



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Protokół nr 46/2018
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 10 grudnia 2018 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT)

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

1. Anna Gręziak
2. Barbara Jaworska-Łuczak
3. Konrad Maruszczuk
4. Michał Myśliwiec – prowadził posiedzenie w zakresie pkt 8.-15.
5. Rafał Niżankowski – prowadził posiedzenie w zakresie pkt 1.-7. oraz 15.-16.
6. Jakub Pawlikowski
7. Tomasz Romańczyk
8. Rafał Suwiński
9. Piotr Szymański
10. Andrzej Śliwczyński

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku INVOKANA (canagliflozinum) we wskazaniu: leczenie pacjentów dorosłych, w wieku od 18 lat, z niewystarczająco kontrolowaną cukrzycą typu 2, w terapii skojarzonej z innymi lekami zmniejszającymi glikemię z wyłączeniem insuliny.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku FABRAZYME (agalsidasum) w ramach programu lekowego: „Leczenie choroby Fabry'ego (ICD-10 E.75.2)”.
6. Przygotowanie opinii w sprawie oceny propozycji kompleksowych zmian o charakterze systemowym w organizacji diagnostyki nowotworu płuc wraz z proponowaną organizacją leczenia w tym zakresie: „KOMPLEKSOWA OPIEKA ONKOLOGICZNA – MODEL ORGANIZACJI DIAGNOSTYKI I LECZENIA NOWOTWORU PŁUC”.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny zasadności zmiany technologii medycznej w zakresach świadczeń podstawowej opieki zdrowotnej, ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, leczenia szpitalnego: ZMIANA TECHNOLOGII MEDYCZYNYCH W ZAKRESIE DIAGNOSTYKI I LECZENIA NOWOTWORU PŁUC.
8. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program poprawy jakości świadczeń z zakresu opieki paliatywnej i hospicyjnej dla mieszkańców gminy Busko-Zdrój na lata 2019-2023”,



- 2) „Program polityki zdrowotnej - wczesnego wykrywania chorób piersi u kobiet 2019-2021” (m. Kalisz).
9. Przygotowanie opinii nt. zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną furosemidum we wskazaniu: objawowe przerzuty w ośrodkowym układzie nerwowym - profilaktyka i leczenie wspomagające.
10. Przygotowanie opinii nt. zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną aprepitantum we wskazaniu: wczesne lub opóźnione wymioty u osób dorosłych związane z silnie emetogenną chemioterapią z zastosowaniem doksorubicyny i cyklofosfamidu - profilaktyka.
11. Przygotowanie opinii nt. zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną doxazosinum we wskazaniach: przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia; neurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia; nieneurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia.
12. Przygotowanie opinii nt. zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną valganciclovirum we wskazaniach: zakażenia wirusem cytomegalii po transplantacji narządów lub szpiku - leczenie; zakażenia wirusem Ebsteina-Barr po transplantacji narządów lub szpiku - leczenie; zakażenia wirusem cytomegalii po transplantacji narządów lub szpiku – leczenie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej; zakażenia wirusem Ebsteina-Barr po transplantacji narządów lub szpiku – leczenie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej.
13. Przygotowanie opinii nt. zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne:
 - carbamazepinum we wskazaniach: stan po epizodzie padaczkowym indukowanym przerzutami w obrębie ośrodkowego układu nerwowego; napady padaczkowe w bezobjawowych przerzutach do kory ruchowej mózgu - profilaktyka;
 - lamotryginum we wskazaniu: stan po epizodzie padaczkowym indukowanym przerzutami w obrębie ośrodkowego układu nerwowego - postępowanie wspomagające.
14. Przygotowanie opinii nt. zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne:
 - carbamazepinum we wskazaniu: ból u chorych z rozpoznaniem nowotworu - leczenie wspomagające;
 - gabapentinum we wskazaniu: ból inny niż określony w Charakterystyce Produktu Leczniczego - leczenie wspomagające u chorych na nowotwory;
 - ketoprofenum we wskazaniu: ból w przebiegu chorób nowotworowych - w przypadkach innych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego.
15. Przygotowanie opinii nt. wpływu zmiany dawkowania w Charakterystykach Produktów Leczniczych Keytruda (pembrolizumab) oraz Opdivo (niwolumab) na zmianę opinii Rady Przejrzystości nt. zasadności objęcia refundacją ww. leków w dotychczasowych postępowaniach refundacyjnych.
16. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Posiedzenie o godzinie 10:05 otworzył Przewodniczący Rady Rafał Niżankowski.

Andrzej Śliwczyński zgłosił wniosek formalny, dotyczący zasadności omawiania i wydawania uchwał dla wszystkich tematów w ramach koncepcji zmian organizacji i funkcjonowania rehabilitacji leczniczej

w systemie ochrony zdrowia w Polsce przez Radę w pełnym składzie. Rada jednomyślnie zaakceptowała ww. wniosek.

Ad 2. Rada przyjęła jednomyślnie propozycję porządku obrad przedstawioną przez Rafała Niżankowskiego.

Ad 3. Konflikt interesów zgłosiło 2 członków Rady: Tomasz Romańczyk, w odniesieniu do leków Invokana, Keytruda i Opdivo, oraz Rafał Suwiński w odniesieniu do leku Keytruda. Rada jednogłośnie zaakceptowała wniosek o wyłączenie ww. członków Rady z prac w zakresie leków, w stosunku do których występuje konflikt interesów. Żaden z pozostałych członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Ad 4. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.4330.19.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku Invokana (kanagliflozyna) we wskazaniu leczenia pacjentów dorosłych, w wieku od 18 lat, z niewystarczająco kontrolowaną cukrzycą typu 2, w terapii skojarzonej z innymi lekami zmniejszającymi glikemię z wyłączeniem insuliny”.

Propozycję stanowiska przedstawił Michał Myśliwiec, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu stanowiska Rady. Wskazał, że lek należy do nowej grupy leków - inhibitorów kotransportera sodowo-glukozowego. Preparaty te hamują wchłanianie zwrotne glukozy i sodu. Poinformował, że oceniany lek obniża masę ciała i ciśnienie, czym najprawdopodobniej można tłumaczyć istotne statystycznie zwiększenie liczby amputacji kończyn dolnych, zwłaszcza palców, wywołanych zamykaniem podkrytycznego zwężenia miażdżycowego po kanagliflozynie, która jest moczopędna. Z drugiej strony, lek stanowi postęp w zakresie zmniejszania częstości powikłań sercowo-naczyniowych. Preparat skutecznie obniża glukozę, podobnie do sulfonylomocznika, przy czym pochodne sulfonylomocznika są obecnie potępiane przez środowisko diabetologiczne, z uwagi na zwiększanie śmiertelności z przyczyn sercowo-naczyniowych, głównie w zakresie śmierci nagłych. W jego ocenie, inhibitory kotransportera sodowo-glukozowego w niedalekiej przyszłości zastąpią pochodne sulfonylomocznika.

Rada, w ramach dyskusji, zwróciła uwagę, że w cukrzycy większość leków przepisywana jest przez lekarzy Podstawowej Opieki Zdrowotnej (POZ). Powstaje wątpliwość, czy lekarz POZ będzie zachowywał ostrożność przy wypisywaniu leku u pacjentów z ryzykiem stopy cukrzycowej lub osteoporozy, ponieważ amputacje oraz złamania niskoenergetyczne, związane prawdopodobnie z osteoporozą, występują częściej w przypadku zastosowania ocenianego preparatu. Wobec powyższego, postulowano wprowadzenie mechanizmu bezpieczeństwa dla ocenianej technologii. Przytoczono komunikat FDA (ang. Food and Drug Administration, Agencja ds. Żywności i Leków) z 2017 r., nakazujący ostrożność w zakresie stosowania leku, z uwagi na możliwość wystąpienia powyższych, niezwykle rzadkich powikłań. Podkreślono jednak, że ww. komunikat nie oznacza konieczności zaprzestania stosowania leku. Następnie, omówiono kwestię możliwych innych ciężkich powikłań, związanych ze stosowaniem ocenianej technologii, wśród których najczęstsze są zakażenia układu moczowo-płciowego. Zwrócono uwagę, że wskazane byłoby włączanie ocenianego leku do terapii pacjenta przez lekarza diabetologa, który dodatkowo raz w roku powinien kontrolować chorego, w celu przekazania lekarzowi POZ ważnych informacji dot. kontynuacji leczenia. Wskazano jednak na dużą liczebność populacji osób z cukrzycą typu 2 oraz niewystarczającą liczbę diabetologów. Następnie, rozważano zasadność wprowadzenia warunku okresowej kontroli ABI (ang. Ankle Brachial Index, wskaźnik kostka-ramię), TBI (ang. Toe Brachial Index, wskaźnik paluch-ramię) oraz skali FRAX. W dalszej kolejności, Rada omówiła kwestie ekonomiczne, związane

z szacowaną wielkością populacji, dostępnością dawek, odpłatnością pacjentów i opłacalnością kosztową technologii. Rada, w większości, uznała za zasadne finansowanie ocenianego leku. Zwrócono jednak uwagę na zasadność refundowania preparatu także w dawce 300 mg [REDACTED]. Podkreślono także konieczność systematycznego raportowania przez lekarzy działań niepożądanych do urzędów odpowiedzialnych za nadzór nad bezpieczeństwem leków (URPL).

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 1 głosie przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu. W głosowaniu nie brał udziału Tomasz Romańczyk, z uwagi na zgłoszony konflikt interesów.

Ad 5. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.4331.39.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku Fabrazyme (agalzydaza beta) w ramach programu lekowego »Leczenie choroby Fabry'ego (ICD-10 E 75.2)«”.

Propozycję stanowiska przedstawił Andrzej Śliwczyński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu stanowiska Rady. Poinformował, że analogiczny lek, zawierający agalzydazę alfa, w 2018 r. został zaopiniowany pozytywnie zarówno przez Radę, jak i Prezesa Agencji. Dowody naukowe na skuteczność kliniczną w obydwu przypadkach są porównywalne, natomiast obecnie oceniana technologia jest [REDACTED]. W związku z powyższym, zaproponował pozytywne zaopiniowanie wniosku, pod warunkiem wprowadzenia pewnych ograniczeń ekonomicznych. Wskazał także na zasadność refundowania leku w ramach jednego programu lekowego dla wszystkich objętych finansowaniem ze środków publicznych technologii lekowych o tytule: „Leczenie choroby Fabry'ego” oraz w ramach jednej grupy limitowej dla wszystkich technologii lekowych finansowanych ze środków publicznych wykorzystywanych w leczeniu choroby Fabry'ego. Zwrócił uwagę na konieczność określenia wieku pacjentów włączanych do programu lekowego, gdyż lek Fabrazyme stosowany jest u osób od 8 r.ż. [REDACTED]

Rada, w trakcie dyskusji, podkreśliła, że w Polsce dostępnych jest wiele technologii z udokumentowanym wpływem na przeżycie, stosowanych w większych grupach chorych i bardziej efektywnych kosztowo niż oceniana technologia. Biorąc pod uwagę niewielki efekt kliniczny wynikający ze stosowania leku Fabrazyme oraz niezadowalający parametr efektywności kosztowej, niezasadne jest jego finansowanie, szczególnie w kontekście niefinansowania leków o znaczenie większej skuteczności w wielu innych chorobach. Rada omówiła także kwestie związane z finansowaniem ocenianej technologii w innych krajach.

Następnie, Rada przeprowadziła konsultacje z ekspertem z dziedziny nefrologii. Eksperta zapytano o istnienie różnic między lekiem Fabrazyme, a pozytywnie zaopiniowanym lekiem Replagal.

Ekspert zwrócił uwagę na kwestię zalecanej dawki, która dla ww. leków wynosi odpowiednio 1,0 i 0,2. Analiza wyników badań wskazuje, że wyższa dawka działała protekcyjnie znacznie lepiej niż niższa.

Rada podkreśliła, że dostępne dane kliniczne pochodzą z badań obserwacyjnych i z badań sponsorowanych przez producenta leku. Zapytano eksperta, czy i jakie punkty końcowe, które podlegały ocenie, ulegają zauważalnej poprawie u pacjentów i jak można ową „zauważalność” zdefiniować.

Ekspert wskazał na dwie grupy, prowadzące duże badania w Europie – norweską i hiszpańską. Na poziomie nefrologicznym istnieją dwa punkty końcowe – ocena tego, czy leczenie potrafi spowolnić spadek GFR do poziomu fizjologicznego oraz kwestia zapobiegania poprzez leczenie schyłkowej niewydolności nerek. W odniesieniu do pierwszego z ww. punktów końcowych, badania wskazują na stały, stabilny poziom eGFR u osób leczonych. W odniesieniu do drugiego z ww. punktów końcowych poinformował, że nie ma go w dostępnych badaniach obserwacyjnych, z uwagi na niewystarczający okres obserwacji. Odniósł się także do kwestii związanej z kwalifikacją chorych do zabiegu przeszczepienia nerki, podkreślając, że brak wdrożonej terapii enzymatycznej u osoby kwalifikowanej do przeszczepienia będzie skutkować zmianami w nerce przeszczepionej, analogicznymi do zmian w nerce własnej.

Rada zapytała, czy istnieje wskaźnik, na podstawie którego możliwe byłoby wyłączenie chorego z programu lekowego, z uwagi na nieskuteczność leczenia oraz w jakiej perspektywie czasowej powinien być on oceniany.

W odpowiedzi ekspert poinformował, że na chwilę obecną mierzalne są zmiany morfologiczne występujące w nerce. Biopsja nerki pozwala uzyskać precyzyjną odpowiedź w zakresie cofania się, utrzymywania się lub postępowania zmian. Pośrednimi wykładnikami mogą być badania skierowane na podocyty. W jego ocenie, najkrótszy możliwy okres obserwacji powinien wynosić 2 lata. Podkreślił, że coroczne wykonywanie biopsji nerki stanowiłoby zagrożenie dla chorych. Dodał, że można mierzyć poziomy enzymów lub elementów, które się odkładają, jednakże są to elementy pośrednie. Ponadto, co pół roku można dokonywać monitoringu wartości filtracji kłębuszkowej, co pozwoli stwierdzić zmiany w funkcji nerek.

Następnie, Rada przeprowadziła konsultacje z przedstawicielem pacjentów, który wskazał, że większość osób ze stowarzyszenia, zrzeszającego ludzi z chorobą Fabry'ego, nie ma dostępu do skutecznego leczenia terapią enzymatyczną. Obecnie tylko 16 osób, w różnym wieku, które dawniej zostały zakwalifikowane do badań klinicznych, charytatywnie otrzymuje lek Fabrazyme. Dzieci otrzymujące lek od 8-10 r.ż. rozwijają się jak ich rówieśnicy. Rozpoczęcie leczenia we wczesnych stadiach choroby daje szansę na całkiem normalne życie i pozwala uniknąć nieodwracalnych uszkodzeń w organizmie. Osoby, u których terapię wdrożono w średnim wieku odczuwają zdecydowaną poprawę zdrowia. Zmniejszyły się u nich dolegliwości bólowe, choroba wolniej postępuje, a komfort i jakość życia uległy poprawie. Osoby te są czynne zawodowo i społecznie. Przedstawiciel zwrócił uwagę, że choć koszty terapii są wysokie, to leczenie objawów, a nie choroby generuje równie wysokie wydatki i jest nieskuteczne.

Po zakończeniu konsultacji, Rada omówiła kwestie związane z QALY. Zwrócono uwagę na konieczność monitorowania skuteczności terapii i określenia precyzyjnych i mierzalnych kryteriów wyłączenia z programu lekowego. Wskazano na dużą wartość, jaką stanowi szansa na prowadzenie normalnego życia dzięki stosowaniu terapii, przy czym podkreślono, że nie ma dowodów naukowych potwierdzających możliwość osiągnięcia takiej sprawności. Z drugiej strony, uznano zasadność innego podejścia do wyników badań odnoszących się do chorób związanych z zaburzonym procesem fizjologicznym, którego konsekwencje narastają przez wiele lat, ponieważ w takim przypadku efekty są rozłożone na wiele lat i składają się one z „podefektów”, przez co nie są wyraźne. Obecnie dostępne wyniki wskazują, że wraz z wydłużaniem czasu obserwacji efekt będzie rósł. Następnie, Rada omówiła kwestię kosztów pośrednich i bezpośrednich. Rada, w większości, przychyliła się do propozycji pozytywnego zaopiniowania wniosku.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 2 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

Ad 6. Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z opracowania analitycznego nr: WS.434.4.2018 „Kompleksowa opieka onkologiczna – model organizacji diagnostyki i leczenia nowotworów płuca”.

Rada, w trakcie dyskusji, zwróciła uwagę na pewne kwestie w zakresie ocenianej propozycji modelu:

1. Ośrodkami prowadzącymi Lung Cancer mają być ośrodki torakochirurgiczne, których w Polsce jest 30. Zdaniem Rady, jest ich zbyt mało, żeby przejąć całą diagnostykę i leczenie w zakresie raka płuca. Ponadto, w zaproponowanym modelu brakuje zapisów odnoszących się do karty DiLO i leczenia onkologicznego, zakładającego możliwość wystawienia karty na różnych poziomach.
2. Projekt ma, w ocenie Rady, charakter organizacyjny i nie powinien być traktowany jako oddzielne świadczenie gwarantowane.
3. Rak płuca jest najczęstszym nowotworem, jednak w zakresie tej choroby zaszła zmiana, polegająca na podziale na grupy chorób rzadkich – postaci raka drobnokomórkowego, raka płaskonabłonkowego, raka gruczołowego wielkokomórkowego, które także rozpadły się na grupy rzadkich schorzeń z określonymi zmianami molekularnymi. Obecny system nie jest do końca przygotowany na ww. zmianę. Intencją autorów proponowanego programu była prawdopodobnie chęć skupienia działań diagnostycznych w ośrodkach wysoce specjalistycznych. Należy pamiętać, że diagnostyka ma pewne etapy, a skupienie całości w ośrodkach specjalistycznych wydaje się nierealne. Podstawowa diagnostyka raka płuca może być wykonywana nawet na poziomie lekarza rodzinnego.
4. Program nie uwzględnia specyfiki leczenia skojarzonego: chemioterapii, radioterapii i immunoterapii, co obecnie stanowi wyzwanie w terapii raka płuca. Podkreślono, że leczenie skojarzone chorych na raka płuca powinno być prowadzone w ośrodkach specjalistycznych.
5. Podstawą wnioskowania powinny być dowody na skuteczność proponowanych koncepcji i wynikające z wdrożenia nowych rozwiązań korzyści w zakresie leczenia raka płuca.
6. Wartościowe jest poprawianie organizacji leczenia tych nowotworów, w przypadku których wdrożenie szybkiego leczenia pozwala uzyskać wyraźną różnicę wyników w stosunku do wolnego leczenia. Rada zakwestionowała kompletność przedstawionych analiz w tym zakresie. Z drugiej strony, najważniejsza jest prawidłowa diagnostyka, nawet jeśli jest ona długotrwała, ponieważ pozwala prowadzić leczenie w sposób prawidłowy. Najważniejszą kwestią do rozstrzygnięcia jest to, czy opieka terapeutyczna ma być multidyscyplinarna i zorganizowana, czy też powinna być prowadzona w sposób niezorganizowany. Są dowody naukowe potwierdzające, że prowadzenie terapii o charakterze opieki multidyscyplinarnej przynosi wymierny zysk, jednakże dotyczy to zaawansowanych stadiów choroby. We wczesnych stadiach ważna jest wczesna diagnostyka oraz leczenie torakochirurgiczne z leczeniem adiuwantowym. Wskazano, że nowoczesne leczenie przynosi rezultaty, czego miarą są wyniki badań randomizowanych z wykorzystaniem nowych technologii, wskazujące na dłuższe przeżycia u chorych, w porównaniu ze stosowaniem terapii standardowych.
7. Projekt ustrukturyzowania opieki uznano za zasadny, niezależnie od zmiany skuteczności leczenia. Korzystne jest bowiem określenie uporządkowanej ścieżki, po której pacjent będzie się poruszał. Struktura rozproszona nie nadaje się do zarządzania – niemożliwe jest dokonanie oceny, wprowadzenie wewnętrznych procedur, prowadzenie rejestrów.

8. Wątpliwa jest skuteczność programu przy obecnej liczbie torakochirurgów w Polsce. Centralizacja spowoduje, że część ośrodków, w których pracują torakochirurdzy wypadnie z systemu, co skutkuje zmniejszeniem dostępności do ich usług.
9. Zaproponowany model stanowi powielenie modeli, dotyczących innych rozwiązań dostępnych w ramach Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ). W zakresie wymogów formalnych dla ośrodków realizujących i współpracujących istnieje wiele zastrzeżeń, szczególnie w kontekście dostępnych w Polsce ośrodków, ich zasobów i kadr. Podkreślono także, że w Polsce nie ma ośrodka z pracownią endoskopii z możliwością wykonania TBNA (ang. – transbronchial needle aspiration, przezoskrzelowa biopsja apiracyjna), EBUS (ang. endobronchial ultrasound, badanie bronchofiberoskopowe z ultrasonografią wewnątrzoskrzelową) i EUS (ang. endoscopic ultrasound, ultrasonografia endoskopowa).
10. Zdaniem Rady, projekt wymaga dopracowania w zakresie kwestii organizacyjnych. Wątpliwe jest założenie wykonywania leczenia zabiegowego raka płuca na oddziałach chirurgii klatki piersiowej. Istnieje uzasadnienie dla wykonywania tam dużych zabiegów, jednak drobne zabiegi powinny być wykonywane gdzie indziej, aby nie pogorszyć dostępności terapii dla pacjentów, z uwagi na ograniczoną liczbę torakochirurgów mogących wykonywać zabiegi. Możliwe będzie zmniejszenie kosztów wynikających z konieczności powtarzania badań oraz przyspieszenie diagnostyki, choć wszystkie te możliwości są zawarte w karcie DiLO. Leczenie może być natomiast utrudnione, ponieważ nie każdy ośrodek torakochirurgiczny, który będzie ośrodkiem kompetencyjnym, będzie miał onkologię czy radioterapię.
11. W przedstawionych analizach brakuje informacji o rzeczywistych zasobach organizacyjnych, tj. zasobach osobowych i wykonawczych poszczególnych ośrodków. Rodzi to wątpliwości, czy propozycja jest akceptowalna z punktu widzenia wykonawczego. Ponadto, dostępne zasoby powinny zostać przeanalizowane pod kątem poszczególnych typów nowotworu płuca.
12. Przedstawiony model jest częściowy, nie zawiera bowiem informacji dotyczących systemu zarządczego. Nie wiadomo kto i w jaki sposób będzie zarządzał systemem oraz prowadził audyt.
13. W przedstawionej propozycji brakuje projektu badań przesiewowych i prowadzenia działań profilaktycznych.
14. Chorzy na raka płuca jedynie w 20%-30% przypadków są leczeni chirurgicznie. Zaproponowany program kładzie duży nacisk na torakochirurgię, podczas gdy wydają się zaniedbane niektóre elementy dot. terapii skojarzonej bez udziału leczenia chirurgicznego, której poddawanych będzie większość chorych.
15. Niewystarczająco zaakcentowana została kwestia monitorowania i ewaluacji przestrzegania zaleceń terapeutycznych.
16. Zasadne byłoby przeprowadzenie programu pilotażowego w wybranych województwach. Obecnie posiadane informacje, chociażby w zakresie kosztów, uniemożliwiają podjęcie decyzji o wdrożeniu modelu w skali ogólnokrajowej.
17. Kluczowe wydaje się określenie w pierwszej fazie standardów postępowania i wyposażenia, nie zaś struktury, tj. ośrodków.

Rada przeprowadziła konsultacje z przedstawicielem pacjentów, którego zapytano, jakie zmiany zaistnieją po stronie pacjenta po wdrożeniu proponowanych rozwiązań. W pierwszej kolejności, odniósł się do obecnie funkcjonującego systemu opieki nad pacjentami z rakiem płuca, wskazując m. in. na niezwykle rozproszony charakter struktury, przenikanie się kompetencji, względnie skoncentrowaną torakochirurgię. Ośrodki onkologiczne biorą na siebie przede wszystkim ciężar leczenia systemowego, konieczne jest rozproszenie ośrodków, w których odbywa się leczenie radioterapeutyczne, zgodnie z wnioskami z map potrzeb zdrowotnych. W zakresie optymalizacji opieki nad pacjentami z rakiem płuca, zaproponowany projekt opieki kompleksowej daje 3 główne

korzyści: ustrukturyzowanie opieki oraz zapobieganie dalszej dezintegracji procesu diagnostyczno-terapeutycznego, o ile projekt zostanie uzupełniony przyjętymi wytycznymi postępowania diagnostyczno-terapeutycznego; prowadzenie lepszej kontroli i zarządzania interwałami pomiędzy poszczególnymi etapami diagnozy i leczenia, ponieważ obecnie pacjent sam musi organizować ww. etapy; dokonanie faktycznej oceny jakości i efektywności opieki w poszczególnych ośrodkach na podstawie wykorzystania Krajowego Rejestru Raka Płuca.

Rada zapytała, czy zasadne byłoby wprowadzenie w pierwszej kolejności wytycznych, do których powinny zostać ocenione potrzeby w porównaniu z zasobami, a następnie tworzenie rozwiązań organizacyjnych.

W odpowiedzi przedstawiciel pacjentów stwierdził, że prawdopodobnie trwają prace nad wytycznymi dla raka płuca. W jego opinii, nie powinno się wstrzymywać jednego procesu dla drugiego. Biorąc pod uwagę długi termin związany z nowelizacją rozporządzenia koszykowego, wydaje się, że możliwa będzie synchronizacja obydwu rozwiązań.

Po zakończonych konsultacjach, członek Rady złożył wniosek o odłożenie ostatecznej decyzji Rady w zakresie tematów z pkt. 6. i 7. porządku obrad, do czasu uzupełnienia danych analitycznych, przedstawionych w raportach. Obydwa tematy powinny zostać przeniesione na kolejne posiedzenie Rady. Rada w większości zaakceptowała ww. wniosek. Rada, stwierdziła, że przedstawione materiały nie są wystarczające do wydania uchwały w zakresie, którego dotyczy zlecenie i podkreśliła konieczność uzupełnienia analiz o:

- rozdział nowotworu płuca na poszczególne typy i określenie sposobów postępowania w przypadku każdego z nich;
- uwzględnienie monitorowania i ewaluacji zaleceń diagnostyczno-terapeutycznych;
- określenie studium wykonalności – porównanie wymaganych i posiadanych zasobów;
- uwzględnienie koordynacji z kartą DiLO;
- uwzględnienie odrębnego finansowania projektu w odniesieniu do jego części administracyjnej, koordynacyjnej i zarządczej, w tym m. in. kosztów: personelu zarządzającego, kosztów szkoleń, księgowości i zamówień, a także wsparcia obsługi technologii informatycznych.

Ad 7. Ten punkt porządku obrad nie był omawiany na posiedzeniu, z uwagi na złożony wniosek o rozpatrywanie zagadnienia na innym posiedzeniu Rady, po uzupełnieniu danych analitycznych.

Ad. 8. 1) W tym miejscu na posiedzenie przybyła Barbara Jaworska-Łuczak, która złożyła odpowiednie oświadczenie dotyczące konfliktu interesów.

Rafał Niżankowski przekazał prowadzenie posiedzenia Michałowi Myśliwcowi.

Następnie, propozycję opinii przedstawiła Anna Gręziak, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponowała opinię pozytywną. W jej ocenie, projekt stanowi uzupełnienie świadczeń z zakresu stacjonarnej opieki hospicyjnej, przede wszystkim poprzez zwiększenie zatrudnienia w stosunku do minimalnych wymaganych norm. Projekt zakłada także możliwość spotkań pacjentów z rodzinami, w obecności terapeuty zajęciowego lub psychologa. Następnie, odniosła się do planowanej populacji docelowej, czasu trwania projektu oraz kosztów związanych z realizacją programu i możliwości uzyskania dofinansowania ze strony NFZ.

Rada, w trakcie dyskusji, wskazała na zasadność wprowadzenia warunku, dotyczącego gwarancji realizacji programu nawet w sytuacji, w której gmina nie otrzyma dofinansowania ze strony NFZ.

Następnie, analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.441.206.2018 „Program poprawy jakości świadczeń z zakresu opieki paliatywnej i hospicyjnej dla mieszkańców gminy Busko-Zdrój na lata 2019-2023”.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu. W głosowaniu nie brali udziału: Rafał Niżankowski, Piotr Szymański.

Ad 9. Propozycję opinii przedstawiła Barbara Jaworska-Łuczak, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii Rady. Podkreśliła, że w stosunku do poprzedniej oceny nie odnaleziono nowych przeglądów systematycznych, badań klinicznych z grupą kontrolną oraz rekomendacji, które odnosiłyby się do skuteczności, bezpieczeństwa i zasadności stosowania w praktyce leczniczej ocenianej technologii. Nowe wytyczne nie odnoszą się ani do furosemidu, ani do diuretyków. Z dostępnej literatury i odnalezionych rekomendacji klinicznych wynika jednak, że przeciwobrzękowe leczenie farmakologiczne stanowi rutynę w postępowaniu z przerzutami do mózgu i w tym celu najpowszechniej stosowane są leki steroidowe. Niektóre źródła wskazują, że oprócz leków steroidowych stosowane są również diuretyki osmotyczne oraz diuretyki pętlowe, w tym właśnie furosemid. Potwierdzają to przedstawione w raporcie AOTMiT z 2015 r. opinie polskich klinicystów, którzy jednoznacznie wskazali na zasadność finansowania furosemidu w przypadku występowania podwyższonego ciśnienia wewnątrzczaszkowego w przebiegu nowotworów ośrodkowego układu nerwowego. Zdaniem Konsultanta Krajowego ds. neurologii, furosemid od lat jest stosowany przez neurologów i neurochirurgów w leczeniu objawów obrzęku mózgu, który bardzo często towarzyszy zmianom przerzutowym. Z uwagi na powyższe, kontynuację refundacji uznała za zasadną.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu. W głosowaniu nie brali udziału: Rafał Niżankowski, Piotr Szymański.

Ad 10. Propozycję opinii przedstawiła Barbara Jaworska-Łuczak, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii Rady. Kontynuację refundacji produktów leczniczych zawierających substancję czynną aprepitant uznała za zasadną. Poinformowała, że poprzednia pozytywna opinia Rady opierała się na wynikach badań klinicznych, codziennej praktyce leczniczej oraz opiniach ekspertów, potwierdzających skuteczność i bezpieczeństwo w ocenianych wskazaniach. Jednocześnie Rada uważała za zasadne obniżenie ceny technologii, która była znacznie wyższa niż w przypadku ondansetronu. Aktualizacje wytycznych w profilaktyce i leczeniu nudności i wymiotów u pacjentów stosujących antybiotyki, rekomendują stosowanie schematów trójlekowych i czterolekowych z zastosowaniem aprepitantu.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu. W głosowaniu nie brali udziału: Rafał Niżankowski, Piotr Szymański.

Ad 11. Propozycję opinii przedstawił Tomasz Romańczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii Rady. Poinformował, że od poprzedniej opinii Rady ukazało się kilka publikacji. W aktualizacjach międzynarodowych wytycznych oraz nowych

wytycznych sekcji pediatrycznej PTNT (Polskie Towarzystwo Nadciśnienia Tętniczego) nie wymienia się leków z grupy blokujących receptory α -adrenergiczne, której przedstawicielem jest doksazosyna, jako rekomendowanych w leczeniu nadciśnienia tętniczego w przebiegu przewlekłej choroby nerek u dzieci. Omówił kwestie związane z wytycznymi oraz badaniami klinicznymi, odnoszącymi się do leczenia neurogennej i nieneurogennej dysfunkcji pęcherza u pacjentów pediatrycznych. Mimo braku badań z randomizacją, istnieją zalecenia do podejmowania leczenia z jednoczesowym stosowaniem zasad uroterapii standardowej. Zaproponował kontynuowanie refundacji w zakresie neurogennej dysfunkcji pęcherza u dzieci do 18 roku życia oraz nieneurogennej dysfunkcji pęcherza u dzieci do 18 roku życia. W odniesieniu do przewlekłej choroby nerek u dzieci do 18 roku życia refundacje uznał za niezasadną.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu. W głosowaniu nie brali udziału: Rafał Niżankowski, Piotr Szymański.

Ad 12. Propozycję opinii przedstawił Tomasz Romańczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii Rady. Poinformował, że przygotował 2 projekty opinii: pozytywnej oraz częściowo pozytywnej, tj. odnoszącej się do ograniczonych wskazań. Od czasu poprzednio wydanej opinii Rady, opublikowano 2 rekomendacje dotyczące leczenia zakażenia wirusem CMV (wirus cytomegalii) u pacjentów po przeszczepie. Nie ma natomiast żadnych rekomendacji dotyczących leczenia zakażeń wirusem EBV (wirus Epsteina-Barr) po transplantacji narządów oraz rekomendacji dotyczących leczenia zakażeń wirusem CMV lub wirusem EBV po transplantacji szpiku. Podkreślił, że oceniana substancja jest często stosowana u pacjentów z infekcją CMV, w postaciach lekkich lub średniociężkich, w których można prowadzić leczenie ambulatoryjne. Z uwagi na powyższe, zasadność stosowania valgancyklowiru we wskazaniach dot. wirusa CMV nie budzi wątpliwości. W odniesieniu do wirusa EBV nie ma dowodów naukowych na skuteczność, nie ma także wytycznych w tym zakresie.

Rada, w trakcie dyskusji, zwróciła uwagę, że dowody na skuteczność opiniowanej substancji czynnej w zakażeniach wirusem EBV są, jednak zakażenia nie dotyczyły osób po transplantacji. Można jednak zakładać, że w odniesieniu do tych osób również będzie ona skuteczna. Obecnie, valgancyklowir jest dopuszczony do stosowania profilaktycznego po przeszczepie do 110 dni po transplantacji, podczas gdy amerykańskie wytyczne wskazują na okres 100 dni. Rada, w większości, opowiedziała się za pozytywnym zaopiniowaniem we wszystkich ocenianych wskazaniach.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu. W głosowaniu nie brali udziału: Rafał Niżankowski, Piotr Szymański.

Ad 13. Propozycję opinii przedstawił Konrad Maruszczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii Rady. Od czasu ostatniej oceny, nie odnaleziono nowych wytycznych w opiniowanym zakresie. Odnaleziono jedno badanie prospektywne, obserwacyjne, które porównywało skuteczność terapii różnymi lekami przeciwpadaczkowymi u pacjentów w szerszej populacji niż obecnie oceniana. Wyniki ww. badania wskazywały, że zaobserwowano statystycznie istotną, dłuższą medianę przeżycia u pacjentów stosujących leki w porównaniu z pacjentami, u których terapia nie była stosowana. Odnalezione nowe dowody naukowe nie wpływają jednak na zmianę wniosku, które było podstawą wydania poprzedniej

opinii Rady. Biorąc pod uwagę powyższe, zaproponował uznanie zasadności dalszej refundacji w odniesieniu do pacjentów po epizodzie padaczkowym z przerzutami w obrębie ośrodkowego układu nerwowego oraz niezasadności refundacji w odniesieniu do profilaktycznego stosowania u pacjentów bezobjawowych z przerzutami do kory ruchowej mózgu, gdzie stosowanie ocenianej terapii nie jest rekomendowane, z uwagi na możliwe działania niepożądane.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu. W głosowaniu nie brali udziału: Rafał Niżankowski, Piotr Szymański.

Ad 14. Propozycję opinii przedstawił Rafał Suwiński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii Rady. Poinformował, że poprzednia opinia Rady opierała się na odnalezionych dowodach naukowych na stosowanie gabapentyny. W odniesieniu do 2 pozostałych substancji podstawę oceny stanowiła głównie praktyka kliniczna i zalecenia towarzystw naukowych. Obecnie pozycja leków zawierających oceniane substancje wzmocniła się. Większość zaleceń rekomenduje ich stosowanie, w niektórych przypadkach nawet jako leczenie samodzielne, nie zaś wspomagające. Wobec powyższego, zaproponował opinię pozytywną.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu. W głosowaniu nie brali udziału: Rafał Niżankowski, Piotr Szymański.

Ad 15. Propozycję opinii przedstawił Jakub Pawlikowski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego do przygotowania projektu opinii Rady. Omówił wyniki badań porównujących skuteczność i bezpieczeństwo obydwu rodzajów dawkowania. Badania nie wykazały istotnych różnic w ww. zakresie, nie ma zatem zastrzeżeń w odniesieniu do analizy klinicznej. Poinformował, że zmiana dawkowania wpływa natomiast na wnioski z analiz ekonomicznych. Zaproponował dwie opinie. Pierwszą - uznającą zasadność refundacji we wszystkich wskazaniach, mimo przekroczenia ustawowych progów efektywności kosztowej, które i tak były już przekroczone przy poprzednio wydanych pozytywnych rekomendacjach. Drugą - różnicującą zasadność refundacji w zależności od szacowanych zmian w zakresie wpływu na wydatki płatnika i dalszego pogorszenia poziomu efektywności kosztowej, w szczególności w odniesieniu do pembrolizumabu.

W trakcie przedstawiania propozycji opinii, na posiedzenie wrócili Rafał Niżankowski i Piotr Szymański. Michał Myśliwiec przekazał prowadzenie posiedzenia Rafałowi Niżankowskiemu.

Rada, w trakcie dyskusji, wskazała na zasadność wprowadzenia pogłębionych mechanizmów RSS, które w większym stopniu będą ograniczały wydatki płatnika publicznego. Rada przychyliła się do propozycji podtrzymania wcześniejszych pozytywnych stanowisk, odnoszących się do opiniowanych obecnie leków, pod warunkiem obniżenia ceny leków do poziomu efektywności kosztowej lub zaproponowania korzystniejszego instrumentu dzielenia ryzyka, opartego o efekty zdrowotne.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu. W głosowaniu nie brali udziału: Tomasz Romańczyk i Rafał Suwiński, z uwagi na zgłoszone konflikty interesów.

Ad. 8. 2) Propozycję opinii przedstawił Rafał Niżankowski. Wskazał, że przewidziane w programie interwencji, zakładające wykonanie mammografii u młodych kobiet między 40 a 50 r.ż., nie są zgodne z wytycznymi. Z uwagi na powyższe, zaproponował opinię negatywną. Zwrócił uwagę, że głównym założeniem projektu jest ograniczenie zdrowotnych i społecznych skutków późnego wykrycia raka piersi u kobiet, podczas gdy żaden z zaproponowanych 4 mierników nie pozwala na ocenę realizacji celu głównego. Omówił populację docelową, która nie odpowiada opiniom eksperckim w zakresie populacji rekomendowanej do prowadzenia skryningu mammograficznego. Podkreślił, że brakuje dowodów naukowych, aby we wnioskowanej grupie wiekowej skryning mammograficzny wiązał się z przewagą korzyści nad szkodami. Odniósł się także do elementu projektu, zakładającego edukację pacjentek w zakresie samobadania piersi. Dowody naukowe wskazują, iż samobadanie piersi nie jest skuteczną metodą poprawy wczesnego wykrywania raka piersi. Ponadto, formularz zgody pacjenta nie zawiera podstawowych informacji, aby udzieloną tym sposobem zgodę można uznać za uświadomioną.

Rada, w trakcie dyskusji, omówiła kwestię zasadności stosowania metody samobadania piersi. Podkreślono, że choć metoda ta jest propagowana w środkach masowego przekazu, nie ma dowodów naukowych na jej skuteczność.

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

Ad 16. Prowadzący posiedzenie Rafał Niżankowski zakończył posiedzenie Rady o godzinie 15:16.

Protokół sporządził Michał Myśliwiec
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
(w zakresie punktów 8.-15.)

Protokół sporządził Rafał Niżankowski
Przewodniczący Rady Przejrzystości
(w zakresie punktów 1.-7. oraz 15.-16.)

.....
(data i podpis)

.....
(data i podpis)

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Janssen-Cilag International NV; Genzyme Europe B.V.; Shire Human Genetic Therapies AB).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Janssen-Cilag International NV; Genzyme Europe B.V.; Shire Human Genetic Therapies AB) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2016 r., 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 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (Janssen-Cilag International NV; Genzyme Europe B.V.; Shire Human Genetic Therapies AB).

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Genzyme Europe B.V.; Shire Human Genetic Therapies AB).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Genzyme Europe B.V.) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2016 r., 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 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (Genzyme Europe B.V.; Shire Human Genetic Therapies AB).



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 129/2018 z dnia 10 grudnia 2018 roku

w sprawie oceny leku Invokana (kanagliflozyna) we wskazaniu: leczenie pacjentów dorosłych, w wieku od 18 lat, z niewystarczająco kontrolowaną cukrzycą typu 2, w terapii skojarzonej z innymi lekami zmniejszającymi glikemię z wyłączeniem insuliny

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Invokana (kanagliflozyna), 100 mg, 30 tab. powlekanych, kod EAN: 5909991096106, we wskazaniu: leczenie pacjentów dorosłych, w wieku od 18 lat, z niewystarczająco kontrolowaną cukrzycą typu 2, w terapii skojarzonej z innymi lekami zmniejszającymi glikemię z wyłączeniem insuliny, w ramach nowej grupy limitowej, jako leku dostępnego w aptece na receptę i wydawanie go za odpłatnością w wysokości 30%, pod warunkiem okresowego badania ABI/TBI oraz zachowania nadzoru nad bezpieczeństwem farmakoterapii.



Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Cukrzyca to choroba metaboliczna, charakteryzująca się hiperglikemią, wynikającą z defektu wydzielania lub osłabienia działania insuliny. Cukrzyca typu 2 polega na oporności tkanek na działanie insuliny (insulinooporność). W Polsce na cukrzycę choruje ok 9% populacji między 20 a 79r.ż. (w 90-95% przypadków jest to cukrzyca typu 2). Najpoważniejszym powikłaniem choroby jest uszkodzenie różnych narządów, szczególnie oczu, nerek, nerwów, serca i naczyń krwionośnych. Podstawą leczenia cukrzycy typu 2 są: dieta i ćwiczenia fizyczne oraz metformina (MET). W razie nieskuteczności, wytyczne American Diabetes Association (ADA) i europejskie z 2018 r. zalecają dołączenie inhibitora transportera sodowo-glukozowego typu 2 (SGLT-2) lub agonisty receptora peptydu glukagonopodobnego (GLP-1). W następnej kolejności stosuje się terapię trzema ww lekami., a w razie ich nieskuteczności dołączyć lek z innej grupy terapeutycznej: inhibitory alfa glukozydazy. pochodne sulfonilomocznika (SU), glinidy, inhibitory dipeptydylopeptydazy (DPP-4), agoniści receptora PPAR-



γ. Jeżeli omawiane leczenie jest nieskuteczne, stosuje się insuliny. Pochodne sulfonylomocznika powinno się stosować wyjątkowo, ponieważ zwiększają powikłania sercowo-naczyniowe i predysponują do wystąpienia nagłej śmierci sercowej.

Dowody naukowe

Wyniki badań klinicznych wysokiej jakości, dowodzą co najmniej podobnej skuteczności kanagliflozyny (KAN), w porównaniu z komparatorami, w odniesieniu do większości ocenianych punktów końcowych. Lek działa silnie hipoglikemicznie, obniża ciśnienie i masę ciała, poprzez zwiększenie wydalania sodu przez nerki. Zmniejsza też liczbę zdarzeń sercowo-naczyniowych u chorych z cukrzycą typu 2.

Terapia dwulekowa KAN + MET vs. SU + MET w ciągu 1-2 lat wykazywała porównywalną skuteczność w odniesieniu stężenia HbA1c, ale była istotnie lepsza w odniesieniu do stężenia glukozy na czczo, obniżenia masy ciała, ciśnienia tętniczego krwi i epizodów hipoglikemii. W grupie pacjentów leczonych KAN raportowano znamienne mniej zdarzeń niepożądanych o ciężkim nasileniu.

Wyniki porównania pośredniego terapii trójlekowej KAN+MET+SU vs Insulina (GLARGINE) + MET+SU wskazują na podobną efektywność w zakresie zmiany stężenia HbA1c, częstości hipoglikemii i działań niepożądanych (także zakażeń układu moczowego) po 26 tygodniach leczenia.

W badaniu CANVAS odnotowano istotnie statystycznie rzadsze występowanie pierwszorzędowego, złożonego punktu końcowego, jakim była ocena ryzyka wystąpienia zgonu z powodów sercowo-naczyniowych oraz ryzyka wystąpienia zawału serca i udaru, nie prowadzących do zgonu, wśród chorych stosujących KAN niż w grupie PLC.

U leczonych KAN częściej występowały: zakażenia układu moczowo-płciowego, zwłaszcza grzybice u kobiet, hipotensje i odwodnienie. Częstość występowania złamańiskoenergetycznych była większa w grupie KAN niż w grupie PLC. Komunikat FDA z 05/2017 r. wskazuje na wyniki projektu CANVAS (badania CANVAS i CANVAS-R), które wykazały iż KAN u chorych na cukrzycę typu 2 powoduje zwiększone ryzyko amputacji nóg i stóp, ale dotyczy to ułamka procenta pacjentów.

Problem ekonomiczny

Wyniki probabilistycznej analizy wrażliwości wskazują na dużą niepewność w odniesieniu do opłacalności kosztowej terapii.

Lek jest bardzo drogi i obciążenie płatnika publicznego będzie sięgać milionów złotych.

Jednocześnie duże wątpliwości budzi szacowana przez wnioskodawcę populacji,

która otrzymywałyby ten lek na kilkadziesiąt tysięcy, podczas gdy w rzeczywistości może ona przekraczać milion chorych.

Zastrzeżenie budzi wystąpienie wnioskodawcy o refundację tylko tabl 100 mg (w 2014 r wnioskowano o 100 i 300 mg). Prawdopodobnie, większość chorych będzie wymagać 2 lub 3 tabl dziennie, co może znacznie podwyższyć koszty leczenia.

Główne argumenty decyzji

Wytyczne amerykańskie i europejskie z 2018 r zalecają gliflozyny w 2 lub 3 linii leczenia cukrzycy t. 2 (w połączeniu z metforminą). Wyniki badań klinicznych wysokiej jakości, dowodzą co najmniej podobnej skuteczności kanagliflozyny w porównaniu z komparatorami, w odniesieniu do większości ocenianych punktów końcowych. Lek działa silnie hipoglikemicznie w cukrzycy, obniża ciśnienie i masę ciała, przez zwiększenie wydalania sodu i glukozy przez nerki. Zmniejsza liczbę zdarzeń sercowo-naczyniowych u chorych z cukrzycą typu 2. Stosowanie kanagliflozyny obarczone jest jednak ryzykiem występowania zakażeń bakteryjnych i grzybiczych dróg moczowo-płciowych, szczególnie grzybicy pochwy u kobiet. Inne objawy niepożądane występują bardzo rzadko. Wnioskowany produkt leczniczy finansowany jest w 14 z 31 krajów EU i EFTA, w tym w Bułgarii, Portugalii, Słowacji i Grecji.

Odnaleziono 5 rekomendacji pozytywnych i 2 rekomendacje negatywne, z uwagi na wysoki koszt leczenia.

Uwagi Rady

W związku z wątpliwościami związanymi z możliwą zwiększoną częstością występowania m.in. zakażeń układu moczowo-płciowego, amputacji, złamań w przebiegu osteoporozy w trakcie leczenia, Rada zwraca uwagę na konieczność zwrócenia uwagi na konieczność systematycznego raportowania przez lekarzy działań niepożądanych urzędom odpowiedzialnym za nadzór nad bezpieczeństwem leków (URPL).

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4330.19.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku Invokana (kanagliflozyna) we wskazaniu leczenie pacjentów dorosłych, w wieku od 18 lat, z niewystarczająco kontrolowaną cukrzycą typu 2, w terapii skojarzonej z innymi lekami zmniejszającymi glikemię z wyłączeniem insuliny”. Data ukończenia: 28.11.2018.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem żółtym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Janssen-Cilag International NV).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Janssen-Cilag International NV 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: Janssen-Cilag International NV



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 130/2018 z dnia 10 grudnia 2018 roku

w sprawie oceny leku Fabrazyme (agalzydaza beta) w ramach programu lekowego: „Leczenie choroby Fabry’ego (ICD-10: E75.2)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Fabrazyme (agalzydaza beta), proszek do przygotowania koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji, 5 mg, 1, fiol., kod EAN: 5909990013654,*
- *Fabrazyme (agalzydaza beta), proszek do przygotowania koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji, 35 mg, 1, fiol., kod EAN: 5909990971213,*

w ramach jednego programu lekowego dla wszystkich objętych finansowaniem ze środków publicznych technologii lekowych o tytule: „Leczenie choroby Fabry’ego (ICD-10 E75.2)”; w ramach jednej grupy limitowej dla wszystkich technologii lekowych finansowanych ze środków publicznych wykorzystywanych w leczeniu choroby Fabry’ego i wydawanie ich bezpłatnie.

Rada Przejrzystości nie akceptuje propozycji instrumentu dzielenia ryzyka (RSS) i uznaje za zasadne finansowanie technologii, pod warunkiem jego znacznego pogłębienia oraz zastosowania mechanizmu ograniczania wydatków płatnika publicznego (cappingu).

Rada uznaje za zasadne wprowadzenie w zaproponowanym opisie programu lekowego następujących zmian:

- *zamiast zapisu „po zakwalifikowaniu pacjenta do leczenia i refundacji, weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się po pierwszych 6 miesiącach, a następnie co 12 miesięcy od rozpoczęcia leczenia w programie [...]” zapis: „po zakwalifikowaniu pacjenta do programu, weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się co 6 miesięcy”;*
- *doprecyzowanie wieku, od którego będzie mógł być włączony pacjent, dla wszystkich leków w proponowanym programie;*
- *konieczność precyzyjnego określenia kryteriów wyłączenia chorych z programu.*



Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Choroba Fabry'ego jest chorobą lizosomalną dziedziczną recesywnie w sprzężeniu z chromosomem X, spowodowaną niedoborem enzymu lizosomalnego alfa-galaktozydazy A. Niedobór tego enzymu prowadzi do gromadzenia (spichrzenia) glikosfingolipidów w tkankach i płynach ustrojowych, tj. globotriaosyloceramidu (oznaczonego symbolem Gb3 lub GL-3, zwanego również triheksozydem ceramidu (CTH)), substratu glikosfingolipidowego dla α -galaktozydazy A. Wyróżnia się postać klasyczną choroby (brak aktywności enzymu) oraz postać nie-klasyczną, w której symptomy pojawiają się w późniejszym okresie i dotyczą głównie jednego organu.

Dowody naukowe

Chorobę Fabry'ego leczy się przyczynowo oraz objawowo. Leczenie objawowe opiera się na doraźnej terapii niewydolności narządów, które zostały uszkodzone w przebiegu choroby. Leczenie przyczynowe polega na prowadzeniu enzymatycznej terapii zastępczej (ang. enzyme replacement therapy, ERT), czyli podawaniu rekombinowanego analogu naturalnego enzymu we wlewie dożylnym, co dwa tygodnie. Leczenie pozwala przede wszystkim na spowolnienie postępu choroby, a w części przypadków prowadzi do ustępowania niektórych objawów. W Europie dostępne są dwa preparaty analogu α -galaktozydazy: agalzydaza alfa (Replagal) i agalzydaza beta (Fabrazyme). Dostępna jest również terapia chaperonowa. Pierwszym zatwierdzonym w Unii Europejskiej białkiem opiekuńczym przeznaczonym do leczenia chorych z chorobą Fabry'ego jest migalastat (lek Galafold).

Liczebność populacji objętej wnioskowaną terapią jest szacowana na podstawie opinii ekspertów na od 40-72 pacjentów. Liczba nowych zachorowań 3-8 rocznie (Stowarzyszenie Rodzin z Chorobą Fabry'ego podaje liczbę obecnie chorych na 73 osoby).

W wyniku wyszukiwania odnaleziono 9 dokumentów opisujących metody terapii. Z większości odnalezionych wytycznych wynika, że leczenie choroby Fabry'ego jest wskazane w przypadkach wystąpienia objawów narządowych, za wyjątkiem mężczyzn z klasyczną postacią choroby, u których leczenie rekomendowane jest nawet bez występowania objawów somatycznych. Jedynie wytyczne Fabry Delphi working group 2014 zalecają rozpoczęcie terapii ERT u wszystkich objawowych pacjentów, niezależnie od wieku i płci oraz manifestacji objawowej choroby. Obecnie leczenie choroby Fabry'ego ograniczone jest do dwóch terapii: zastępczej terapii enzymatycznej (ERT) oraz terapii chaperonowej, w ramach której obecnie dopuszczony do stosowania (zarówno w UE, jak i w USA) w tym wskazaniu jest tylko migalastat.

Problem ekonomiczny

Oszacowany ICUR dla porównania AGA-β vs BSC wyniósł [REDACTED]. Wartości te znajdują się [REDACTED], o którym mowa w ustawie o refundacji.

Główne argumenty decyzji

Stosowanie AGA-β w miejsce obecnie dostępnego leczenia podtrzymującego jest droższe, ale i skuteczniejsze. Głównym argumentem decyzji jest problem ekonomiczny wynikający z kosztów przekraczających próg opłacalności terapii opisany w ustawie o refundacji. W związku z tym, bezwzględnym warunkiem pozytywnego stanowiska Rady jest wprowadzenie pogłębionych mechanizmów RSS oraz mechanizmu cappingu.

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.4331.39.2018 „Wniosek o objęcie refundacją leku Fabrazyme (agalzydaza beta) w ramach programu lekowego »Leczenie choroby Fabry’ego (ICD-10 E 75.2)«”. Data ukończenia: 29 listopada 2018.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie przedstawicieli pacjentów/ekspertów przedstawione w trakcie posiedzenia.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Genzyme Europe B.V. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Genzyme Europe B.V.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 318/2018 z dnia 10 grudnia 2018 roku

o projekcie programu „Program poprawy jakości świadczeń z zakresu opieki paliatywnej i hospicyjnej dla mieszkańców gminy Busko-Zdrój na lata 2019-2023”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program poprawy jakości świadczeń z zakresu opieki paliatywnej i hospicyjnej dla mieszkańców gminy Busko-Zdrój na lata 2019-2023”.

Uzasadnienie

Głównym założeniem projektu programu jest poprawa jakości życia mieszkańców gminy Busko-Zdrój cierpiących na choroby nieuleczalne, niepoddające się leczeniu przyczynowemu, postępujące oraz ograniczające życie, poprzez podniesienie jakości świadczeń z zakresu opieki paliatywnej i hospicyjnej finansowanych ze środków publicznych.

W treści projektu wymieniono 4 cele szczegółowe:

- poprawa jakości świadczeń z zakresu opieki paliatywnej i hospicyjnej poprzez zapewnienie pacjentom opieki dodatkowego personelu w postaci pielęgniarki i opiekunki medycznej,*
- uzupełnienie świadczeń gwarantowanych z zakresu opieki paliatywnej i hospicyjnej, poprzez zapewnienie pacjentom udziału w zorganizowanych, nadzorowanych przez terapeutę zajęciowego lub psychologa, spotkaniach z rodziną i przyjaciółmi,*
- zwiększenie wiedzy i świadomości pacjentów hospicyjnych i/lub paliatywnych oraz członków ich rodzin w zakresie metod opieki oraz metod leczenia objawowego, w tym przeciwbólowego, poprzez działania edukacyjne,*
- poprawa jakości życia pacjentów korzystających ze świadczeń opieki paliatywnej i hospicyjnej poprzez prowadzone w ramach tej opieki postępowanie przeciwbólowe.*

Cele nie zostały sformułowane w pełni zgodnie z zasadą S.M.A.R.T.

Wnioskodawca zaproponował 7 mierników efektywności: liczba dodatkowych etatów pielęgniarskich, liczba dodatkowych etatów opiekuna medycznego,



liczba zrealizowanych spotkań pacjentów z rodziną i przyjaciółmi, liczba osób uczestniczących w spotkaniach pacjentów z rodziną i przyjaciółmi, liczba osób objętych edukacją zdrowotną (pacjentów oraz członków ich rodzin), odsetek członków rodzin, u których uzyskano wzrost wiedzy z zakresu treści przekazanych w ramach edukacji zdrowotnej (opieka nad pacjentem), odsetek osób, u których doszło do zmniejszenia natężenia dolegliwości bólowych.

Po uwzględnieniu uwag dotyczących celów, powyższe mierniki prawidłowo odpowiadają wszystkim celom programu.

Gminę Busko-Zdrój zamieszkuje ok. 32,4 tys. osób, w tym ok. 15,6 tys. mężczyzn oraz ok. 16,8 tys. kobiet. Rocznie do programu zostanie włączonych ok. 100 osób, co ma stanowić 100% populacji docelowej.

W 2018 r. mieszkańcy Gminy Busko-Zdrój korzystali ze świadczeń z zakresu opieki hospicyjnej/paliatywnej w Hospicjum, prowadzonym na terenie gminy przez Fundację Gospodarczą Św. Brata Alberta w Kielcach. Hospicjum to, posiadające kontrakt z NFZ, dysponuje 12 łóżkami stacjonarnymi i służy mieszkańcom 3 powiatów: buskiego, kazimierskiego i pińczowskiego. Z terenu gminy Busko średnio w ciągu roku leczonych jest 60 pacjentów. Szacowane przez świadczeniodawcę potrzeby w tym zakresie wynoszą ok. 100 pacjentów rocznie.

Program będzie sfinansowany ze środków Gminy Busko-Zdrój. Roczny koszt programu wyliczono na 144 000 zł. W skali pięciu lat budżet wyniesie 720 000 zł.

Koszty jednostkowe stanowiąc będą wynagrodzenia dla dodatkowych pielęgniarek (1/2 etatu = 3500 zł/mies.), opiekunów medycznych (1 etat = 3500 zł/mies.) oraz spotkania pacjentów z rodziną i przyjaciółmi w hospicjach (5 000 zł/mies.).

Zakres interwencji realizowanych w Programie w większości tożsamy jest ze świadczeniami gwarantowanymi ze środków publicznych (obsługa lekarska, fizjoterapeutyczna, rehabilitacyjna, leczenie farmakologiczne, leczenie bólu). Koszty tych interwencji nie są ujęte w budżecie Programu.

Na podstawie art. 48d ust. 1 Ustawy o świadczeniach, Gmina zamierza ubiegać się o 40% dofinansowanie przez NFZ kosztów działań realizowanych w programie w latach 2020 - 2023. Rada opiniuje program pozytywnie, pod warunkiem jego realizacji ze środków gminy, gdyby NFZ nie dofinansował projektu.

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.441.206.2018 „Program poprawy jakości świadczeń z zakresu opieki paliatywnej i hospicyjnej dla mieszkańców gminy Busko-Zdrój na lata 2019-2023” realizowany przez: Gminę Busko-Zdrój, Warszawa, grudzień 2018 oraz Aneksu „Opieka długoterminowa oraz paliatywno-hospicyjna – wspólne podstawy oceny” z lutego 2013 r. i Raportu AOTMiT nr OT.441.274.2016.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 319/2018 z dnia 10 grudnia 2018 roku
w sprawie substancji czynnej: furosemidum we wskazaniu
pozarejestacyjnym: objawowe przerzuty w ośrodkowym układzie
nerwowym - profilaktyka i leczenie wspomagające

Rada Przejrzystości uważa za zasadne kontynuację refundacji produktów leczniczych, zawierających substancję czynną furosemidum, we wskazaniach innych niż ujęte w charakterystyce produktu leczniczego, tj.: objawowe przerzuty w ośrodkowym układzie nerwowym – profilaktyka i leczenie wspomagające.

Uzasadnienie

W stosunku do raportu nr AOTM-OT-434-51/2015 nie odnaleziono żadnych nowych przeglądów systematycznych, badań klinicznych z grupą kontrolną oraz rekomendacji klinicznych, które odnosiłyby się do skuteczności, bezpieczeństwa i zasadności stosowania w praktyce klinicznej ocenianej technologii.

Z dostępnej literatury poglądowej i odnalezionych rekomendacji klinicznych wynika jednak, że przeciwobrzękowe leczenie farmakologiczne stanowi rutynę w postępowaniu z przerzutami do mózgu i w tym celu najpowszechniej stosowane są leki steroidowe. Niektóre źródła wskazują, że oprócz leków steroidowych stosowane są również diuretyki osmotyczne oraz diuretyki pętlowe, w tym właśnie furosemid. Potwierdzają to przedstawione w raporcie nr AOTM-OT-434-51/2015 opinie polskich klinicystów, którzy jednoznacznie wskazali na zasadność finansowania furosemidu w przypadku występowania podwyższonego ciśnienia wewnątrzczaszkowego w przebiegu nowotworów ośrodkowego układu nerwowego. Zdaniem Konsultanta Krajowego ds. neurologii, furosemid od lat jest stosowany przez neurologów i neurochirurgów w leczeniu objawów obrzęku mózgu, który bardzo często towarzyszy zmianom przerzutowym.



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 dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, Aneks do raportu nr: AOTMiT-OT-434-51/2015 „Furosemidum we wskazaniach: innych niż określone w ChPL”. Data ukończenia: 6 grudnia 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 320/2018 z dnia 10 grudnia 2018 roku

w sprawie substancji czynnej: aprepitantum we wskazaniu pozarejestacyjnym: wczesne lub opóźnione wymioty u osób dorosłych związane z silnie emetogenną chemioterapią z zastosowaniem doksorubicyny i cyklofosfamidu – profilaktyka

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji produktów leczniczych, zawierających substancję czynną aprepitant we wskazaniu innym niż ujęte w charakterystyce produktu leczniczego, tj.: wczesne lub opóźnione wymioty u osób dorosłych związane z silnie emetogenną chemioterapią z zastosowaniem doksorubicyny i cyklofosfamidu – profilaktyka.

Uzasadnienie

Rada Przejrzystości opiniowała zasadność objęcia refundacją omawianych leków w wyżej wymienionych wskazaniach pozarejestacyjnych na posiedzeniu w dniu 1 lutego 2016r. (Opinia Rady nr 39/2016) i przyjęła opinię pozytywną.

Rada uzasadniała swoją opinię wynikami badań klinicznych i codzienną praktyką lekarską oraz opiniami ekspertów potwierdzających bezpieczeństwo i skuteczność w wymienionych wskazaniach. Lek wpływa pozytywnie na poprawę jakości życia chorych w trakcie terapii. Jednak ponieważ cena leku była znacznie wyższa niż np. ondansetronu, Rada uważała, że jego cena powinna być obniżona.

Aktualizacje wytycznych klinicznych: MASCC/ESMO 2016 (Multinational Association of Supportive Care in Cancer European Society for Medical Oncology), NCCN 2018 (National Comprehensive Cancer Network) oraz PUO/PTOK 2015 (Polska Unia Onkologii / Polskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej), w profilaktyce i leczeniu nudności i wymiotów u pacjentów stosujących antybiotyki z grupy antracyklin i chemioterapię cyklofosfamidem, rekomendują zastosowanie:

- schematów trójlekowych obejmujących połączenie leków z grup antagonistów receptora 5-HT₃, antagonistów receptora NK1 (do których należy aprepitant) oraz deksametazonu,*
- schematów czterolekowych, w których do kombinacji leków z wymienionych powyżej grup farmaceutycznych, zaleca się dołączenie olanzapiny.*



W wyniku aktualizacji przeglądu systematycznego z 2015r. w celu odnalezienia dowodów naukowych dotyczących skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania preparatów zawierających aprepitant w profilaktyce wczesnych lub opóźnionych wymiotów u osób dorosłych związanych z silnie emetogenną chemioterapią z zastosowaniem doksorubicyny i cyklofosfamidu, odnaleziono 2 dodatkowe badania:

- Zhang 2018–przegląd systematyczny z metaanalizą, w którym porównano aktualną profilaktykę przeciwwymiotną opartą na schemacie zawierającym olanzapinę ze schematem opartym na antagonistach receptora neurokininy-1 (aprepitant, fosaprepitant, casopitant, netupitant, rolapitant) u pacjentów leczonych chemioterapią o silnym działaniu wymiotnym (HEC),*
- Morita 2017–badania prospektywne, którego celem była ocena skuteczności aprepitantu dodanego do leku z grup antagonistów receptora 5-HT₃ w zapobieganiu nudności i wymiotów wywoływanych przez chemioterapię stosowaną w schemacie CHOP lub THP-COP (cyklofosfamid, doksorubicyna lub THP-doksorubicyna, winkrystyna, prednizolon).*

Zdaniem Rady, od czasu przyjęcia wcześniejszej opinii Rady nie nastąpiły zmiany, które uzasadniałyby zaprzestanie finansowania tego leku w omawianych wskazaniach.

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 dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, Aneks do raportu nr: AOTMiT-OT-434-35/2015 „Aprepitant we wskazaniach: wczesne lub opóźnione wymioty u osób dorosłych związane z silnie emetogenną chemioterapią z zastosowaniem doksorubicyny i cyklofosfamidu – profilaktyka innych niż określone w ChPL”. Data ukończenia: 5 grudnia 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 321/2018 z dnia 10 grudnia 2018 roku

w sprawie substancji czynnej: doxazosinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia; neurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia; nieneurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne podtrzymanie refundacji leków zawierających substancję czynną doxazosinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia dla produktów leczniczych zawierających doksazosynę w dawce 4 lub 8 mg oraz przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia.

Jednocześnie Rada Przejrzystości uważa za zasadne podtrzymanie refundacji leków zawierających substancję czynną doxazosinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: neurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia; nieneurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia dla produktów leczniczych zawierających doksazosynę w dawce 1 i 2 mg.

Uzasadnienie

Zaburzenia w oddawaniu moczu u dzieci pod postacią parć nagłych, częstomoczu, nietrzymania moczu lub niecałkowitego opróżnienia pęcherza mogą prowadzić do nawracających zakażeń układu moczowego, a nawet do upośledzenia czynności nerek. Przyczynami są zaburzenia na tle neurogennym lub dysfunkcja nieneurogenna związana z zaburzeniami czynności wypieracza pęcherza moczowego lub/i zwieracza cewki moczowej.

Od czasu poprzedniej opinii Rady z 2016 opublikowano nowe rekomendacje z międzynarodowych wytycznych: aktualizacji wytycznych AAP z 2017 r. oraz ESH z 2016 r., nowe wytyczne PTNT (sekcja pediatryczna) z 2018 r., a także nieprzedstawione w raporcie z 2015 r. wytyczne PTNFD 2015.

W odnalezionych wytycznych nie wymienia się leków z grupy blokujących receptory α -adrenergiczne, której przedstawicielem jest doksazosyna, jako rekomendowanych w leczeniu nadciśnienia tętniczego w przebiegu przewlekłej choroby nerek (PChN) u dzieci do 18 rż.

W wyniku przeprowadzonej aktualizacji wyszukiwania wytycznych praktyki klinicznej na temat zastosowania doksazosyny w leczeniu neurogennej



i nieneurogennej dysfunkcji pęcherza u pacjentów pediatrycznych, odnaleziono publikację EAU z 2018 roku dostępną na stronie Towarzystwa http://uroweb.org/guideline/paediatric-urology/#1_5 (dostęp 22.11.2018 r.). Ponadto odnaleziono wytyczne z 2016 roku opracowane przez Polskie Towarzystwo Urologii Dziecięcej oraz Polskie Towarzystwo Nefrologii Dziecięcej, dotyczące postępowania diagnostyczno-terapeutycznego w zaburzeniach mikcji u dzieci. Pozostałe rekomendacje znajdują się w raporcie nr AOTMiT-OT-434-50/2015 i AOTMiT-OT-4434-24/2013. W wytycznych podaje się, że obecnie podstawową grupę farmaceutyków w leczeniu nadczynności pęcherza moczowego u dzieci stanowią leki blokujące receptor muskarynowy układu przywspółczulnego odpowiedzialnego za skurcz mięśniówki gładkiej pęcherza (cholinolityki: oksybutynina, tolterodyna, solifenacyna). U dzieci nadczynnością pęcherza spowodowaną obecnością czynnościowej przeszkody podpęcherzowej (np. brak koordynacji zwieracz-wypieracz, nadczynność zwieracza itp.) dobre wyniki daje zastosowanie α -blokerów. Farmakoterapia powinna być stosowana z jednoczasowym stosowaniem zasad uroterapii standardowej.

Doksazosyna (obok tamsulozyny) jest zalecana w terapii zaburzeń mikcji związanych z nieprawidłowym i/lub opóźnionym otwarciem szyi pęcherza podczas mikcji w stosunku do skurczu wypieracza (dysfunkcja szyi pęcherza) - PTUD, PTND 2016.

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 dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, Aneks do raportów nr: AOTMiT-OT-434-50/2015, AOTMiT-OT-434-57/2015 „Doxazosinum we wskazaniach: przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia; neurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia; nieneurogenna dysfunkcja pęcherza u dzieci do 18 roku życia; innych niż określone w ChPL”. Data ukończenia: 6 grudnia 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 322/2018 z dnia 10 grudnia 2018 roku w sprawie substancji czynnej: valganciclovirum we wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych, zawierających substancję czynną valganciclovirum we wskazaniach pozarejestacyjnych, dla postaci leku – tabletki: zakażenia wirusem cytomegalii po transplantacji narządów lub szpiku - leczenie; zakażenia wirusem Ebsteina-Barr po transplantacji narządów lub szpiku – leczenie; a dla postaci leku – proszek do sporządzania roztworu doustnego: zakażenia wirusem cytomegalii po transplantacji narządów lub szpiku – leczenie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej; zakażenia wirusem Ebsteina-Barr po transplantacji narządów lub szpiku – leczenie – w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej.

Uzasadnienie

Valgancyklowir jest prolekiem przeznaczonym do podawania doustnego, który w organizmie pacjenta jest przekształcany do gancyklowiru. Objawowe infekcje wirusami cytomegalii i Epstein-Barr u pacjentów z przeszczepionymi narządami mają często, ze względu na immunosupresję, ciężki przebieg i leczone są w warunkach szpitalnych, a wówczas lekiem z wyboru jest gancyklowir podawany dożylnie. Jednak u pacjentów z niezbyt ciężkim przebiegiem objawowej infekcji wirusowej valgancyklowir jest równie skuteczny jak gancyklowir. U pacjentów nie wymagających hospitalizacji doustne stosowanie valgancyklowiru jest wygodniejszą formą podawania leku w porównaniu z dożylnymi iniekcjami gancyklowiru.

W okresie od poprzedniej opinii Rady z 2016 roku opublikowano 2 rekomendacji dotyczących leczenia zakażenia wirusem CMV u pacjentów po przeszczepie (TSI 2018, BTS 2015). Nie odnaleziono rekomendacji dotyczących leczenia zakażeń wirusem EBV po transplantacji narządów oraz rekomendacji dotyczących leczenia zakażeń wirusem CMV lub wirusem EBV po transplantacji szpiku



Nowe dane odnalezione w trakcie obecnego postępowania nie zmieniają wniosku Rady względem poprzedniej opinii.

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 dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, Aneks do raportu nr: AOTMiT-BOR-434-21/2015 „Walgancyklowir we wskazaniach: innych niż określone w ChPL”. Data ukończenia: 5 grudnia 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 323/2018 z dnia 10 grudnia 2018 roku w sprawie substancji czynnych: carbamazepinum, lamotryginum we wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uważa za zasadne dalsze refundowanie leków zawierających substancje czynne: carbamazepinum i lamotryginum we wskazaniach pozarejestacyjnych: carbamazepinum - stan po epizodzie padaczkowym indukowanym przerzutami w obrębie ośrodkowego układu nerwowego; lamotryginum - stan po epizodzie padaczkowym indukowanym przerzutami w obrębie ośrodkowego układu nerwowego - postępowanie wspomagające.

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne dalsze refundowanie leków zawierających substancję czynną carbamazepinum we wskazaniu: napady padaczkowe w bezobjawowych przerzutach do kory ruchowej mózgu – profilaktyka.

Uzasadnienie

Zarówno karbamazepina jak i lamotrygina są stosowane w leczeniu napadów padaczkowych występujących w przebiegu pierwotnych i przerzutowych guzów mózgu. Rekomendacje kliniczne (AHS 2014) sugerują stosowanie w pierwszej linii leczenia leków przeciwpadaczkowych w monoterapii nieindukujących enzymów wątrobowych, takich jak lamotrygina. W przypadku gdy stosowanie leków przeciwpadaczkowych nieindukujących enzymów wątrobowych nie jest możliwe, dopuszczalne jest także stosowanie karbamazepiny.

Nie rekomenduje się natomiast profilaktycznego stosowania leków przeciwpadaczkowych, w tym karbamazepiny, u pacjentów z guzami mózgu (AHS 2014).

Nowe dane, odnalezione w trakcie obecnego postępowania nie zmieniają wniosku Rady względem poprzedniej opinii.



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 dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, Raport nr: OT.4321.8.2018 „Carbamazepinum, lamotryginum we wskazaniach: innych niż określone w ChPL”. Data ukończenia: 6. grudnia 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 324/2018 z dnia 10 grudnia 2018 roku

w sprawie substancji czynnych: carbamazepinum, gabapentinum, ketoprofenum we wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancje czynne:

- *carbamazepinum we wskazaniu: ból u chorych z rozpoznaniem nowotworu – leczenie wspomagające;*
- *gabapentinum we wskazaniu: ból inny niż określony w Charakterystyce Produktu Leczniczego - leczenie wspomagające u chorych na nowotwory;*
- *ketoprofenum we wskazaniu: ból w przebiegu chorób nowotworowych – w przypadkach innych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego.*

Uzasadnienie

Rada Przejrzystości opiniowała zasadność objęcia refundacją omawianych leków w wyżej wymienionych wskazaniach pozarejestacyjnych na posiedzeniu w dniu 25 stycznia 2016 r. (Opinia Rady nr 17/2016) i przyjęła opinię pozytywną. Opinię swoją Rada uzasadniała odwołując się do dowodów naukowych i zaleceń klinicznych, które wskazują na zasadność stosowania tych leków w leczeniu bólu związanego z chorobą nowotworową. Wśród leków z tej grupy skuteczność stosowania gabapentyny została udokumentowana w populacji chorych nowotworowych, natomiast skuteczność stosowania carbamazepiny i ketoprofenu jest ugruntowana głównie w oparciu o praktykę kliniczną. Wytyczne kliniczne (w tym NICE, SIGN) zgodnie zalecają stosowanie leków przeciwdrgawkowych i przeciwdepresyjnych w leczeniu bólu nowotworowego. Zdaniem Rady, od czasu przyjęcia wcześniejszej opinii Rady nie nastąpiły zmiany, które uzasadniałyby zaprzestanie finansowania tych leków w omawianych wskazaniach. Ich miejsce w leczeniu bólu nowotworowego jest ugruntowane i nie budzi wątpliwości.



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 dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, Raport nr: OT.4321.7.2018 „Carbamazepinum, gabapentinum, ketoprofenum we wskazaniach: innych niż określone w ChPL”. Data ukończenia: 6. grudnia 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 325/2018 z dnia 10 grudnia 2018 roku

w sprawie wpływu zamiany dawkowania w charakterystykach produktów leczniczych Keytruda (pembrolizumab) oraz Opdivo (niwolumab) na zmianę opinii Rady Przejrzystości nt. zasadności objęcia refundacją ww. leków w dotychczasowych postępowaniach refundacyjnych

Rada Przejrzystości podtrzymuje swoje wcześniejsze stanowiska dotyczące refundacji leku Keytruda (pembrolizumab) oraz Opdivo (niwolumab) w opiniowanych wskazaniach, pod warunkiem obniżenia ceny leku do poziomu efektywności kosztowej lub zaproponowania korzystniejszego instrumentu dzielenia ryzyka opartego o efekty zdrowotne.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Dawkowanie niwolumbu zostało zmienione decyzją EMA z 23 kwietnia 2018 r. z wcześniej zarejestrowanej dawki 3 mg/kg m.c. podawane co 2 tygodnie (Q2W) na następujące schematy: 240 mg podawane co 2 tygodnie (Q2W) we wskazaniach czerniak (monoterapia), rak nerkowokomórkowy (RCC), niedrobnokomórkowy rak płuca (NDRP), klasyczny chłoniak Hodgkina (cHL), płaskonabłonkowy rak głowy i szyi (SCCHN) oraz rak urotelialny (UC), lub 480 mg podawane co 4 tygodnie (Q4W) we wskazaniach czerniak (monoterapia) oraz rak nerkowokomórkowy (RCC). Dawkowanie niwolumabu zależne od masy ciała obowiązuje nadal w leczeniu skojarzonym (z ipilimumabem) i uzupełniającym czerniaka.

Zmiana dawkowania leku Keytruda (decyzja EMA z 2 sierpnia 2018 r.) z 2 mg/kg m.c. podawane co 3 tygodnie (Q3W) na 200 mg Q3W dotyczy wskazań: czerniak oraz leczenie 2-go rzutu niedrobnokomórkowego raka płuc (NDRP). Kolejne wskazania leku, tj. leczenie 1-go rzutu niedrobnokomórkowego raka płuc, klasyczny chłoniak Hodgkina oraz rak urotelialny, zostały od razu zarejestrowane do stosowania w nowej (niezależnej od masy ciała) dawce.

Dowody naukowe

Badania dotyczące leków Opdivo (Zhao 2017, Long 2018) i Keytruda (Freshwater 2017) wskazują, że nowe schematy dawkowania zatwierdzone



przez EMA charakteryzują się skutecznością i bezpieczeństwem na poziomie porównywalnym z poprzednio zarejestrowanym dawkowaniem (zależnym od masy ciała). Na tej podstawie należy przyjąć, że fakt zmiany dawkowania nie wpływa na wnioskowanie z analiz klinicznych ocenianych do tej pory w AOTMiT. Dodać należy, że do zalet nowych schematów dawkowania omówionych w powyższych badaniach zalicza się zwiększony komfort podawania leku, zmniejszenie liczby błędów personelu medycznego wynikających z obliczania dawki, skrócenie czasu przygotowania leku oraz czasu oczekiwania pacjentów, zmniejszenie częstotliwości wizyt (dawka 480 mg Q4W), a także eliminacja strat związanych z brakiem możliwości wykorzystania fiolek preparatu w całości.

Problem ekonomiczny

Zmiana dawkowania wpływa na wyniki ocenianych analiz ekonomicznych i analiz wpływu na budżet, ponieważ nowe dawki niwolumabu jak i pembrolizumabu odpowiadają średniej masie pacjenta na poziomie odpowiednio 80 kg dla Opdivo oraz 100 kg dla Keytrudy przy uwzględnieniu starego dawkowania. Taka masa ciała jest wyższa niż przyjmowano w ocenianych dotychczas modelach, co przekłada się na większe koszty ocenianych leków.

Główne wnioski płynące z porównania wyników analiz ekonomicznych przy założeniu nowego dawkowania wskazują, że w większości ocenianych do tej pory analiz (za wyjątkiem AWA Opdivo_Yervoy 2017 w leczeniu czerniaka) nastąpił wzrost inkrementalnych wydatków płatnika publicznego (średnio o 12,6% w przypadku leku Opdivo i 55,5% w przypadku leku Keytruda). W większości przypadków oryginalne wartości ICUR były większe niż próg opłacalności, zatem zmiana parametrów modelu w zakresie dawkowania w większości przypadków nie zmieniła wnioskowania o efektywności kosztowej. Wnioski powyższe są zbieżne z wynikami analizy Goldstein 2017, w której wykazano, że roczny koszt stosowania pembrolizumabu w stałej dawce w niedrobnokomórkowym raku płuca wynosi o 24% więcej niż roczny koszt stosowania pembrolizumabu w dawce zależnej od masy ciała.

Rada podtrzymuje swoje stanowisko zawarte w większości pozytywnych opinii dotyczących stosowania leków Opdivo i Keytruda, że należy dążyć do obniżenia ceny leku do poziomu efektywności kosztowej lub zaproponowania korzystniejszego instrumentu dzielenia ryzyka opartego o efekty zdrowotne.

Warto przypomnieć, że 30 lipca 2018 roku Rada Przejrzystości (Opinia nr 198/2018) uznała za zasadne wprowadzenie zmian w programie lekowym „Leczenie czerniaka skóry lub błon śluzowych (ICD-10 C43)” obejmujących m.in. umożliwienie zawieszenia terapii niwolumabem lub pembrolizumabem po 6 miesiącach leczenia u pacjentów, którzy uzyskali korzyść kliniczną i u których

nie stwierdzono progresji choroby, z możliwością powrotu do terapii po jej wystąpieniu. Wynikały z nich znaczne oszczędności dla płatnika publicznego, które pozwoliłyby częściowo zrekompensować wzrost wydatków inkrementalnych związanych ze zmianą dawkowania. Stanowisko to było poparte dowodami naukowymi, obliczeniami dokonanyymi przez analityków Agencji oraz pozytywnie zaopiniowane przez Prezesa Agencji, jednak nie zostało dotychczas uwzględnione w Obwieszczeniu MZ.

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.4604.663.2018.PB z dnia 01.10.2018 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 nr: OT.4320.19.2018 „Opracowanie dotyczące oceny wpływu wprowadzenia zmian w dotychczasowym dawkowaniu leków Keytruda (pembrolizumab) oraz Opdivo (niwolumab) na wnioskowanie z analiz HTA dla tych leków”. Data ukończenia: 15 listopada 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 326/2018 z dnia 10 grudnia 2018 roku o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej – wczesnego wykrywania chorób piersi u kobiet 2019-2021” (m. Kalisz)

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej – wczesnego wykrywania chorób piersi u kobiet 2019-2021” (m. Kalisz).

Uzasadnienie

Głównym założeniem projektu programu jest ograniczenie zdrowotnych i społecznych skutków późnego wykrycia raka piersi u kobiet z badanej populacji poprzez wczesne wykrycie zmian chorobowych u co najmniej 10% badanych kobiet w trakcie trwania programu.

Tymczasem żaden z zaproponowanych mierników, tj.:

- 1. Liczba rozdysponowanych materiałów informacyjnych i ich wpływ na zmianę poziomu wiedzy uczestników programu (badanie ankietowe nt. Raka piersi);*
- 2. Liczba kobiet u których wykonano badanie mammograficzne;*
- 3. Liczba wykrycia zmian chorobowych u kobiet objętych badaniem;*
- 4. Liczba kobiet, które wypełniły ankietę oceny i satysfakcji z programu;*

Nie pozwala na ocenę realizacji celu głównego, określonego w tytule.

Program skierowany jest do kobiet w wieku 40-49 lat. Tymczasem eksperci kliniczni poproszeni o opinię wskazali, iż populacja w wieku 50-69 jaka została określona w finansowanych przez NFZ programach przesiewowych stanowi wzorcowe rozwiązanie, a wdrażanie skringu mammograficznego w innych grupach wiekowych może prowadzić do nadrozpoznawalności. Brak dowodów naukowych, aby we wnioskowanej grupie wiekowej skringing mammograficzny wiązał się z przewagą korzyści nad szkodami.

Brak dowodów naukowych, iż zawężenie populacji 40-49 lat życia do kobiet, które miały miesiączkę przed 12 rokiem życia albo są bezdzietne powoduje przewagę korzyści ze skringingu mammograficznego nad powodowanymi przezeń szkodami.

Elementem proponowanego programu profilaktycznego jest edukacja pacjentek w zakresie samobadania piersi. Dowody naukowe wskazują jednak,



iz samobadanie piersi nie jest skuteczną metodą poprawy wczesnego wykrywania raka piersi i nie jest w tym celu rekomendowana.

Formularz zgody pacjenta nie zawiera podstawowych informacji, aby udzieloną tym sposobem zgodę można uznać za uświadomioną. W szczególności brak jest informacji o potencjalnych tak negatywnych, jak i pozytywnych następstwach udziału w programie, tak jak to przykładowo zawiera polska wersja językowa informacji dla pacjenta zawarta na stronach internetowych Cochrane Collaboration poświęconych skryningowi mammograficznemu.

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.441.210.2018 „Program polityki zdrowotnej – wczesnego wykrywania chorób piersi u kobiet 2019-2021” realizowany przez: Miasto Kalisz, Warszawa, grudzień 2018 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki raka piersi – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2015 r.