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy Lesznowola”.

- 2) „Program profilaktyki stomatologicznej dla dzieci uczęszczających do szkół podstawowych na terenie Gminy Aleksandrów”,
- 3) „Program profilaktyki zdrowotnej w zakresie szczepień przeciw rotawirusom” (gm. Pilchowice),
- 4) „Program profilaktycznych szczepień przeciw meningokokom dzieci z Gminy i Miasta Nowe Skalmierzyce na lata 2019-2021”,
- 5) „Program profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Lesznowola powyżej 60 r.ż.”.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego produktu leczniczego Imukin (interferon Gamma-1B) we wskazaniach: pierwotny niedobór odporności – niedobór receptora dla interferonu gamma; określony niedobór odporności – obniżone stężenie IL 12 i INF gamma: obecny receptor INF gamma na monocytach (ICD-10: D84.8).
8. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności utworzenia odrębnej grupy limitowej dla produktu leczniczego Valcyte (valganciclovirum) we wskazaniach: zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom narządów mięszkowych – profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie – w przypadku udokumentowanych przeciwskażeń do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej; zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom nerek – profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 200 dni po przeszczepie – w przypadku udokumentowanych przeciwskażeń do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej.
9. Szkolenie z zakresu metaanaliz.
10. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
11. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 2.** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących leku Inflectra (infliximabum) w ramach programu lekowego dot. leczenia choroby Leśniowskiego-Crohna.

Na posiedzenie przybyli Barbara Jaworska-Łuczak oraz Adam Maciejczyk, którzy nie zadeklarowali konfliktu interesów.

Propozycję stanowiska przedstawiła Barbara Jaworska-Łuczak.

Rada przeprowadziła dyskusję, w której udział brali: Rafał Niżankowski, Janusz Szyndler i Anna Gręziak.

Po sformułowaniu treści stanowiska, w czym udział brali: Rafał Niżankowski i Anna Gręziak, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób za) uchwaliła stanowisko pozytywne (załącznik nr 1 do protokołu).

**Ad 3.** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących leku Vyndaqel (tafamidis) w ramach programu lekowego dot. leczenia rodzinnej transtyretynowej polineuropatii amyloidowej.

Propozycję stanowiska przedstawił Rafał Suwiński. W dyskusji Rady udział wzięli Janusz Szyndler i Rafał Suwiński.

Po sformułowaniu treści stanowiska, w czym udział brali: Rafał Niżankowski i Anna Gręziak, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób za) uchwaliła stanowisko pozytywne (załącznik nr 2 do protokołu).

**Ad 4.** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących leku Cystagon (mercaptopaminum) we wskazaniu: cystynoza nefropatyczna (RDTL).

Propozycję opinii przedstawił Janusz Szyndler.

Rada sformułowała treść opinii, w czym udział brali: Rafał Niżankowski, Janusz Szyndler i Anna Gręziak, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób za) uchwaliła opinię.

W tym miejscu Rada zdecydowała o konieczności wprowadzenia zmian w treści opinii. Po sformułowaniu treści, prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (9 osób za) uchwaliła opinię pozytywną (załącznik nr 3 do protokołu).

**Ad 5.** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej, odnoszącego się do testu genetycznego C-Ig\_FISH, jako świadczenia gwarantowanego.

We wstępnej dyskusji Rady udział brali: Tomasz Pasierski, Rafał Niżankowski, Anna Gręziak, Jakub Pawlikowski, Rafał Suwiński i Adam Maciejczyk.

Rada zapoznała się z propozycją stanowiska przygotowaną przez Tomasza Pasierskiego, po czym przeprowadzono dyskusję i sformułowano treść stanowiska, w czym udział brali: Rafał Niżankowski, Tomasz Pasierski, Anna Gręziak, Adam Maciejczyk, Rafał Suwiński, Janusz Szyndler.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami za, przy 1 głosie przeciw (9 osób obecnych), uchwaliła stanowisko negatywne (załącznik nr 4 do protokołu).

W tym miejscu Rada zdecydowała o zmianie kolejności omawiania tematów – jako następny punkt zaproponowano pkt 7. zatwierdzonego porządku obrad. Rada jednogłośnie zatwierdziła ww. zmianę.

Zmieniony porządek obrad (w zakresie dotychczas nieomawianych tematów):

6. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego produktu leczniczego Imukin (interferon Gamma-1B) we wskazaniach: pierwotny niedobór odporności – niedobór receptora dla interferonu gamma; określony niedobór odporności – obniżone stężenie IL 12 i INF gamma: obecny receptor INF gamma na monocytach (ICD-10: D84.8).
7. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
  - 1) „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy Lesznówola”,
  - 2) „Program profilaktyki stomatologicznej dla dzieci uczęszczających do szkół podstawowych na terenie Gminy Aleksandrów”,
  - 3) „Program profilaktyki zdrowotnej w zakresie szczepień przeciw rotawirusom” (gm. Pilchowice),
  - 4) „Program profilaktycznych szczepień przeciw meningokokom dzieci z Gminy i Miasta Nowe Skalmierzyce na lata 2019-2021”,

- 5) „Program profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Lesznowola powyżej 60 r.ż.”.
8. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności utworzenia odrębnej grupy limitowej dla produktu leczniczego Valcyte (valganciclovirum) we wskazaniach: zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom narządów mięszkowych – profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej; zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom nerek – profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 200 dni po przeszczepie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej.
9. Szkolenie z zakresu metaanaliz.
10. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
11. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 6. (dawniej pkt 7.)** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących leku Imukin (interferon Gamma-1B) we wskazaniach dot. niedoboru odporności (import docelowy).

Propozycję stanowiska przedstawił Adam Maciejczyk.

Wobec braku głosów odmiennych od przedstawionej propozycji, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób za) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

**Ad 7. (dawniej pkt 6.) 1)** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących programu polityki zdrowotnej gminy Lesznowola w zakresie rehabilitacji leczniczej.

We wstępnej dyskusji Rady udział wzięli: Rafał Niżankowski, Konrad Maruszczyk i Anna Gręziak.

Propozycję opinii przedstawił Konrad Maruszczyk.

Wobec braku głosów odmiennych od przedstawionej propozycji, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób za) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

**2)** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących programu polityki zdrowotnej gminy Aleksandrów w zakresie profilaktyki stomatologicznej, a następnie propozycję opinii przedstawił Konrad Maruszczyk.

Rada sformułowała treść opinii, w czym udział brali: Konrad Maruszczyk, Rafał Niżankowski i Janusz Szyndler. Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób za) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

**3)** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących programu polityki zdrowotnej gminy Pilchowice w zakresie szczepień przeciw rotawirusom, a następnie propozycję opinii przedstawił Jakub Pawlikowski.

Po przeprowadzonej dyskusji, w trakcie której głos zabrali: Rafał Suwiński, Janusz Szyndler, Anna Gręziak, Rafał Niżankowski i Jakub Pawlikowski, sformułowano treść opinii. Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób za) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

**4)** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących programu polityki zdrowotnej gminy i miasta Nowe Skalmierzyce w zakresie szczepień przeciw meningokokom, a następnie propozycję opinii przedstawił Jakub Pawlikowski.

Rada sformułowała treść opinii, w czym udział brali: Rafał Niżankowski i Jakub Pawlikowski. Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób za) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

**5)** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących programu polityki zdrowotnej gminy Lesznowola w zakresie szczepień ochronnych przeciwko grypie, a następnie propozycję opinii przedstawiła Anna Gręziak.

W dyskusji Rady udział brali: Rafał Suwiński, Rafał Niżankowski, Anna Gręziak i Konrad Maruszczyk.

Po sformułowaniu treści opinii pozytywnej, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 3 głosami za, przy 6 głosach przeciw, odrzuciła projekt opinii.

Rada sformułowała treść opinii negatywnej, w czym udział brali: Rafał Niżankowski i Anna Gręziak, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za, przy 1 głosie przeciw (9 osób obecnych), uchwaliła opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

**Ad 8.** Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących utworzenia odrębnej grupy limitowej dla leku Valcyte (valganciclovirum) we wskazaniach dot. zakażeń wirusem cytomegalii.

We wstępnej dyskusji Rady udział wzięli: Rafał Niżankowski, Janusz Szyndler, Anna Gręziak i Konrad Maruszczyk.

Propozycję opinii przedstawił Rafał Niżankowski.

Rada sformułowała treść opinii negatywnej, w czym udział brali: Rafał Niżankowski i Anna Gręziak, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (9 osób za) uchwaliła opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

**Ad 9.** Rada uczestniczyła w szkoleniu z zakresu metaanaliz, prowadzonym przez pracowników Agencji.

**Ad 10.** Nie odbyło się losowanie składów Zespołów na kolejne posiedzenia Rady.

**Ad 11.** Posiedzenie zakończyło się o godzinie 15:00.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 109/2018 z dnia 5 listopada 2018 roku

w sprawie oceny leku Inflectra (infliksymb) w ramach programu lekowego: „Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna (ICD-10 K 50)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Inflectra (infliksymb), 100 mg, 1 fiołka proszku, kod EAN: 5909991078881, w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna (ICD-10 K 50)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie. Rada Przejrzystości, z uwagi na wysoki koszt ICUR, [REDACTED].*

*Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*Choroba Leśniowskiego-Crohna (chLC) to przewlekły, zwykle ziarniniakowy proces zapalny, w którym zmiany pierwotne mogą zajmować każdy odcinek przewodu pokarmowego (od jamy ustnej do odbytu). Zmiany mają charakter odcinkowy (tzn. między fragmentami przewodu pokarmowego zmienionymi chorobowo występują odcinki zdrowe), niesymetryczny i pełnościenny. W przebiegu choroby Leśniowskiego-Crohna często występują charakterystyczne powikłania układowe i objawy pozajelitowe.*

*Wniosek dotyczy leczenia choroby Leśniowskiego-Crohna u dzieci i dorosłych w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna (chLC) (ICD-10 K50)” [REDACTED].*

*Warto zawrócić uwagę, że o ile wnioskowane wskazanie obejmujące dorosłych pacjentów jest zbieżne z rejestracyjnym, to w przypadku dzieci i młodzieży wykracza poza rejestrację leku: zgodnie z ChPL Inflectra, lek jest wskazany do leczenia chLC u dzieci i młodzieży wyłącznie w postaci ciężkiej. Pomimo, iż badanie rejestracyjne dla populacji pediatrycznej REACH obejmowało chorych z umiarkowaną do ciężkiej aktywnością choroby, to zgodnie z raportem opublikowanym na stronie EMA, Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP, ang. Committee for Medicinal Products for Human Use) rekomendował objęcie leczeniem pacjentów pediatrycznych z wyłącznie ciężką postacią chLC, zwracając uwagę na niepewność odnośnie do*



bezpieczeństwa leku w dłuższym horyzoncie czasowym, związaną przede wszystkim z ryzykiem wystąpienia przeciwciał anti-infliksymab oraz udokumentowanymi przypadkami młodych pacjentów przyjmujących lek w połączeniu AZA/6-MP, u których rozwinął się hepatospleniczny chłoniak T-komórkowy HSTL.

Ponadto, zapisy proponowanego programu lekowego umożliwią leczenie kobiet w ciąży oraz karmiących piersią, a także rozszerzają kryteria ponownego włączenia do programu o dorosłych pacjentów.

#### Dowody naukowe

W wyniku wyszukiwania odnaleziono 5 pozytywnych rekomendacji odnoszących się bezpośrednio do leku Inflectra (PBAC 2015, HAS 2014, SMC 2014, CADTH 2016 oraz AWMMSG 2014). W rekomendacjach tych wskazywano, aby refundacja leków biopodobnych zawierających infliksymab (Remsima, Inflectra) obejmowała te same wskazania, jak w przypadku leku oryginalnego Remicade i powinna wiązać się ze znacznymi oszczędnościami w porównaniu do oryginalnego leku (CADTH 2016). Większość rekomendacji zaleca finansowanie infliksymabu u pacjentów z ciężką, czynną postacią chLC, którzy nie odpowiedzieli na leczenie kortykosteroidami lub lekami immunosupresyjnymi. Trzy rekomendacje: kanadyjska CADTH 2016, francuska HAS 2012 oraz australijska PBAC 2007 uwzględnia finansowanie infliksymabu także w umiarkowanej postaci choroby (PBAC tylko w populacji pediatrycznej). Należy jednak zwrócić uwagę, że zidentyfikowane zalecenia dotyczące finansowania Remicade opublikowano przed zarejestrowaniem przez EMA wskazania obejmującego umiarkowany przebieg choroby, które miało miejsce w 2011 r.

#### Problem ekonomiczny

W analizie wpływu na budżet wykazano, że objęcie finansowaniem produktu leczniczego Inflectra w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna (chLC) (ICD-10 K50.0)”, będzie wymagać dodatkowych wydatków z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia.

Wyniki analizy inkrementalnej, w najbardziej prawdopodobnym scenariuszu - podstawowym wykazały, iż dodatkowe wydatki, które poniesie NFZ, w związku z finansowaniem infliksymabu, we wnioskowanym wskazaniu (łącznie dla populacji pediatrycznej i pacjentów dorosłych), wynosić będą:

[Redacted content]



*W tym scenariuszu nie uwzględniono możliwego efektu konkurencji pomiędzy producentami w przypadku dopuszczenia do refundacji w programie większej liczby preparatów infliksymabu.*

**Główne argumenty decyzji**

*Produkt leczniczy Inflectra jest obecnie finansowany w programie „Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna (chLC) (ICD-10 K50)”, w związku z czym wnioskowana kategoria refundacyjna, poziom odpłatności oraz grupa limitowa pozostaną bez zmian. Zmiany proponowane w programie lekowym są poparte dowodami naukowymi oraz zgodne z wytycznymi praktyki klinicznej i opiniami ekspertów. Rada na poprzednim posiedzeniu rozpatrywała zasadność objęcia refundacją innego preparatu infliksymabu, pod nazwą Remsima, i zaopiniowała go pozytywnie [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.4331.35.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku Inflectra (infliksymab) w ramach programu lekowego: »Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna (ICD-10 K 50)«”. Data ukończenia: 25 października 2018.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Alvogen Pharma 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:** Alvogen Pharma Sp. z o.o.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 110/2018 z dnia 5 listopada 2018 roku  
w sprawie oceny leku Vyndaqel (tafamidis) w ramach programu  
lekowego: „Leczenie rodzinnej transtyretynowej polineuropatii  
amyloidowej (TTR-FAP) (ICD 10 E85.1)”**

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Vyndaqel (tafamidis), kapsułki miękkie, 20 mg, 30 kapsułek, kod EAN: 5909990919833, w ramach programu lekowego „Leczenie rodzinnej transtyretynowej polineuropatii amyloidowej (TTR-FAP) (ICD 10 E85.1)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie. Jednocześnie, z uwagi na dużą niepewność populacji leczonych chorych, Rada uważa za zasadne wprowadzenie RSS, polegającego na ograniczeniu kwoty przeznaczonej na leczenie tych pacjentów (capping).*

*Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

### **Uzasadnienie**

#### Problem decyzyjny

*Pismem z dnia 21.08.2018 r., znak PLR.4600.744.2018.14.IS (data wpływu do AOTMiT 21.08.2018 r.) 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: „Vyndaqel (tafamidis), kapsułki miękkie, 20 mg, 30 kapsułek, kod EAN: 5909990919833, w ramach programu lekowego „Leczenie rodzinnej transtyretynowej polineuropatii amyloidowej (TTR-FAP) (ICD-10 E85.1)”.*

#### Dowody naukowe

*Rejestracja produktu leczniczego Vyndaqel (tafamidis) oparta była na wynikach wielośrodkowego międzynarodowego badania z randomizacją (Fx-005), w którym oceniano efektywność kliniczną i bezpieczeństwo stosowania tafamidisu w porównaniu z placebo u chorych z rodzinną transtyretynową polineuropatią amyloidową (TTR-FAP). Do badania włączano chorych w I stadium choroby (tj. chodzących samodzielnie) co znalazło właściwe*



odzwierciedlenie w zapisach proponowanego programu lekowego. Wyniki tego badania wskazują, że stosowanie tafamidisu znacząco spowalnia postęp choroby, w tym zwłaszcza upośledzenie sprawności kończyn dolnych oraz spadek masy ciała, czego miarą jest stabilizacja lub poprawa parametru mBMI. Badanie to posiada jednak istotne ograniczenia, gdyż znamiennej statystycznie odpowiedź na leczenie uzyskano wyłącznie przy uwzględnieniu analiz, które nie były analizami zgodnymi z intencją leczenia (ITT analysis). Tylko w ocenie bezpieczeństwa zastosowano regułę analizy ITT. Ponadto, do badania Fx-005 włączono wyłącznie chorych z mutacją Val30Met, podczas gdy proponowany program lekowy zakłada włączenie chorych także z innymi mutacjami.

Ocena skuteczności leku tafamidis, w populacji zbliżonej do proponowanej w programie lekowym (tj. z uwzględnieniem mutacji innych niż Val30Met), była przedmiotem kilku badań jednoramiennych, których wyniki sugerują aktywność leku również w przypadku innych mutacji. Wiarygodność wyników tych badań jest jednak ograniczona z uwagi na brak grupy kontrolnej.

Tolerancja leczenia tafamidisem jest zadowalająca: odnotowane w badaniach zdarzenia niepożądane były głównie o łagodnym lub umiarkowanym nasileniu.

#### Problem ekonomiczny

Rodzinna transtyretynowa polineuropatia amyloidowa jest uważana za chorobę ultra-rzadką: szacuje się, że w Polsce chorobą tą dotkniętych jest kilka rodzin, lecz liczba ta najprawdopodobniej nie oddaje rzeczywistej liczby chorych, którzy wciąż czekają na diagnozę. Eksperti nie są zgodni co do tego, jak duża populacja chorych spełniałaby kryteria włączenia do programu: szacowana przez nich liczba chorych, mogących być w ciągu roku włączona do programu, waha się od jednej do kilkunastu osób. Nie ma jednak pewności, czy poprawa dostępności badań genetycznych genu TTR nie spowoduje znaczącego wzrostu potencjalnych beneficjentów programu. Koszt leczenia preparatem tafamidis jest bardzo wysoki i stosowanie wnioskowanej technologii w miejsce komparatora

, bez względu na perspektywę analizy.

. Ponadto, pomimo potencjalnie niewielkiej liczby chorych mogących kwalifikować się do programu spodziewane obciążenia dla budżetu płatnika publicznego są znaczące. Ponieważ populacja chorych, mogących być włączona do programu, jest trudna do oszacowania RSS powinien chronić płatnika publicznego przed niekontrolowanym wzrostem wydatków związanych z większą niż szacowana przez wnioskodawcę liczbą chorych włączanych do programu.

### Główne argumenty decyzji

*Stosowanie produktu leczniczego Vyndaqel (tafamidis) u chorych z rodzinną transtyretynową polineuropatią amyloidową stanowi jedyną farmakologiczną opcję terapeutyczną o zadowalająco udokumentowanej skuteczności. Lek przyczynia się do hamowania progresji choroby. Jednocześnie, uzyskiwany, dzięki stosowaniu produktu leczniczego Vyndaqel (tafamidis), efekt terapeutyczny jest stosunkowo niewielki i nieadekwatny do prognozowanych kosztów leczenia tym preparatem, pomimo uwzględnienia proponowanego RSS.*

*Z tych powodów Rada przyjęła stanowisko jak wyżej.*

### **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.4331.33.2018 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Vyndaqel (tafamidis) w ramach programu lekowego: »Leczenie rodzinnej transtyretynowej polineuropatii amyloidowej (TTR-FAP) (ICD 10 E85.1)«, data ukończenia: 25 października 2018 oraz erraty do analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4331.33.2018.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 111/2018 z dnia 5 listopada 2018 roku  
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej  
„Test genetyczny C-Ig-FISH (zestaw sond) (Cytoplasmic  
Immunoglobulin FISH) w diagnostyce nowotworów układu chłonnego  
wywodzących się z komórek plazmatycznych”  
jako świadczenia gwarantowanego**

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Test genetyczny C-Ig-FISH (zestaw sond) (Cytoplasmic Immunoglobulin FISH) w diagnostyce nowotworów układu chłonnego wywodzących się z komórek plazmatycznych” jako świadczenia gwarantowanego, w ramach Ambulatoryjnej Opieki Specjalistycznej. Rada uważa za zasadne kontynuowanie finansowania testów genetycznych C-Ig-FISH w ramach leczenia szpitalnego.*

### **Uzasadnienie**

#### Problem decyzyjny

*Szczyzak mnogi stanowi ok. 1% wszystkich nowotworów. Występują w nich często różne mutacje genetyczne mające znaczenie rokownicze, lecz rzadko decydujące o wyborze terapii. C-Ig-FISH stanowi nowoczesne narzędzie diagnostyki genetycznej.*

#### Dowody naukowe

*Dowody naukowe wskazują na przewagę metody C-Ig-FISH nad dotychczas stosowanymi metodami diagnostyki genetycznej. Brakuje dowodów naukowych dotyczących wymiernych skutków zdrowotnych zastosowania metody C-Ig-FISH w tej grupie chorych. Wytyczne PTOK 2013 dopuszczają ocenę stopnia zaawansowania zarówno przy wykorzystaniu klasycznego badania cytogenetycznego, jak i FISH.*

#### Problem ekonomiczny

*W tym wypadku nie można oszacować ICER. Oszacowany koszt stosowania metody u wszystkich chorych w roku 2019 wyniósłby 17 697 804,47 zł (wariant maksymalny).*



**Główne argumenty decyzji**

*Metoda aktualnie dostępna w ramach leczenia szpitalnego (Załącznik nr 7 do Zarządzenia nr 66/2018/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia).*

**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 oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr.: WS.430.4.2018, „Test genetyczny C-Ig-FISH (zestaw sond) (Cytoplasmic Immunoglobulin FISH) w diagnostyce nowotworów układu chłonnego wywodzących się z komórek plazmatycznych”, 31.10.2018 r.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 112/2018 z dnia 5 listopada 2018 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku IMUKIN (interferon  $\gamma$ -1b) we wskazaniach: pierwotny niedobór odporności – niedobór receptora dla interferonu gamma; określony niedobór odporności – obniżone stężenie interleukiny 12 i interferonu gamma: obecny receptor interferonu gamma na monocytach (ICD-10: D84.8)

*Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację, w ramach importu docelowego, produktu leczniczego Imukin, interferon gamma-1b, roztwór do infuzji, ampułki á 100  $\mu$ g/0,5 ml we wskazaniach:*

- *pierwotny niedobór odporności – niedobór receptora dla interferonu gamma (IFN- $\gamma$ );*
- *określony niedobór odporności – obniżone stężenie interleukiny 12 (IL-12) i IFN- $\gamma$ : obecny receptor IFN- $\gamma$  na monocytach (ICD-10: D84.8).*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*Pismami z dnia 21.09.2018 r., oraz z dnia 4.10.2018 r., Minister Zdrowia zlecił zbadanie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Imukin, interferon gamma-1b, roztwór do infuzji, ampułki á 100  $\mu$ g/0,5 ml we wskazaniach:*

- *pierwotny niedobór odporności – niedobór receptora dla IFN- $\gamma$ ;*
- *określony niedobór odporności – obniżone stężenie IL 12 i IFN- $\gamma$ : obecny receptor IFN- $\gamma$  na monocytach (ICD-10: D84.8).*

*Niedobory odporności to stany chorobowe związane z niewydolnością układu immunologicznego. Pierwotny niedobór odporności wywołany jest przez kilkadziesiąt zidentyfikowanych mutacji i zaburzeń genetycznych obejmujących geny odpowiedzialne za syntezę, poziom oraz regulację IFN- $\gamma$  i IL-12. Zaburzenia regulacji i wytwarzania interferonu gamma (IFN- $\gamma$ ) oraz stężenia interleukiny 12 (IL-12) są przyczyną występowania m.in. zespołu chorobowego: Mendelowska nadwrażliwość na zakażenia prątkami (ang: Mendelian Susceptibility to Mycobacterial Disease, MSMD). Rokowanie w tej grupie chorych jest złe, większość chorych umiera przed ukończeniem 10 roku życia.*



Produkt leczniczy Imukin był wcześniej przedmiotem prac Agencji. W 2013 r. Agencja, na zlecenie Ministra Zdrowia, oceniała przedmiotową technologię lekową w 3 wskazaniach: gruźlica prosówkowa o wielomiejscowej lokalizacji, wrodzone niedobory odporności oraz przewlekła choroba ziarniniakowa. Jedno z powyższych wskazań (wrodzone niedobory odporności) obejmuje wskazania aktualnie procedowanego zlecenia MZ. Rada Przejrzystości oraz Prezes Agencji uznali za zasadną refundację preparatu Imukin jedynie we wskazaniu przewlekła choroba ziarniniakowa natomiast za niezasadną refundację preparatu Imukin we wskazaniach: gruźlica prosówkowa o wielomiejscowej lokalizacji oraz wrodzone niedobory odporności.

### Dowody naukowe

W ramach przeprowadzonej analizy rekomendacji klinicznych, wydanych przez organizacje: IDF 2015, UpToDate 2016 i 2017 oraz CSI (Clinical Immunology Society), ustalono, że u pacjentów z wnioskowanymi wskazaniami stosuje się leczenie substytucyjne za pomocą IFN- $\gamma$ . W rekomendacjach zaznaczono, że podawanie IFN- $\gamma$  nie jest zalecane w przypadku stwierdzenia u pacjentów homozygotycznej, recesywnej mutacji genów dla receptorów IFN- $\gamma$ , która skutkuje całkowitym brakiem receptorów dla IFN- $\gamma$ . W żadnej z przytoczonych rekomendacji nie wymieniono bezpośrednio produktu leczniczego Imukin. W ramach wyszukiwania nie odnaleziono również żadnych rekomendacji refundacyjnych dotyczących ocenianej technologii medycznej.

U pacjentów z pierwotnymi niedoborami odporności aktualnie finansowane są terapie immunoglobulinami (w ramach programów lekowych) oraz inne leki (we wskazaniach pozarejestacyjnych): amoksycylina, sulfametoksazol + trimetoprymem, penicylina fenoksymetylowa, mykofenolan mofetylu, worykonazol oraz w ramach katalogu chemioterapii etopozyd. Żadna jednak z powyższych technologii nie jest finansowana bezpośrednio we wnioskowanych wskazaniach. Na podstawie odnalezionych dowodów naukowych nie jest możliwe wskazanie technologii, którą Imukin mógłby zastąpić w praktyce klinicznej.

W ramach oceny skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa uwzględniono 7 publikacji. Są to jedynie opisy przypadków: 6 publikacji pełnotekstowych oraz 1 abstrakt konferencyjny. Opisano w nich łącznie historię leczenia 9 pacjentów. U większości z opisanych pacjentów pierwsze zakażenia diagnozowano w pierwszym roku życia, a wykrycie wad genetycznych następowało zwykle po przeprowadzeniu pogłębionej diagnostyki molekularnej i dopiero wtedy podawano IFN- $\gamma$ . Opisano, że u większości pacjentów po włączeniu do leczenia IFN- $\gamma$  następowała poprawa lub stabilizacja stanu klinicznego, jednak 2 z pacjentów zmarło pomimo prowadzonego leczenia. Najczęściej występującymi działaniami niepożądanymi w trakcie leczenia preparatem Imukin są: biegunki, wymioty, nudności, podwyższony poziom enzymów

wątrobowych (AST, ALT), wysypki, gorączki, bóle głowy, dreszcze, zmęczenie oraz reakcje w miejscu wstrzyknięcia. Nie odnaleziono żadnych dowodów o wyższej wiarygodności. Analizowany wniosek nie został wsparty opinią polskich ekspertów.

#### Problem ekonomiczny

W związku z nieodnalezieniem informacji o potencjalnym komparatorze, w oszacowaniach uwzględniono jedynie koszty produktu Imukin. Oszacowania wykonano dla pojedynczego pacjenta w rocznym horyzoncie czasowym. Na podstawie odnalezionych opisów przypadków oraz wytycznych klinicznych uwzględniono 4 schematy dawkowania oraz powierzchnię ciała osoby dorosłej i dziecka. Stosowanie leku Imukin, przy przyjętych założeniach wiąże się z rocznym kosztem dla płatnika w wysokości: u dorosłych od 70 tys. zł do 628 tys. zł oraz u dzieci od 44 tys. zł do 395 tys. zł na jednego leczonego pacjenta. Zgodnie z art. 39 ustawy o refundacji, produkt sprowadzany w ramach tzw. importu docelowego wiąże się z odpłatnością ryczałtową pacjenta, co pomniejszałoby oszacowany koszt roczny dla płatnika publicznego o: u dorosłych od 57 zł do 510 zł u dzieci od 35 zł do 320 zł na jednego leczonego pacjenta.

#### Główne argumenty decyzji

Głównym argumentem negatywnej oceny jest przede wszystkim brak dowodów naukowych na skuteczność kliniczną ocenianego produktu leczniczego. Obecność jedynie ogólnych rekomendacji trzech towarzystw naukowych (IDF, UpToDate i CSI) w zakresie stosowania leczenia substytucyjnego za pomocą IFN- $\gamma$  pacjentów z wnioskowanymi wskazaniami, nie stanowią wystarczającego uzasadnienia do wydawania rekomendacji przez Radę.

#### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r. poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4311.34.2018 „Imukin (interferon  $\gamma$ -1b) we wskazaniach: pierwotny niedobór odporności – niedobór receptora dla interferonu gamma; określony niedobór odporności – obniżone stężenie interleukiny 12 i interferonu gamma: obecny receptor interferonu gamma na monocytach (ICD-10: D84.8)”. Data ukończenia: 31 października 2018.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 288/2018 z dnia 5 listopada 2018 roku o projekcie programu „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy Lesznowola”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy Lesznowola”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### **Uzasadnienie**

*Niepełnosprawność to długotrwały stan, w którym występują pewne ograniczenia w prawidłowym funkcjonowaniu człowieka. Pojęcie to odnosi się do populacji zróżnicowanych pod kątem rodzaju (kategorii) niepełnosprawności, okresu życia, w którym ona występuje, przyczyny, czy stopnia niepełnosprawności. Tym samym populacji o różnych wymaganiach terapeutycznych, jak również edukacyjnych, czy społecznych.*

*Opiniowany projekt realizuje priorytet: „rehabilitacja” należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).*

*W ramach realizacji programu dla każdego z uczestników zaplanowano 10-dniowy cykl zabiegów kinezyterapii i fizykoterapii, masażu leczniczego, hydroterapii (maksymalnie 5 zabiegów dziennie). Populację docelową programu stanowią mieszkańcy gminy Lesznowola, którzy ze względu na stan zdrowia będą wymagali rehabilitacji. Wnioskodawca nie wskazał ograniczeń wiekowych dla uczestników programu oraz dokładnego wykazu rozpoznań zgodnie z Międzynarodową Statystyczną Klasyfikacją Chorób i Problemów Zdrowotnych ICD-10, jakie uwzględnione zostaną w programie. Natomiast wśród kryteriów kwalifikacji wymienił m.in. wymóg posiadania skierowania od lekarza ubezpieczenia zdrowotnego. Ponadto w treści projektu programu zamieszczono informację, że „osobami kwalifikującymi się do objęcia rehabilitacją są pacjenci, którzy okresowo posiadają utrudnienia w poruszaniu się”.*

*Uwagi zawarte w raporcie AOTMiT głównie odnoszą się do sposobu sformułowania celów programu oraz mierników efektywności.*



**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.441.191.2018 „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy Lesznowola” realizowany przez: Gminę Lesznowola, listopad 2018 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży”, z sierpnia 2016 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 289/2018 z dnia 5 listopada 2018 roku  
o projekcie programu „Program profilaktyki stomatologicznej  
dla dzieci uczęszczających do szkół podstawowych  
na terenie Gminy Aleksandrów”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki stomatologicznej dla dzieci uczęszczających do szkół podstawowych na terenie Gminy Aleksandrów”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

### Uzasadnienie

*Przedmiotowy program odnosi się do konkretnego, dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego – profilaktyki próchnicy zębów, wpisuje się on w priorytety zdrowotne zawarte w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r. poz. 469).*

*Wśród interwencji zaplanowanych przez wnioskodawcę wymienić można: przeglądy stomatologiczne, fluoryzację indywidualną, lakowanie (bruzd I i II zębów trzonowych), uzupełnienie braków położonego laku („u dzieci, które miały wykonany ten zabieg wcześniej”) oraz profilaktykę chorób przyzębia (usuwanie płytki bakteryjnej). Wnioskodawca wskazuje iż „program dotyczyć będzie dzieci w wieku 5-14 lat”. W dalszej części projekt określa, że populację docelową programu stanowią „dzieci w wieku przedszkolnym i uczniowie szkół podstawowych z terenu Gminy Aleksandrów”.*

*Wytyczne (EAPD 2016, FDI 2016, AAPD 2014C, AAPD 2013) jasno wskazują na konieczność przeprowadzania oceny ryzyka wystąpienia próchnicy u każdego pacjenta. Wytyczne (EAPD 2016, FDI 2016, WHO 2016, AAPD 2014, NICE 2014, SIGN 2014, USPSTF 2014) zalecają także przeprowadzanie fluoryzacji podkreślając, że interwencja ta pomaga przeciwdziałać występowaniu próchnicy. Zgodnie z odnalezionymi rekomendacjami lakowanie zalecane jest zarówno w celu zapobiegania powstaniu próchnicy, jak i ograniczenia jej rozwoju (AAPD/ADA 2016, CPS 2016, EAPD 2016, FDI 2016, AAPD 2014B, CDC 2009). Wytyczne (AAPD 2015, AAPD 2013, FPZJU 2004) rekomendują interwencje usuwania płytki nazębnej przez stomatologa.*



*Uwagi zawarte w raporcie AOTMiT głównie odnoszą się do przeformułowania celów program oraz mierników efektywności.*

*Rada uważa dodatkowo za zasadne zweryfikowanie okresu realizacji programu.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.183.2018 „Program profilaktyki stomatologicznej dla dzieci uczęszczających do szkół podstawowych na terenie Gminy Aleksandrów” realizowany przez: Gminę Aleksandrów, listopad 2018 r. oraz Aneksu: „Programy profilaktyki próchnicy u dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny”, z listopada 2017 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 290/2018 z dnia 5 listopada 2018 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki zdrowotnej w zakresie szczepień przeciw rotawirusom” (gm. Pilchowice)

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki zdrowotnej w zakresie szczepień przeciw rotawirusom” (gm. Pilchowice), pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Biegunki rotawirusowe stanowią istotny problem epidemiologiczny oraz kliniczny zarówno w krajach rozwiniętych jak i rozwijających się, stanowią częstą przyczynę hospitalizacji dzieci oraz występują jako zakażenia szpitalne na oddziałach dziecięcych. Programy szczepień przeciw rotawirusom u dzieci dotyczą dokładnie określonego problemu zdrowotnego, któremu można zapobiegać i realizują priorytety zdrowotne: „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom” oraz „poprawa jakości i skuteczności opieki zdrowotnej nad matką, noworodkiem i dzieckiem do lat 3”. Zgodnie z Programem Szczepień Ochronnych (PSO) na 2018 r., szczepienia przeciw rotawirusom są zalecane dzieciom od 6 t.ż. życia do 24 t.ż, ale nie są finansowane ze środków publicznych. Według oceny stanu sanitarno-epidemiologicznego powiatu gliwickiego (na którego terenie leży gmina Pilchowice), w 2016 r. odnotowano 26 zachorowań wywołanych przez rotawirusy, w tym wśród hospitalizowanych pacjentów było 12 dzieci poniżej 2 r.ż.*

*Wyniki badań wskazują, że szczepienia zapobiegają ponad 80% przypadków ciężkiej biegunki rotawirusowej w krajach charakteryzujących się niską umieralnością (zgodnie z klasyfikacją WHO). Szczepionki przeciw rotawirusom są uważane za bezpieczne i dobrze tolerowane, istnieje jednak niskie ryzyko wystąpienia włośnięcia jelita szczególnie w pierwszym tygodniu po szczepieniu (około 1-2 na 100 000 zaszczepionych niemowląt), o czym należy poinformować rodziców, a wszystkie przypadki włośnięcia należy zgłaszać właściwym organom (WHO 2018, CPS 2018). Należy zachować środki ostrożności jeśli u dziecka w przeszłości występowały wady głębokie lub wady jelitowe, przewlekła choroba żołądkowo-jelitowa i ciężka ostra choroba (WHO 2018).*





*Szczepionki przeciwko rotawirusom są rekomendowane przez WHO oraz wiele towarzystw naukowych (WHO 2018, CDC 2018, AGDoH/ATAGI/NHMRC 2018, CPS 2018, AEP/CAV 2011, AAP 2009, ACIP 2009), a także są zgodne z aktualną praktyką kliniczną. Przy monitorowaniu programu należy uwzględnić: liczbę zakażeń żołądkowo-jelitowych u zaszczepionych dzieci na przestrzeni lat oraz liczbę ewentualnych powikłań wynikających ze szczepienia.*

*Opiniowany projekt zawiera wszystkie istotne elementy wymagane dla programu polityki zdrowotnej. Potencjalnym ograniczeniem w dostępności do interwencji może być fakt finansowania jedynie drugiej dawki szczepionki, jednak biorąc pod uwagę aktualny zakres publicznej pomocy finansowej dla rodziców, można zaakceptować częściowe dofinansowanie władz samorządowych do cyklu szczepienia. Należy jednak zwrócić uwagę na niektóre elementy programu, które wymagają niewielkich korekt:*

- w treści opiniowanego projektu programu przedstawiono sytuację epidemiologiczną zakażeń rotawirusowych w skali światowej i krajowej, natomiast nie odniesiono się do danych regionalnych,*
- cel główny został sformułowany w formie działania, co może powodować trudności w zmierzeniu stopnia jego realizacji,*
- tylko dwa cele szczegółowe (tj.: „zmniejszenie liczby zakażeń rotawirusowych u dzieci” oraz „redukcja hospitalizacji i/lub wizyt ambulatoryjnych z powodu zakażeń rotawirusowych u dzieci”) odnoszą się do efektów zdrowotnych, które będą stanowić potwierdzenie skuteczności podejmowanych działań w ramach programu. Pozostałe cele szczegółowe zostały przedstawione w postaci działania, co utrudnia ich ocenę.*

#### **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.441.190.2018 „Program profilaktyki zdrowotnej w zakresie szczepień przeciw rotawirusom” realizowany przez: Gminę Pilchowice, listopad 2018 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki zakażeń rotawirusowych – wspólne podstawy oceny”, październik 2012 r. oraz raportem nr OT.441.124.2018.MiS.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 291/2018 z dnia 5 listopada 2018 roku  
o projekcie programu „Program profilaktycznych szczepień  
przeciw meningokokom dzieci z Gminy i Miasta Nowe Skalmierzyce  
na lata 2019-2021”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktycznych szczepień przeciw meningokokom dzieci z Gminy i Miasta Nowe Skalmierzyce na lata 2019-2021”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

### Uzasadnienie

*Zakażenia wywoływane przez bakterie z gatunku *Neisseria meningitidis*, przebiegające jako ropne zapalenie opon mózgowych lub zakażenie krwi są znaczącą przyczyną uszkodzeń mózgu oraz umieralności. Opiniowany projekt wpisuje się w następujący priorytet zdrowotny: „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii” wymieniony w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469). W ramach realizacji programu zaplanowano przeprowadzenie szczepień ochronnych przeciw *Neisseria meningitidis* dzieci w wieku powyżej 12 miesięcy życia oraz działania edukacyjne. Zgodnie z Komunikatem Głównego Inspektora Sanitarnego w sprawie Programu Szczepień Ochronnych (PSO) na rok 2018 szczepienia przeciwko meningokokom są zalecane, ale nie są finansowane ze środków publicznych. Program finansowany będzie w całości ze środków Gminy i Miasta Nowe Skalmierzyce.*

*Odnalezione dowody naukowe dot. szczepień przeciwko meningokokom wskazują na ich istotną skuteczność kliniczną, szczególnie w populacji o wysokim wskaźniku zapadalności na inwazyjną chorobę meningokokową. Przykładowo, od wprowadzenia rutynowych szczepień przeciwko meningokokom w Wielkiej Brytanii, w przedziale czasu 1998-2008 zredukowano liczbę zachorowań na inwazyjną chorobę meningokokową o blisko 97% (Trotter i wsp. 2009).*

*Przegląd Hale i wsp. (2014), wskazuje na immunogenność i bezpieczeństwo szczepionki p/meningokokowej w zapobieganiu chorobom spowodowanym*



meningokokami typu C i Y oraz H. influenzae typu B u zdrowych niemowląt i małych dzieci. Podkreśla się, że zaszczepienie przeciwko meningokokom nie generuje poważnych konsekwencji zdrowotnych.

Istnieją jednak rozbieżności w rekomendacjach/wytycznych dotyczących przeprowadzania rutynowych szczepień przeciwko meningokokom w wieku przewidzianym przez wnioskodawcę (od 12 m.ż.). Wytyczne FEMS 2007, NCIRS 2009, MLF 2012, STIKO 2014, PHAC 2015 rekomendują tego typu interwencje w proponowanej populacji, natomiast wytyczne ATAGI 2014, CDC 2008, ACIP 2013, AAP 2014 zalecają szczepienia dzieci poniżej 2 roku życia indywidualnie, jedynie w przypadku podwyższonego ryzyka choroby meningokokowej. Ponadto, AAP 2014 podkreśla, że rutynowe szczepienia przeciw meningokokom nie są rekomendowane w populacji dzieci zdrowych od 2 m.ż. do 10 r.ż.

Opiniowany projekt zawiera wszystkie istotne elementy wymagane dla programu polityki zdrowotnej. Należy jednak zwrócić uwagę na niektóre elementy programu, które wymagają ponownej analizy lub korekt:

- z powodu rozbieżności w rekomendacjach odnośnie planowanej do zaszczepienia populacji, rozważyć należy szczepienie przede wszystkim dzieci z grup ryzyka,
- zapisy celu głównego i jednego z celów szczegółowych (nr 5) winny być doprecyzowane, aby ułatwić ich mierzalność,
- wskaźniki efektywności nie odnoszą się do wszystkich celów programu, co uniemożliwia ocenę ich realizacji,
- koszt jednostkowy prawie dwukrotnie przekracza cenę dostępnych na rynku preparatów szczepionek, co winno być uwzględnione w analizie finansowej i planowanych wydatkach na realizację programu.

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.193.2018 „Program profilaktycznych szczepień przeciw meningokokom dzieci z Gminy i Miasta Nowe Skalmierzyce na lata 2019-2021” realizowany przez: Gminę Miasto Nowe Skalmierzyce, listopad 2018 r. oraz Aneksu „Programy profilaktyki zakażeń meningokokowych – wspólne podstawy oceny”, z listopada 2015 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 292/2018 z dnia 5 listopada 2018 roku  
o projekcie programu „Program profilaktycznych szczepień  
ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Lesznówola  
powyżej 60 r.ż.”

*Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Lesznówola powyżej 60 r.ż.”, ze względu na brak danych dotyczących kosztów jednostkowych oraz całkowitego budżetu, a także informacji o wielkości populacji, która będzie objęta programem szczepień.*

### Uzasadnienie

*Projekt programu odnosi się do konkretnego, dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego – profilaktyki grypy i jej powikłań. Wpisuje się w priorytet, wymieniony w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469): „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”.*

*Głównym celem programu jest „zmniejszenie zapadalności na grypę i powikłania grypy wśród osób objętych programem tj. w wieku powyżej 60 lat”. Cele szczegółowe dotyczą zmniejszenia liczby zachorowań na grypę w ogólnej populacji Gminy, wyrównania szans w zakresie dostępu do świadczeń medycznych niefinansowanych ze środków publicznych osób znajdujących się w trudnej sytuacji socjalno-bytowej, zwiększenia świadomości społeczności lokalnej dotyczącej zagrożeń związanych z zachorowaniem na grypę poprzez akcję edukacyjną. Cele nie zostały sformułowane w pełni zgodnie z zasadą S.M.A.R.T.*

*W ramach programu planowane jest wykonanie szczepień przeciwko wirusowi grypy, a także prowadzenie działań edukacyjnych.*

*Realizację programu zaplanowano na lata 2018 - 2022.*

*W projekcie nie określono planowanej liczby osób uczestniczących w programie szczepień. Według danych GUS, Gminę zamieszkuje 4 083 osoby w wieku 60 lat i więcej. Zgodnie z wytycznymi WHO efekt populacyjny w przypadku szczepień*



*przeciw grypie osiągnięty zostaje przy 75% wyszczepialności. Wnioskodawca nie określił, czy zamierza uzyskać wskazany powyżej efekt populacyjny.*

*Akcja informacyjno-edukacyjna ma być skierowana do wszystkich mieszkańców Gminy Lesznówola.*

*W ramach oceny efektywności programu zaplanowano „określenie ilości zachorowań przed i po wprowadzeniu programu”, analizę „ilości powikłań pogrypowych przed i po wprowadzeniu programu” oraz „ilości przeprowadzonych wizyt ambulatoryjnych przed i po wykonaniu programu związanych z zachorowaniami na grypę”.*

*Program ma być sfinansowany z budżetu Gminy Lesznówola, jednak nie zostały oszacowane koszty jednostkowe, ani całkowity koszt programu.*

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.192.2018 „Program profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Lesznówola powyżej 60 r.ż.” realizowany przez: Gminę Lesznówola, listopad 2018 r. oraz Aneksu „Programy profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka – wspólne podstawy oceny”, z lipca 2018 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 293/2018 z dnia 5 listopada 2018 roku w sprawie zasadności utworzenia odrębnej grupy limitowej dla produktu leczniczego Valcyte (valganciclovirum) w różnych wskazaniach

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Valcyte (valganciclovirum) w proszku, w ramach osobnej grupy limitowej, we wskazaniach: zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom narządów mięszowych – profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej; zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepem nerek – profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 200 dni po przeszczepie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej.*

#### **Uzasadnienie**

##### Problem decyzyjny

*Lek Valcyte w postaci tabletek nie może być stosowany u małych dzieci, które wymagają niższych dawek i które nie mogą połykać tabletek. Z uwagi na wzrost liczby transplantacji u małych dzieci stosowanie formy proszkowej umożliwiającej sporządzenie zawiesiny, którą można podawać takim pacjentom. Jednak podmiot odpowiedzialny nie określił populacji, która miałaby być objęta refundacją, w przypadku osobnej grupy limitowej.*

##### Dowody naukowe

*Dostępne dowody wskazują, iż lek Valcyte w formie proszku w działaniu nie różni się istotnie od działania tego leku w formie tabletki.*

##### Problem ekonomiczny

*Wydzielenie osobnej grupy limitowej dla leku w postaci w proszku spowoduje istotny wzrost kosztów dla płatnika publicznego.*



### Główne argumenty decyzji

*Nie jest możliwe, przy tak założonych warunkach dla nowej grupy limitowej, oszacowania populacji pacjentów, którzy mieliby tą postać leku przyjmować, a populacja ta może istotnie wzrosnąć w stosunku do obecnie stosującej tą postać leku.*

### **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 PLR.4604.726.2018.PB z dnia 20.10.2018 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 nr: OT.4320.21.2018 „Utworzenie odrębnej grupy limitowej dla leku Valcyte (walgancyklowir), proszek do sporządzania roztworu doustnego”. Data ukończenia: 02.11.2018 r.