



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Protokół nr 2/2018**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 8 stycznia 2018 roku**  
**w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT)**

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

1. Marzanna Bieńkowska – uczestniczyła w posiedzeniu od pkt 4.
2. Lucjusz Jakubowski
3. Andrzej Kokoszka
4. Agata Maciejczyk
5. Aleksandra Michowicz
6. Michał Myśliwiec – prowadził posiedzenie
7. Tomasz Pasierski – uczestniczył w posiedzeniu od pkt 4. do pkt 11.
8. Zbigniew Szawarski
9. Andrzej Śliwczyński
10. Marek Wroński

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku MAVIRET (glecaprevirum + pibrentasvirum) w ramach programu lekowego: „Leczenie przewlekłego wirusowego zapalenia wątroby typu C terapią bezinterferonową (ICD-10 B18.2)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku FORMETIC (metformini hydrochloridum) we wskazaniu zespół policystycznych jajników.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku ADEMPAS (riocguat) w ramach programu lekowego „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego riocyguatem w monoterapii i riocyguatem w skojarzeniu z bosentanem (TNP) (ICD-10: I27, I27.0)”.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MILUPA LEU 2 PRIMA we wskazaniach: kwasica izowalerioanowa, 3-metylokrtonyloglicynuria.
8. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego RENA START we wskazaniu przewlekła niewydolność nerek (ICD-10 N18.0).
9. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego Angioplastyka naczyń obwodowych kończyn dolnych (tętnice udowe i podkolanowe) z wykorzystaniem balonu uwalniającego lek.



10. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej oxaliplatinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: chłoniak rozlany z dużych komórek B – DLBCL (C83, C85.7), chłoniak grudkowy – transformacja z DLBCL (C82, C83, C85.7), przewlekła białaczka limfocytowa/chłoniak z małych limfocytów B – Zespół Richtera (C91, C85.7, C83), chłoniak zkomórek płaszczka (C85.7), pozawęzłowy chłoniak z komórek T/NK typu nosowego i inne z komórek T (C84), chłoniak Hodgkina (C81).
11. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia współfinansowanego przez UE w ramach EFS: „Ogólnopolski program profilaktyki w zakresie miażdżycy tętnic i chorób serca poprzez edukację osób z podwyższonymi czynnikami ryzyka sercowo-naczyniowego (KORDIAN)”.
12. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
  - 1) „Program profilaktyki próchnicy zębów dla dzieci w wieku 8-10 lat z terenu Gminy Trzebinia na rok 2018”,
  - 2) „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Ośno Lubuskie w wieku 65 lat i więcej”,
  - 3) „Program szczepień ochronnych przeciwko grypie populacji z grupy szczególnego ryzyka (osób od 60 roku życia) pn. "Grypa 60+" na lata 2018-2020" (gm. Wisznia Mała),
  - 4) „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych dla osób od 65 r. ż. z gminy Kielce”,
  - 5) „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Szczytniki”.
13. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
14. Zamknięcie posiedzenia.

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

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

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

**Ad 4.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.4331.9.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Maviret (glecaprevirum/pibrentasvirum) we wskazaniu: w ramach programu lekowego: »Leczenie przewlekłego wirusowego zapalenia wątroby typu C terapią bezinterferonową (ICD-10 B 18.2)«”.

W trakcie trwania prezentacji na posiedzenie przybyli Marzanna Bieńkowska i Tomasz Pasiński, którzy złożyli odpowiednie oświadczenia dotyczące konfliktu interesów.

Swoją propozycję stanowiska przedstawiła Aleksandra Michowicz, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Refundację wnioskowanej technologii uznała za niezasadną. Zaznaczyła, że lek jest pangentypowy, czyli przeznaczony dla 6 genotypów wirusa. W zależności od populacji częstość występowania genotypów jest różna. W Polsce szacuje się, że ok. 200 tys. osób jest zakażonych wirusem WZW C, z czego spora liczba nie jest zdiagnozowana. Przewlekłe zapalenie wątroby typu C przebiega bezobjawowo, w związku z czym identyfikowanie zakażonych pacjentów odbywa się najczęściej przypadkowo. Większość z nich jest definiowana w późnym stopniu zakażenia, często z marskością wątroby. Obecnie, największe znaczenie w leczeniu pacjentów zakażonych WZW C mają leki, które można stosować u pacjentów z marskością wątroby, w tym z niewydolnością wątroby w stopniu B i C, czyli u pacjentów, którzy nie powinni być leczeni opiniowanym preparatem. Oceniany lek może być bowiem podawany u

pacjentów z marskością wątroby w stopniu A. Podkreśliła, że w Polsce funkcjonuje bardzo dobry program lekowy przeznaczony dla opiniowanego wskazania, który zapewnia możliwość stosowania zindywidualizowanej terapii. Od kolejnych preparatów oczekuje się zatem działania w tych obszarach, które obecnie są najslabiej zabezpieczone. Następnie, zwróciła uwagę, że w Polsce ponad 85% pacjentów zakażonych jest genotypem 1, w szczególności 1b. Podkreśliła, że najslabsze wyniki dostępnych obecnie terapii odnotowuje się w przypadku genotypu 3. W wynikach skuteczności leku Maviret w zakresie tego genotypu nie odnotowano żadnej statystycznej różnicy w porównaniu z alternatywnymi technologiami. Zwróciła uwagę na zalety preparatu Maviret, wśród których wymieniła pangenotypowy charakter i czas leczenia, który jest krótszy niż w innych terapiach. Podkreśliła jednak, że w jedynym przedstawionym w analizach badaniu nie wykazano przewag nad komparatorami. Miało ono na celu udowodnienie, że terapia nie jest gorsza. Zwróciła uwagę, że liczne ograniczenia wnioskowanej analizy uniemożliwiają wydanie pozytywnej rekomendacji. W jej opinii, wyniki analizy klinicznej cechują się niską wiarygodnością. Źródłem wyników skuteczności i bezpieczeństwa stosowania były przede wszystkim abstrakty konferencyjne. Brakuje aktualnych badań bezpośrednio porównujących wnioskowaną technologię z terapiami alternatywnymi w subpopulacjach pacjentów zakażonych genotypem 1, 3, 4, 5, 6. Zamieszczona w analizie publikacja dotyczyła pacjentów zakażonych genotypem 2, który nie występuje w polskiej populacji. Brakuje także badań pozwalających na dokonanie porównań pośrednich. Nie przedstawiono badań randomizowanych, dowodzących wyższości lub przynajmniej porównywalnej skuteczności klinicznej leku Maviret. Wnioskodawca nie wykazał istotnej statystycznie przewagi nad jakąkolwiek analizowaną technologią alternatywną. Wśród innych ograniczeń analizy wymieniła m.in. to, że w niektórych badaniach, przeprowadzonych w populacji japońskiej, schemat dawkowania różnił się od schematów zalecanych na terenie UE, w badaniach włączonych do przeglądu systematycznego nie oceniano jakości życia pacjentów oraz to, że liczba pacjentów w badaniach była mała, co powoduje znaczną niepewność w zakresie utrzymującej się odpowiedzi wirusologicznej w szerszej populacji. Ponadto, zauważyła, że wprowadzenie opiniowanej opcji terapeutycznej generowałoby istotne wydatki dla płatnika publicznego.

Michał Myśliwiec uznał, że istnieje za mało danych naukowych na temat ocenianej technologii.

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

**Ad 5.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.4330.3.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Formetic (metformina) we wskazaniu: zespół policystycznych jajników”.

Następnie, swoją propozycję stanowiska przedstawił Lucjusz Jakubowski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Zwrócił uwagę, że zespół wielotorbielowatych jajników jest chorobą ogólnoustrojową, w której wielotorbielowatość jajników jest tylko jednym z objawów, a ważnymi elementami jest hiperandrogenizm oraz insulinooporność. Zaznaczył, że nie ma badań dotyczących skuteczności jakiegokolwiek leku stosowanego w zespole wielotorbielowatych jajników, które byłyby prowadzone w obrębie wybranych fenotypów choroby (na podstawie ilości zaangażowanych szlaków sygnałowych liczbę fenotypów można szacować na ok. 50-60). Podstawę do stwierdzenia, że metformina jest skuteczna u części pacjentek stanowią kliniczne dane obserwacyjne. Niezależnie od wyników badań, które są słabej jakości, wieloletnia praktyka kliniczna wskazuje na to, że substancja ta, u części pacjentek, wpływa na obniżenie poziomu androgenów, regulację cyklu miesięczkowego, może wpłynąć na poprawę płodności, niezależnie od tego, czy pacjentki mają potwierdzoną insulinooporność. Z uwagi

na powyższe zaproponował uznanie refundacji opiniowanego leku za zasadne. Podkreślił, że lek jest tani i stanowi opcję terapeutyczną w I i II linii leczenia. Jest on uwzględniony w większości dostępnych rekomendacji i wytycznych. Podkreślił również, że w każdym przypadku elementem specjalistycznego poradnictwa lekarskiego musi być zwrócenie uwagi na styl życia pacjentek.

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

**Ad 6.** Swoją propozycję stanowiska przedstawił Tomasz Pasierski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Zwrócił uwagę, że lek jest nowy, a wnioskowane wskazanie dotyczy bardzo ciężkiej choroby, skracającej życie i wiążącej się z wieloma przykrymi objawami fizykalnymi. W tętnicznym nadciśnieniu płucnym obecnie finansowane są bardzo drogie, nowoczesne terapie. Zauważył, że opiniowany lek jest nowocześniejszy i tańszy od dostępnych opcji, co stanowi argument dla pozytywnego zaopiniowania wniosku. Lek ten wykorzystuje zupełnie inny mechanizm patofizjologiczny. Pewne wątpliwości budzi natomiast klasyfikacja NYHA, ponieważ wniosek dotyczy klasy II i III.

Michał Myśliwiec zauważył, że rozszerzenie o II klasę NYHA wpłynie na znaczny wzrost wydatków.

Andrzej Śliwczyński zwrócił uwagę, że lek będzie stosowany w ramach istniejącego programu lekowego, który ma określone kryteria kwalifikacji. Zmiana skali wiąże się z nowymi pacjentami, którzy będą mogli korzystać nie tylko z obecnie opiniowanej technologii, ale także z innych dostępnych w programie. Dodał, że uwzględnienie w programie nowych zasad kwalifikacji będzie wymagało uzgodnienia zapisów między firmami, co wydłuży proces.

Następnie, analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.4331.5.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Adempas (riocyguat) w ramach programu lekowego: »Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego riocyguatem w monoterapii i riocyguatem w skojarzeniu z bosentanem (TNP) (ICD-10: I27, I27.0)«”.

Z uwagi na brak możliwości połączenia się z ekspertem zaproszonym do wzięcia udziału w posiedzeniu Rada zdecydowała o kontynuowaniu omawiania tematu po przedstawieniu propozycji stanowiska odnoszącego się do leku stanowiącego następną pozycję w porządku obrad.

**Ad 7.** Swoją propozycję stanowiska przedstawiła Agata Maciejczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Zauważyła, że obydwa wnioskowane wskazania dotyczą chorób, które są dziedzicznymi autosomalnie recesywnie zaburzeniami metabolizmu leucyny. W chorobach tych dochodzi do gromadzenia się nieprawidłowych produktów leucyny.

**Ad 6 cd.** Rada przeprowadziła konsultacje z prof. nzw. dr hab. n. med. Marcinem Kurzyną, zastępcą kierownika Kliniki Krążenia Płucnego, Chorób Zakrzepowo-Zatorowych i Kardiologii w Szpitalu im. Fryderyka Chopina w Otwocku.

Michał Myśliwiec poprosił eksperta o przedstawienie opinii na temat preparatu Adempas. Zapytał także, czy powinien on być stosowany również w II klasie NYHA.

Marcin Kurzyzna zaznaczył, że jego opinia na temat leku Adempas jest pozytywna. Lek ten jest stosowany w Polsce od kilku lat w innym wskazaniu – zakrzepowo-zatorowym nadciśnieniu płucnym. Według niego, stosowanie leku w II klasie NYHA nie wydaje się najbardziej optymalnym wyborem, głównie z uwagi na to, że lek ma być stosowany u pacjentów, którzy nie odpowiadają dobrze

na monoterapię, podczas gdy pacjenci z klasy II dobrze odpowiadają na ww. terapię. Z uwagi na to II klasa powinna zostać usunięta z programu.

Po zakończonych konsultacjach Andrzej Śliwczyński zwrócił uwagę, że w Polsce funkcjonują 2 programy lekowe w leczeniu nadciśnienia tętniczego. W jego opinii, powinny one, wraz z obecnie ocenianym, zostać połączone w jeden program, co powinno zostać uwzględnione w uwagach Rady.

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

**Ad 7 cd.** W tym miejscu Agata Maciejczyk kontynuowała przedstawianie propozycji stanowiska. Środek Milupa Leu 2 Prima stanowi mieszaninę aminokwasów, oprócz leucyny, witamin i składników mineralnych. Wskazała, że obydwie wnioskowane choroby mają bardzo zmienne obrazy kliniczne, a następnie omówiła główne kwestie dotyczące objawów i przebiegu leczenia. Zwróciła uwagę na brak dowodów naukowych na skuteczność opiniowanego środka w omawianych wskazaniach. Podstawę oceny stanowiąc może jedynie praktyka kliniczna. Następnie, odniosła się do istniejących rekomendacji klinicznych, w których nie wymienia się z nazwy żadnego środka specjalnego przeznaczenia żywieniowego, jednakże mówi się w nich o leczeniu polegającym na ograniczaniu podaży leucyny u pacjentów w różnych sytuacjach klinicznych. Omówiła także pozytywne opinie, dotyczące preparatu Milupa leu 2 Prima, przedstawione przez polskich ekspertów. Odnosząc się do kwestii ekonomicznych, podkreśliła, że brakuje danych o populacji docelowej i na temat refundacji alternatywnych preparatów. Z danych za lata ubiegłe wynika, że w okresie 1,5 roku wydano tylko 13 zgód na refundację 56 opakowań we wskazaniu kwasica izowalerianowa i 7 zgód na 39 opakowań we wskazaniu 3-metylokrotonyloglicynuria. Koszt sprowadzenia ww. opakowań nie stanowi dużego obciążenia w skali kraju. Podkreśliła, że żaden inny podobny preparat nie jest w Polsce refundowany. Dodała także, że poszczególne produkty są dedykowane pacjentom w różnych grupach wiekowych, a więc nie wszystkie są wymienne. Podsumowując, wskazała na zasadność wydania zgody na refundację opiniowanego środka, do czego skłania praktyka kliniczna stosowana w przypadku opiniowanych jednostek chorobowych.

Andrzej Śliwczyński podkreślił, że w przypadku większości odżywek nie istnieją dowody naukowe.

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

**Ad 8.** Swoją propozycję stanowiska przedstawił Michał Myśliwiec. Zauważył, że preparat Rena Start ma niską zawartość potasu, fosforu i białka. Przeznaczony jest do stosowania u dzieci od 1 do 10 r.ż. w przewlekłej niewydolności nerek, nawet od 2 stadium przebiegu choroby. Zaproponował stanowisko negatywne. Preparat jest bardzo drogi, a nie udowodniono żadnego działania w zakresie twardych punktów końcowych. Jedyne dostępne badanie ma formę abstraktu. Udowodniono w nim, że środek obniża stężenie potasu, przy czym w Polsce w tym zakresie wykorzystuje się refundowaną żywicę jonowymienną, czyli lek o udowodnionej skuteczności.

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

**Ad 9.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr OT.430.3.2017 „Angioplastyka naczyń

obwodowych kończyn dolnych (tętnice udowe i podkolanowe) z wykorzystaniem balonu uwalniającego lek”.

Następnie, swoją propozycję stanowiska przedstawił Andrzej Kokoszka, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Zaproponował stanowisko pozytywne. Wskazał, że choć przedstawiona metaanaliza nie wykazała istotnych różnic, to podkreślić należy, że zawarte w niej badania były dosyć heterogenne i kwestia ta wymaga prowadzenia dalszych badań. Dwa przedstawione przeglądy systematyczne wykazały korzyść opiniowanej metody. Pozytywne były także opinie zespołów eksperckich. Następnie, odniósł się do kwestii ekonomicznych i zaznaczył, że analiza ekonomiczna nie została przygotowana dość dokładnie.

Rada zdecydowała o zasadności przeprowadzenia konsultacji z ekspertem z dziedziny chirurgii naczyniowej.

Michał Myśliwiec poprosił eksperta o przedstawienie opinii dotyczącej refundacji balonów uwalniających lek.

Ekspert stwierdził, że jest grupa pacjentów (ok. 20-25%), którzy bardzo często mają powtarzające się restenozy. Nieznany jest mechanizm tego zjawiska, ponieważ u większości pacjentów zabieg daje bardzo długi albo trwały efekt. W ww. grupie pacjentów z nawrotami zarówno techniki stentów uwalniających, jak i balonów uwalniających lek, powodują zmniejszenie nawrotowości. Nie ma natomiast dużych badań w tym zakresie, w dużej mierze z uwagi na ciągły postęp technologiczny i zmiany balonów oraz problem z szybkim zebraniem wystarczająco dużej grupy pacjentów do badania.

Tomasz Pasierski zapytał o standard stosowania stentów w chirurgii naczyń obwodowych. Wskazał, że w ocenianych analizach opiniowaną technologię porównuje się do samego balonu. Powstaje pytanie, czy sam balon może być standardem w chwili obecnej, czy też bardziej zasadne byłoby porównywanie balonów uwalniających lek ze stentami bez uwalniania leku.

Ekspert przyznał, że bardziej zasadne jest porównywanie ze stentami typu BMS (ang. Bare Metal Stent, stenty metalowe). Sam balon nie jest na ogół wystarczający, ponieważ powszechne jest wykorzystywanie stentów.

Andrzej Kokoszka zapytał, o ile więcej warto zapłacić za balon uwalniający lek.

Ekspert przyznał, że tyle ile wynosi poziom płatności w przypadku stentów DES (ang. Drug eluting stent, stent uwalniający lek). Podkreślił, że niektóre zabiegi przynoszą straty, ponieważ NFZ refunduje jeden stent, a bywa, że konieczne jest zastosowanie dwóch, jednakże kompensuje się to w całości rozliczeń.

Tomasz Pasierski stwierdził, że przedstawiona analiza nie odpowiada zatem praktyce klinicznej, standardem jest bowiem stent metalowy. Zaznaczył natomiast, że w przypadku pozytywnego zaopiniowania wnioskowanej technologii lekarze sami będą decydować, która technologia jest wskazana.

Przypuszczenia te potwierdził ekspert. Istnieje praktyka stosowania droższych stentów uwalniających u pacjentów, którzy mają nawroty. Wybór technologii zależy od sytuacji anatomicznej danego pacjenta, nie ma więc zagrożenia, że dopuszczenie metody DEB (ang. Drug eluting balloon, balon uwalniający lek) zahamuje proces używania stentów uwalniających.

Tomasz Pasierski stwierdził, że w takiej sytuacji powiększy to jedynie skalę możliwości interwencji naczyniowych.

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

**Ad 10.** Swoją propozycję opinii przedstawił Andrzej Śliwczyński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Zwrócił uwagę, że część rekomendacji wskazuje na to, iż oksaliplatyna może być używana w schematach leczenia, jednakże dotyczy to tylko niektórych zawartych we wniosku chorób. Zaproponował opinię pozytywną w przypadku tych chorób, dla których istnieją wskazania polskich i międzynarodowych towarzystw naukowych oraz wytyczne praktyki klinicznej, a opinię negatywną w odniesieniu do pozostałych jednostek chorobowych, czyli chłoniaka grudkowego i chłoniaka z komórek płaszczą, w odniesieniu do których brakuje wytycznych oraz dowodów naukowych. Dodał, że choć w przypadku chłoniaka Hodgkina również nie wskazano na stosowanie oksaliplatyny, jednakże w schematach leczenia znajduje się cisplatyna. Wydaje się zatem, że oceniana substancja także mogłaby być dopuszczona do stosowania w tym wskazaniu. Poinformował, że nie odnaleziono rekomendacji refundacyjnych dla oksaliplatyny w analizowanych wskazaniach. Zwrócił uwagę, że oksaliplatyna znajduje się w katalogu chemioterapii. Koszt wynikający z dodania opiniowanych wskazań off-label nie jest znaczący dla ww. katalogu.

Michał Myśliwiec zapytał, czy oksaliplatyna jest bezpieczniejsza niż cisplatyna.

Andrzej Śliwczyński przyznał, że substancje są porównywalne.

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

**Ad 11.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr OT.440.8.2017 „Ogólnopolski program profilaktyki w zakresie miażdżycy tętnic i chorób serca poprzez edukację osób z podwyższonymi czynnikami ryzyka sercowo-naczyniowego (KORDIAN)”.

Następnie, swoją propozycję opinii przedstawił Marek Wroński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponował opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT. Wskazał, że głównym celem programu jest profilaktyka chorób układu sercowo-naczyniowego u osób w wieku aktywności zawodowej, ze szczególnym uwzględnieniem identyfikacji pacjentów obciążonych genetycznie, w okresie i na terenie realizacji programu. Następnie, wymienił zaplanowane w projekcie interwencje, personel medyczny biorący udział w programie oraz zakres populacji docelowej. Zaznaczył, że zaplanowane działania edukacyjne znajdują swoje uzasadnienie w aktualnych dowodach naukowych. Ponadto, wskaźniki monitorowania oraz oczekiwane efekty realizacji programu zostaną poddane szczegółowej analizie epidemiologicznej i statystycznej. Zwrócił uwagę, że program został pozytywnie oceniony przez konsultanta krajowego w dziedzinie kardiologii, który uznał go za dobrze zaplanowany i właściwie umotywowany. Zarekomendował on jego realizację. Konsultant odniósł się do zasadności podejmowania zaproponowanych działań w populacji osób aktywnych zawodowo w wieku 40-65 lat, natomiast program przewiduje udział osób już od 18 r.ż. Według Marka Wrońskiego powinno to zostać skorygowane. Następnie, odniósł się on do zaplanowanych w programie kosztów jednostkowych i planowanych wydatków całościowych, z uwzględnieniem kolejnych okresów realizacji projektu. Dodał, że w analizie kosztów nie wyodrębniono wysokości kosztów pośrednich, jakie zostaną poniesione w ramach realizacji programu. Brakuje także kosztu przeprowadzonej edukacji pracowników systemu ochrony zdrowia oraz kosztów akcji informacyjno-promocyjnej.

Michał Myśliwiec poparł propozycję opinii pozytywnej, choć program zawiera wiele elementów wymagających doprecyzowania i poprawienia. Zwrócił uwagę na wagę programu, ponieważ jedynie 10% populacji nie ma czynników ryzyka.

Zbigniew Szawarski uznał, że nie jest w stanie ocenić, czy program pozwoli na optymalne wykorzystanie dużego budżetu. Zauważył, że być może zaplanowaną sumę można by było wykorzystać znacznie lepiej, gdyby zainwestowana została w inne działania profilaktyczne.

Andrzej Kokoszka przychylił się do opinii, że sposób, w jaki w projekcie został opisany budżet, daje możliwość mnożenia wydatków na rzecz osób pośredniczących w wykonywanych działaniach, a nie optymalnego wykorzystywania środków. Wskazał, że istnieje duże pole do manipulacji w zakresie kosztów pośrednich.

Marek Wroński stwierdził, że program można traktować jako dobrze zaplanowane badania naukowe o charakterze prewencyjnym, które mogą dostarczyć informacji służących dalszemu planowaniu działań w tym zakresie. Przyznał, że każdy program może być zaplanowany lepiej, jednakże zwrócił uwagę na problem niedoszacowania kardiologii, szczególnie w zakresie osób starszych.

Tomasz Pasierski podkreślił, że nie są to badania naukowe. Programy mogą zawierać tylko badania profilaktyczne, które mają sens zdrowotny. Środowisko kardiologiczne od wielu lat dążyło do przeprowadzenia tego rodzaju badań, a fundusze, które zapewnia program, mogą umożliwić ich realizację na szeroką skalę.

Andrzej Kokoszka podkreślił, że opinia pozytywna powinna zawierać warunek dotyczący szczegółowego zaplanowania i uzasadnienia kosztów, w tym kosztów pośrednich.

Zbigniew Szawarski wskazał, że należy rozważyć, jaki będzie skutek i korzyści płynące z realizacji programu.

Andrzej Śliwczyński zwrócił uwagę, że w tego typu programach realizatorzy są wybierani w drodze konkursu, co uniemożliwia bardzo szczegółowe określenie kosztów. W jego opinii, program powinien stanowić uzupełnienie obecnie funkcjonujących programów. Dodatkowe pieniądze przeznaczone na przeprowadzenie akcji edukacyjnej oraz rejestrację wyników pacjentów pozwolą uzyskać wiedzę, która, w połączeniu z innymi istniejącymi programami kardiologicznymi, umożliwi lepsze zaplanowanie działań profilaktycznych.

Tomasz Pasierski stwierdził, że nie istnieją badania odnoszące się do korzyści wynikających z masowej profilaktyki.

Lucjusz Jakubowski podkreślił, że projekty programów dofinansowywanych ze środków Unii Europejskiej powinny być szczególnie starannie przygotowane. Powinny zawierać staranny dobór argumentów, opis stanu bieżącego, wyniki badań naukowych oraz dokładny plan finansowy. Pomimo konkursowego trybu doboru realizatorów, plan ten powinien przewidywać główne bloki zadań, na które środki będą wydatkowane. Dodał, że w opiniowanym programie poruszane są zagadnienia w dużym stopniu nie powiązane ze sobą, np. czym innym jest ogólna edukacja kadry lekarskiej w zakresie identyfikacji pacjentów z ryzykiem incydentów sercowo-naczyniowych, a czym innym identyfikacja i diagnostyka rodzin z rodzinną hipercholesterolemią. Podkreślił, że w projekcie znalazły się zapisy dotyczące poziomu punktacji uzasadniającego wykonywanie drogich badań molekularnych, które mogą stanowić podstawę do realizowania ww. badań u pacjentów, w przypadku których będzie to niezasadne. Projekt nie odnosi się także do obecnie realizowanych programów kardiologicznych, a powinien on stanowić ich uzupełnienie lub kontynuację.



Aleksandra Michowicz zauważyła, że kluczową kwestią stanowi określenie tego, czy zaplanowane interwencje są właściwe, czy populacja docelowa jest zgodna z rekomendacjami oraz czy program nie powiela świadczeń gwarantowanych lub istniejących, wieloletnich programów kardiologicznych.

Agata Maciejczyk podkreśliła, że główną wadą programu jest to, iż interwencje są w wielu punktach niezgodne z rekomendacjami. Wobec powyższego, zasadna jest opinia negatywna.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 5 głosami za projektem opinii Rady, przy 5 głosach przeciw projektowi, zgodnie z obowiązującym Regulaminem Pracy Rady, który przewiduje, że przy równej liczbie głosów decyduje głos prowadzącego posiedzenie, przyjęła uchwałę, będącą jej opinii, która stanowi załącznik do protokołu.

W tym miejscu Andrzej Śliwczyński złożył wniosek formalny o wydłużenie do okresu 3 lat horyzontu czasowego przedstawianego w analizach do wniosków refundacyjnych dla technologii lekowych, ponieważ na taki okres wydawane są obecnie decyzje refundacyjne.

Tomasz Pasierski opuścił posiedzenie.

**Ad 12. 1)** Swoją propozycję opinii przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Poinformowała, że głównym założeniem programu jest zmniejszenie częstości występowania próchnicy wśród dzieci poprzez zintegrowane działania edukacyjne i profilaktyczne. Następnie, wymieniła zaplanowane w programie etapy i interwencje oraz opisała założenia odnoszące się do wielkości populacji, która ma zostać objęta programem. Zwróciła uwagę, że planowane działania częściowo powielają świadczenia gwarantowane. Podkreśliła jednak, że edukacja zdrowotna w zakresie walki z próchnicą wśród dzieci stanowi istotną wartość dodaną i uzupełnia obecnie prowadzone interwencje. Dodała, że koszt programu zostanie pokryty z budżetu gminy. Wśród głównych uwag do programu wymieniła niedoszacowanie kosztów niektórych interwencji oraz niezgodność celów z regułą S.M.A.R.T.

Michał Myśliwiec zaznaczył, że projekt jest warty poparcia, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 9 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinii, która stanowi załącznik do protokołu.

**2)** Swoją propozycję opinii przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Podkreśliła, że populację docelową stanowią osoby w wieku 65 lat i więcej. Zaplanowana interwencja (szczepienie przeciwko grypie) jest rekomendowana. W ramach działań edukacyjnych zaplanowano spotkania z osobami kwalifikowanymi do szczepień. Projekt uwzględnia zalecenia Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce, dotyczące każdorazowego przeprowadzania wywiadu i wykonywania badania lekarskiego kwalifikującego do szczepienia. Poinformowała, że realizator programu zostanie wyłoniony w drodze konkursu. Projekt zakłada uzyskanie dofinansowania z NFZ, przy czym w przypadku nieuzyskania tych środków, będzie on realizowany z budżetu gminy.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 9 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinii, która stanowi załącznik do protokołu.

**3)** Swoją propozycję opinii przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Wskazała, że program stanowi kontynuację poprzednio realizowanego programu. Z danych przekazanych przez wnioskującą gminę

wynika, że w latach 2015-2016 w znacznym stopniu wzrosła ilość osób zaszczepionych, co stanowi argument do kontynuowania projektu w latach 2018-2020. Program będzie w całości realizowany z budżetu gminy. Dodała, że przedstawione w projekcie cele nie zostały sformułowane zgodnie z regułą S.M.A.R.T., poprawy wymagają także mierniki efektywności. Zaproponowała opinię pozytywną.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 9 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinii, która stanowi załącznik do protokołu.

**4)** Swoją propozycję opinii przedstawił Zbigniew Szawarski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Poinformował, że program dotyczy zwiększenia skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom. W projekcie zaplanowano objęcie dość licznej populacji, szacowanej na ponad 27 tys. osób. Czas realizacji przewidziano na 5 lat. Wskazał, że program zawiera pewne mankamenty, które można jednak dość łatwo poprawić. Skorygowania wymagają m.in. cel główny i cele szczegółowe, które nie zostały sformułowane zgodnie z zasadą S.M.A.R.T. oraz istotne rozbieżności pomiędzy zaplanowanym budżetem a rzeczywistymi kosztami realizacji programu (problem kosztów jednostkowych).

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 9 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinii, która stanowi załącznik do protokołu.

**5)** Swoją propozycję opinii przedstawił Zbigniew Szawarski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Wskazał, że program zakłada objęcie wszystkich mieszkańców gminy, którzy zostaną do niego zakwalifikowani przez lekarza POZ. Wobec powyższego nie można oszacować całkowitej populacji oraz związanych z tym dokładnych kosztów jednostkowych, gmina jednak przeznaczyła na realizację programu odpowiednie fundusze. Główne uwagi dotyczą niestosowania się do zasad reguły S.M.A.R.T.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za projektem opinii Rady, przy 1 głosie przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinii, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 13.** Przeprowadzono losowanie składu Zespołów na posiedzenie Rady w dniu 5.02.2018 r. i 6.02.2018 r.

**Ad 14.** Prowadzący posiedzenie Michał Myśliwiec zakończył posiedzenie Rady o godzinie 14:22.

Protokół sporządził Michał Myśliwiec  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

.....  
(data i podpis)



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 4/2018 z dnia 8 stycznia 2018 roku  
w sprawie oceny leku Maviret (glecaprevirum/pibrentasvirum)  
w ramach programu lekowego: „Leczenie przewlekłego wirusowego  
zapalenia wątroby typu C terapią bezinterferonową (ICD-10 B18.2)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Maviret (glecaprevirum/pibrentasvirum), tabl. powł., 100 mg/40 mg, 84 szt., kod EAN 8054083015927, w ramach programu lekowego „Leczenie przewlekłego wirusowego zapalenia wątroby typu C terapią bezinterferonową (ICD-10 B18.2)”.*

### Uzasadnienie

#### Problem kliniczny i terapeutyczny

*Zgodnie w wynikami badań przeprowadzonych w ostatnich latach w Polsce, przeciwciała anty-HCV występują u 0,9-1,9% mieszkańców Polski, w zależności od badanej populacji i stosowanej metody badawczej. Badania te potwierdziły obecność RNA HCV we krwi, wskazującą na aktywne zakażenie na poziomie 0,6%, co oznacza około 200 tys. dorosłych mieszkańców Polski wymagających pilnego zdiagnozowania i leczenia. U co piątej osoby spośród zakażonych przewlekle, jest rozpoznawane, na etapie zaawansowanych zmian chorobowych w wątrobie, marskości, lub rzadziej raka wątrobowo komórkowego. Według klasyfikacji Simmondsa, definiuje się 6 podstawowych genotypów (GT) HCV, różniących się sekwencją RNA nawet w 35%. Zgodnie z wynikami badań z lat 2011-2012, dominującym czynnikiem etiologicznym WZW-C w Polsce jest wirus HCV o genotypie 1 – występuje on u 85,6% zakażonych. Wdrożenie do terapii leków o bezpośrednim działaniu przeciwwirusowym (DAA), w sposób przełomowy zwiększyło skuteczność terapii (inhibitory NS3 proteazy, inhibitory NS5B polimerazy i wreszcie inhibitory NS5A polimerazy). Produkt Maviret jest lekiem złożonym, o ustalonej dawce, zawierającym dwie pangenotypowe substancje, działające bezpośrednio na wirusa: glekaprewir (inhibitor proteazy NS3/4A) i pibrentaswir (inhibitor NS5A), skierowane przeciw HCV na wielu etapach cyklu replikacyjnego wirusa. Glekaprewir jest pangenotypowym inhibitorem proteazy NS3/4A HCV, która jest niezbędna do rozszczepienia proteolitycznego poliproteiny kodowanej przez HCV (do dojrzałych postaci*



białek NS3, NS4A, NS4B, NS5A i NS5B) i ma podstawowe znaczenie dla replikacji wirusa. Pibrentaswir jest pangentypowym inhibitorem białka NS5A HCV, które ma podstawowe znaczenie dla replikacji wirusowego RNA i tworzenia się wirionów.

### Dowody naukowe

Wyniki przeglądu wytycznych leczenia HCV wykazały, że glekaprewir/pibrentaswir (GLE/PIB) rekomendowany jest przez towarzystwo AASLD/IDSA 2017 (w genotypach 1 – 6) oraz towarzystwo DVA 2017 (w genotypach 1-4). Pozostałe rekomendacje kliniczne nie wymieniają powyższego schematu leczenia. Najprawdopodobniej jest to związane z datą wydania rekomendacji, gdyż schemat glekaprewir/pibrentaswir został zarejestrowany w 2017 roku.

W wyniku przeprowadzonego przeglądu systematycznego zidentyfikowano łącznie 9 badań klinicznych (opisanych w 27 publikacjach) oceniających efektywność kliniczną GLE/PIB w populacji dorosłych pacjentów z przewlekłym WZW C (CERTAIN-1, -2, ENDURANCE-1, EXPEDITION-1, -2, -4, SURVEYOR-1, -2, MAGELLAN-2). Dwie z prac zostały przeprowadzone w szczególnych populacjach pacjentów, tj. u chorych z zaawansowaną chorobą nerek (EXPEDITION-4) oraz po przeszczepieniu wątroby lub nerki (MAGELLAN-2).

Bezpośrednie porównanie zarejestrowanych schematów opartych na GLE/PIB, względem aktywnego komparatora, możliwe było jedynie dla schematu GLE/PIB 8 tyg., dla którego odnaleziono jedno badanie zawierające porównanie ze schematem sofosbuwir + rybawiryna (SOF + RBV), stosowanym przez 12 tyg. (CERTAIN-2, dostępne w postaci abstraktu konferencyjnego). Badanie obejmowało wyłącznie populację pacjentów zakażonych GT2 HCV bez marskości wątroby. Badanie CERTAIN-2 ukierunkowane było na wykazanie, że terapia GLE/PIB, trwająca 8 tyg., jest nie gorsza od terapii SOF + RBV, stosowanej przez 12 tyg. (nie uzyskano istotności statystycznej). Względną ocenę efektywności klinicznej w pozostałych subpopulacjach populacji docelowej przeprowadzono w oparciu o porównanie pośrednie, bez dostosowania (tabelaryczne zestawienie wyników), w ramach którego wyznaczono odsetek osób uzyskujących SVR12, w zależności od rodzaju zastosowanej terapii oraz genotypu wirusa.

Wszystkie odnalezione prace, oceniające skuteczność i bezpieczeństwo terapii GLE/PIB u pacjentów z przewlekłym WZW C – to wielośrodkowe badania otwartej próby. Większość prac stanowiły próby kliniczne III fazy, jedynie badania SURVEYOR-1 i -2 zostały zaprojektowane jako badania II fazy.

Z powodu braku dostępnych dowodów naukowych umożliwiających bezpośrednie porównanie GLE/PIB z technologiami opcjonalnymi u pacjentów zakażonych genotypem 1, 3, 4, 5, 6 HCV, wnioskodawca w analizie klinicznej przeprowadził w tym zakresie wnioskowanie pośrednie, polegające

na tabelarycznym i graficznym zestawieniu uśrednionych prawdopodobieństw uzyskania ocenianego punktu końcowego. Na potrzeby porównania pośredniego włączono 69 badań eksperymentalnych (opisanych w 199 publikacjach), oceniających skuteczność i bezpieczeństwo technologii alternatywnych. W populacji pacjentów zakażonych GT1 HCV, leczonych GLE/PIB, prawdopodobieństwo uzyskania SVR12 w poszczególnych badaniach wynosiło od 97% do 99%, w przypadku krótszej 8-tygodniowej terapii, stosowanej u chorych bez marskości wątroby oraz 99% do 100%, w przypadku schematu

12-tygodniowego, dedykowanego pacjentom z marskością wątroby. Uśrednione prawdopodobieństwo uzyskania SVR12 w przypadku obu schematów terapeutycznych wyniosło 99%.

Łączne prawdopodobieństwo uzyskania SVR12 w populacji pacjentów zakażonych GT2 HCV, leczonych GLE/PIB zarówno schematem 8-tygodniowym, jak i 12-tygodniowym wynosiło 98%. Schemat GLE/PIB 12 tyg. oceniany był dodatkowo w populacjach szczególnych tj. u pacjentów z przewlekłą chorobą nerek (w tym hemodializowanych) oraz u pacjentów po przeszczepieniu nerki i/lub wątroby, w których odsetek SVR12 wynosił po 98%.

Reasumując, nie przedstawiono badań randomizowanych, dowodzących wyższości lub porównywalnej skuteczności klinicznej terapii GLE/PIB z technologiami opcjonalnymi. Wnioskodawca nie wykazał istotnej statystycznie przewagi z jakąkolwiek analizowaną technologią alternatywną. W związku z powyższym, wyniki analizy klinicznej cechują się niską wiarygodnością

W wyniku wyszukiwania odnaleziono 3 rekomendacje (pozytywne warunkowe) (SMC 2017, AWMSG 2017, NICE 2017). Warunkiem finansowania wnioskowanego produktu leczniczego jest obniżenie jego ceny.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę, produktu Maviret jest finansowany w 6 krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych).

Krótsza, 8-tygodniowa terapia GLE/PIB, przyjmowana przez chorych bez marskości wątroby, cechowała się niskim ryzykiem wystąpienia zdarzeń niepożądanych (AE) ogółem (60%), w porównaniu z terapiami 12- i 16-tygodniowymi (71–77%). AE potencjalnie związane ze stosowaną terapią wystąpiły u 21% chorych leczonych schematem 8-tygodniowym oraz u 25% pacjentów, otrzymujących GLE/PIB przez 12 tygodni. Przedwczesne przerwanie terapii z powodu AE raportowano u nieznacznego odsetka chorych (<1%). Zdarzenia niepożądane, określone jako ciężkie, raportowano u 1% chorych leczonych GLE/PIB przez 8 tygodni oraz u 5–7% pacjentów w przypadku dłużej trwających schematów GLE/PIB. U żadnego pacjenta z ciężkimi zdarzeniami niepożądanymi nie stwierdzono związku przyczynowo skutkowego z przyjmowanym leczeniem.

Do najczęściej raportowanych zdarzeń niepożądanych należały ból głowy oraz zmęczenie. Ból głowy wystąpił u 13-18% pacjentów leczonych GLE/PIB, z kolei zmęczenie obserwowano u 11-34% pacjentów (w zależności od długości trwania leczenia GLE/PIB). Do pozostałych zdarzeń niepożądanych raportowanych u  $\geq 10\%$  pacjentów należały w przypadku terapii 8-tygodniowej: bezsenność, ból jamy ustnej, zapalenie nosogardzieli.

Nie oceniano dotąd bezpieczeństwa stosowania, ani skuteczności produktu Maviret u pacjentów po przeszczepieniu wątroby. Stosując w tej populacji leczenie produktem Maviret zgodnie z zalecanym dawkowaniem, należy się kierować oceną potencjalnych korzyści i ryzyka u danego pacjenta.

Produkt Maviret nie jest zalecany u pacjentów z umiarkowanymi zaburzeniami czynności wątroby (stopień B wg klasyfikacji Childa-Pugha) i jest przeciwwskazany u pacjentów z ciężkimi zaburzeniami czynności wątroby (stopień C wg klasyfikacji Childa-Pugha).

Ograniczenia omawianych analiz:

- źródłem wyników skuteczności i bezpieczeństwa GLE/PIB w analizie klinicznej były przede wszystkim abstrakty konferencyjne. Pełne publikacje przedstawiono jedynie dla badań: EXPEDITION-1, SURVEYOR-1, SURVEYOR-2, ponadto Agencja odnalazła publikacje do badań CERTAIN-1 oraz EXPEDITION-4, opublikowane po złożeniu wniosku.
- brak jest aktualnie badań bezpośrednio porównujących GLE/PIB z technologiami alternatywnymi w subpopulacjach pacjentów zakażonych genotypem 1, 3, 4, 5, 6 HCV, a także brak jest badań pozwalających przeprowadzenie porównania pośredniego, przez wspólny komparator. Analiza porównawcza została przedstawiona jedynie w formie tabelarycznego zestawienia, bez analizy statystycznej.
- nie przedstawiono badań randomizowanych, dowodzących wyższości lub porównywalnej skuteczności klinicznej terapii GLE/PIB z technologiami opcjonalnymi. Reasumując, wnioskodawca nie wykazał istotnej statystycznie przewagi z jakąkolwiek analizowaną technologią alternatywną. W związku z powyższym wyniki analizy klinicznej cechują się niską wiarygodnością.
- wnioskowanie o skuteczności ocenianych terapii zostało przeprowadzone w oparciu o odsetek osób uzyskujących SVR12, który ma charakter zastępczego punktu końcowego.
- z uwagi na małą liczebność grupy z zakażeniem GT5 lub 6 HCV we włączonych badaniach, wnioskowanie na temat skuteczności i bezpieczeństwa ocenianej technologii oraz technologii alternatywnych w tej podgrupie chorych było ograniczone.
- w niektórych badaniach, przeprowadzonych w populacji japońskiej (CERTAIN-1 i 2), schemat dawkowania RBV był zgodny z charakterystyką

produktu leczniczego (ChPL) obowiązującą w Japonii, który z kolei różni się od schematów zalecanych na terenie UE.

- nie odnaleziono badań oceniających GLE/PIB w ramach rzeczywistej praktyki klinicznej.
- w badaniach włączonych do przeglądu systematycznego nie oceniano jakości życia pacjentów.
- EMA zwróciła uwagę, że liczba pacjentów w badaniach była mała, co powoduje znaczną niepewność w zakresie utrzymującej się odpowiedzi wirusologicznej.
- badania kliniczne, włączone do przeglądu systematycznego, dotyczące stosowania GLE/PIB u pacjentów uprzednio leczonych, opierają się przede wszystkim na populacji pacjentów stosujących terapię intereferonową (i/lub opartą na SOF) w pierwszej linii. Wyniki badania MAGELLAN-1 (przedstawione przez Agencję w ramach dodatkowych informacji) wskazały na wiele niepewności zastosowania GLE/PIB u pacjentów po nieskutecznej terapii DAA, opartej na inhibitorach NS3/4A i (lub) NS5A. Pacjenci włączeni do badania MAGELLAN-1 byli w przeszłości uprzednio leczeni schematami opartymi na inhibitorach NS3/4A (PTV/r, SMV, ASV, TVR, BOC) i (lub) NS5A (DCV, LDV, OBV). EMA zwraca uwagę, że pomimo dość ograniczonej populacji z wcześniejszą ekspozycją na leczenie DAA w badaniu MAGELLAN-1, nie można wykluczyć istnienia ryzyka niepowodzenia leczenia związanego z opornością krzyżową w obrębie klas leków DAA. W związku z powyższym, zgodnie z opinią EMA, produkt Maviret nie jest zalecany w powtórnym leczeniu pacjentów, którzy byli wcześniej leczeni inhibitorami NS3/4A i (lub) NS5A.
- w opinii eksperta w/w lek powinien być stosowany jako terapia II rzutu u chorych, po nieskutecznej terapii zawierającej NS5A, z wydłużeniem terapii do 16 tygodni oraz u chorych nietolerujących innych terapii. W/w lek powinien być zastosowany szczególnie u chorych zakażonych genotypem 3, z uwagi na możliwość skrócenia terapii do 8 tygodni, możliwość zastosowania terapii bez IFN u chorych z przeciwwskazaniami medycznymi do przyjmowania IFN”.

#### Problem ekonomiczny

W analizie ekonomicznej zaimplementowano skumulowane odsetki pacjentów uzyskujących SVR ze wszystkich badań klinicznych dla danego genotypu. Analiza porównawcza została przedstawiona jedynie w formie tabelarycznego zestawienia, bez analizy statystycznej. W opinii Agencji, wyniki analizy klinicznej cechują się niską wiarygodnością, co przekłada się na obniżenie jakości oszacowań w analizie ekonomicznej.

W celu oszacowania liczebności populacji docelowej wykorzystano dane NFZ dotyczące liczby pacjentów z unikalnymi numerami PESEL leczonych w ramach programów lekowych B.71 i B.2, raportowanych w analizie weryfikacyjnej do zlecenia 26/2017 (dotyczy preparatu Zepatier). Dane te posłużyły do wyznaczenia prognozowanej liczby pacjentów z pWZW-C, kwalifikujących się do leczenia przeciwwirusowego w latach 2018–2019. Wyniki analizy wpływu na budżet wykazały, że finansowanie terapii lekiem Maviret w populacji pacjentów z pWZW-C, zakażonych HCV o genotypach 1-6 leczonych bezinterferonowo, związany będzie z prognozowanym wzrostem wydatków, w przypadku uwzględnienia umów podziału ryzyka, które wyniosą około [redacted] w roku 2018 oraz [redacted] w roku 2019, prognozowanymi całkowitymi oszczędnościami płatnika publicznego związanymi z finansowaniem terapii lekiem Maviret, w przypadku braku uwzględnienia umów podziału ryzyka, które wyniosą około [redacted] w roku 2018 oraz [redacted] w roku 2019.

Oszczędności dla płatnika publicznego w wariancie nieuwzględniającym RSS wynikają z przejęcia części udziałów obecnie stosowanych schematów lekowych (strukturę i zmiany w rynku leków stosowanych w rozpatrywanym wskazaniu). Z kolei wykazane dodatkowe koszty inkrementalne w wariancie z RSS wynikają z uwzględnienia instrumentów podziału ryzyka dla alternatywnych schematów leczenia w scenariuszu istniejącym i nowym.

#### Główne argumenty decyzji

1. Nie przedstawiono badań randomizowanych, dowodzących wyższości lub porównywalnej skuteczności klinicznej terapii Maviret z technologiami opcjonalnymi. Wnioskodawca nie wykazał istotnej statystycznie przewagi z jakąkolwiek analizowaną technologią alternatywną. W związku z powyższym, wyniki analizy klinicznej cechują się niską wiarygodnością.
2. Obecnie, przy istniejących możliwościach terapeutycznych dla pacjentów z PZW C, największym problemem jest optymalna terapia dla osób zakażonych genotypem 3 oraz osób z zaawansowaną marskością wątroby. MaViret może być tylko stosowany u pacjentów z wyrównaną marskością wątroby (A wg Child-Pough), a brak jest dowodów na istotną statystycznie przewagę tej technologii z technologią alternatywną u pacjentów z genotypem 3.
3. Wprowadzenie tej opcji terapeutycznej generuje istotne wydatki (ponad [redacted]/rocznie) dla płatnika publicznego.
4. Jest to bardzo wartościowa technologia medyczna, lecz jej refundacja w oparciu o dostępne dane naukowe byłaby przedwczesna.

Dodatkowo, analitycy Agencji zwrócili uwagę, że zapisy programu lekowego „Leczenie przewlekłego wirusowego zapalenia wątroby typu C terapią



*bezinterferonową (ICD-10 B 18.2)“ nie wykluczają powtórne włączenie do programu i umożliwiają włączenie do leczenia GLE/PIB pacjentów po nieskuteczności wcześniejszych schematów opartych na DAA. W ChPL Maviret podkreślono, że produkt Maviret nie jest zalecany w powtórny leczeniu pacjentów, którzy byli wcześniej leczeni inhibitorami NS3/4A i (lub) NS5A.*

**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.4331.9.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Maviret (glecaprevirum/pibrentasvirum) we wskazaniu: w ramach programu lekowego: »Leczenie przewlekłego wirusowego zapalenia wątroby typu C terapią bezinterferonową (ICD-10 B 18.2)«”. Data ukończenia: 29.12.2017.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 5/2018 z dnia 8 stycznia 2018 roku  
w sprawie oceny leku Formetic (chlorowodorek metforminy)  
we wskazaniu: zespół policystycznych jajników

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych Formetic (chlorowodorek metforminy):*

- *tabletki powlekane, 500 mg, 30 tabletek, EAN: 5909990078943,*
  - *tabletki powlekane, 500 mg, 60 tabletek, EAN: 5909990078950,*
  - *tabletki powlekane, 500 mg, 90 tabletek, EAN: 5909990078967,*
  - *tabletki powlekane, 1000 mg, 30 tabletek, EAN: 5909990078974,*
  - *tabletki powlekane, 1000 mg, 60 tabletek, EAN: 5909990078981,*
  - *tabletki powlekane, 1000 mg, 90 tabletek, EAN: 5909990078998,*
- we wskazaniu: zespół policystycznych jajników, w ramach istniejącej grupy limitowej 15.0, jako leku dostępnego w aptece na receptę i wydawanie go za odpłatnością w wysokości 30%, przy proponowanej we wniosku cenie zbytu netto.*

### Uzasadnienie

#### Problem kliniczny i terapeutyczny

*Wniosek dotyczy problemu zdrowotnego o znaczącej randze społecznej. Dane epidemiologiczne wskazują, że zespół wielotorbielowatych jajników (PCOS, ang. Polycystic ovary syndrome) może dotyczyć 5-10%, a wg niektórych źródeł nawet 15% dziewcząt i kobiet w wieku reprodukcyjnym, licząc ten czas praktycznie od okresu pokwitania. Nazwa zespołu jest w jakimś sensie myląca, gdyż jest to choroba ogólnoustrojowa, o uwarunkowaniach wieloczynnikowych, w tym również genetycznych i środowiskowych, w której wielotorbielowatość jajników jest tylko jednym z objawów i kryteriów diagnostycznych. Zgodnie z szeregiem doniesień naukowych i wytycznych potwierdzenie istnienia mnogich torbieli jajników, nie jest nawet niezbędnym elementem dla rozpoznania choroby, a z drugiej strony może być objawem także wielu innych chorób. Wymaga to odpowiedniego postępowania różnicującego. Uważa się, że zaburzenia składające się na pojęcie PCOS dotyczą czterech głównych grup zagadnień: zakłóceń w mechanizmach działania hormonów steroidowych, nieprawidłowego działania układu podwzgórze-przysadka w zakresie*



wydzielania gonadotropin, głównie LH i regulacji tego procesu, mechanizmów działania insuliny oraz insulinooporności, a także nieprawidłowej regulacji energetycznej i zachwianych procesów metabolicznych związanych z tą regulacją, z otyłością jako skutkiem na czele. Choć wydaje się, że jednym z głównych problemów klinicznych w PCOS jest hiperandrogenizm, wymieniany wśród głównych przyczyn braku lub zaburzeń miesiączkowania, powstawania zmian torbielowatych w jajnikach oraz niepłodności dotyczącej od 20 do nawet 75% kobiet z PCOS, to zaburzenia ogólnoustrojowe dotyczą dziesiątek szlaków sygnałowych w zakresie w/w czterech głównych grup zagadnień. Szlaki te wzajemnie się zająbiają powodując, że niezależnie od wzajemnych interakcji różnych czynników, w omawianiu patogenezy objawów PCOS niejednokrotnie mylone są także skutki z przyczynami i odwrotnie. Powoduje to ogromne trudności w postępowaniu różnicującym, przyczynia się do bardzo szerokiego spektrum objawów chorobowych u poszczególnych pacjentek, z trudnymi często także do podjęcia decyzjami terapeutycznymi i oceną ich efektywności. Brak odpowiedniego nadzoru merytorycznego w zakresie algorytmów postępowania klinicznego i diagnostycznego powoduje, że liczby rejestrowanych pacjentek z PCOS dramatycznie de facto odbiegają od przewidywań epidemiologicznych. Może to rzutować także na efektywność innych świadczeń zdrowotnych, np. w zakresie technik wspomaganego rozrodu.

Wspomniane szlaki sygnałowe mogą tworzyć z punktu widzenia metabolicznego mechanizm zamkniętego koła. Niezależnie od rozpoznania lub braku insulinooporności, a także innych parametrów wskazujących na zaburzenia gospodarki węglowodanowej lub tłuszczowej, w badaniach naukowych różnej jakości – od mocnych po słabe – potwierdzono, że podawanie preparatów metforminy w przypadkach PCOS jest uzasadnione. W praktyce klinicznej niejednokrotnie obserwuje się również normalizację cyklu owulacyjnego w przypadkach podjęcia takiego leczenia. Lekarzy nadzorujących tego typu terapię nie zwalnia to oczywiście z obowiązku jej nadzorowania pod kątem ewentualnych działań niepożądanych, które zwykle nie są poważne i mają charakter przejściowy, a także z wyłączeniem z takiej terapii pacjentek, u których istnieją do tego wyraźne przeciwwskazania określone w charakterystykach produktów leczniczych oraz dostępnych wytycznych.

#### Dowody naukowe

W dostępnych różnej jakości doniesieniach naukowych oraz w zidentyfikowanych wytycznych i rekomendacjach podkreśla się znaczenie stosowania metforminy w I lub II linii leczenia PCOS, głównie w przypadkach potwierdzonej insulinooporności, a także w terapiach skojarzonych, przede wszystkim z cytrynianem kłomifenu. Niezależnie od tego należy uwypuklić znaczenie odpowiedniego postępowania różnicującego mającego na celu rzeczywiste rozpoznanie PCOS u kobiet spełniających przyjęte w tym zakresie

kryteria kliniczne i diagnostyczne. Każda terapia powinna być również skojarzona z poradnictwem dotyczącym trybu i stylu życia pacjentek z tą chorobą.

#### Problem ekonomiczny

Ceny zbytu netto preparatów metforminy nie są wysokie i z jednej strony nie przewiduje się znaczących wydatków płatnika publicznego związanych z ich refundacją oraz stosowaniem we wskazanym wskazaniu, a z drugiej strony może to tłumaczyć brak decyzji refundacyjnych w większości państw UE, wobec małych obciążeń finansowych dla pacjentek. Z drugiej strony umieszczenie preparatów metforminy na liście refundacyjnej we wskazanym wskazaniu PCOS może stanowić o dodatkowym zwróceniu uwagi na ten problem kliniczny.

#### Główne argumenty decyzji

Wniosek rozpatrywany przez Radę Przejrzystości dotyczy problemu zdrowotnego o istotnym znaczeniu społecznym jakim jest PCOS i powikłań tej choroby, z których jednym z najistotniejszych jest niepłodność kobiet w wieku prokreacyjnym. Stosowanie metforminy jest jedną z opcji terapeutycznych uwzględnianych w dostępnych wytycznych i rekomendacjach. Refundacja z odpłatnością 30% przez pacjentki nie powinna stanowić znaczącego obciążenia dla płatnika publicznego.

#### **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.4330.3.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Formetic (metformina) we wskazaniu: zespół policystycznych jajników”. Data ukończenia: 28 grudnia 2017 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 6/2018 z dnia 8 stycznia 2018 roku  
w sprawie oceny leku Adempas (riocyguat) w ramach programu  
lekowego: „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego riocyguatem  
w monoterapii i riocyguatem w skojarzeniu z bosentanem (TNP)  
(ICD-10: I27, I27.0)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych Adempas (riocyguat):*

- *tabletki powlekane, 0,5 mg, 42 tabl., kod EAN: 5908229300305,*
- *tabletki powlekane, 1 mg, 42 tabl., kod EAN: 5908229300336,*
- *tabletki powlekane, 1,5 mg, 42 tabl., kod EAN: 5908229300367,*
- *tabletki powlekane, 2 mg, 42 tabl., kod EAN: 5908229300398,*
- *tabletki powlekane, 2,5 mg, 42 tabl., kod EAN: 5908229300428,*

*w ramach programu lekowego „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego riocyguatem w monoterapii i riocyguatem w skojarzeniu z bosentanem (TNP) (ICD-10: I27, I27.0)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.*

*Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka.*

*Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego, wskazując jednocześnie na zasadność połączenia dwóch obecnie istniejących programów i ocenianego, jako jeden wspólny program.*

### **Uzasadnienie**

#### Problem kliniczny i terapeutyczny

*Tętnicze nadciśnienie płucne jest chorobą o bardzo złym rokowaniu. Jeszcze 10 lat temu 5 lat od rozpoznania przeżywało jedynie 60% chorych. Polscy pacjenci z nadciśnieniem płucnym leczeni są nowocześnie w ramach dwóch kosztownych programów lekowych B31 i B38.*

*Riocyguat jest stymulatorem rozpuszczalnej cyklazy guanylanowej i wpływa korzystnie na szereg procesów związanych z patogenozą tętniczego nadciśnienia płucnego takich jak zwiększone napięcie naczyniowe, proliferacja, włóknienie i zapalenie.*



### Dowody naukowe

*Opierają się na badaniach jednoramiennych PATENT-1, SERAPHIN, SERAPH oraz SUPER i porównaniach pośrednich i głównie na zastępczych punktach końcowych. Komparator, w porównaniu pośrednim, jakim jest połączenie sildenafilu i macytentanu, jest zasadny u osób z III klasą czynnościową WHO, nie jest komparatorem dla osób z II klasą czynnościową WHO, których ma obejmować wnioskowany program lekowy. Profil bezpieczeństwa riocyguatu nie jest gorszy niż komparatorów.*

### Problem ekonomiczny

*Analiza ekonomiczna, z uwagi na porównywalny efekt kliniczny, opierała się na minimalizacji kosztów. W pierwszym roku NFZ zaoszczędzi na tym programie [redacted] a w drugim [redacted].*

### Główne argumenty decyzji

*Lek ten jest równie dobry, a istotnie tańszy niż terapie alternatywne.*

### **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.4331.5.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Adempas (riocyguat) w ramach programu lekowego: »Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego riocyguatem w monoterapii i riocyguatem w skojarzeniu z bosentanem (TNP) (ICD-10: I27, I27.0)«”. Data ukończenia: 27 grudnia 2017 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 7/2018 z dnia 8 stycznia 2018 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka  
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego  
Milupa Leu 2 Prima we wskazaniach: kwasica izowalerioanowa,  
3-metylokrtonyloglicynuria

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa Leu 2 Prima, proszek, 500 g, we wskazaniach: kwasica izowalerianowa, 3-metylokrtonyloglicynuria.*

### Uzasadnienie

#### Problem kliniczny i terapeutyczny

*Kwasica izowalerianowa jest acydurią organiczną dziedziczną autosomalnie recesywnie, charakteryzującą się niedoborem dehydrogenazy izowalerylo – CoA, biorącej udział w przemianach metabolicznych leucyny. Powoduje to akumulację kwasu izowalerianowego, toksycznego dla ośrodkowego układu nerwowego.*

*Chorobę cechuje duża zmienność obrazu klinicznego. Może ujawnić się w niemowlęctwie ostrymi objawami m.in. wymiotami, drgawkami, ostrym zapaleniem trzustki, łagodnym lub ciężkim opóźnieniem rozwoju albo w okresie dzieciństwa kwasicą metaboliczną, wywołaną przez długie głodzenie, zwiększoną podaż bogatobiałkowych pokarmów lub infekcją. Choroba może być śmiertelna, jeżeli natychmiast nie wdroży się leczenia. Opisywano również przewlekły przebieg choroby z okresowymi zaostrzeniami, a także pacjentów bezobjawowych.*

*Częstość występowania szacuje się na 1: 62 500 żywych urodzeń (Niemcy), do 1: 250 000 (USA).*

*Leczenie polega na stosowaniu diety o umiarkowanym ograniczeniu leucyny i suplementacji L-karnityny, podawaniu glicyny oraz leczeniu objawowym i podtrzymującym.*

*3-metylokrtonyloglicynuria, czyli niedobór karboksylazy 3-metylokrtonolo - CoA jest dziedzicznym autosomalnie recesywnie zaburzeniem metabolizmu*



leucyny, prowadzącym do gromadzenia toksycznych produktów przewarzenia leucyny.

Chorobę charakteryzuje duża zmienność obrazu klinicznego – od przełomu metabolicznego w niemowlęctwie, do braku objawów w wieku dorosłym.

Wiele zdiagnozowanych noworodków nie ma objawów choroby. Większość pacjentów objawowych rośnie i rozwija się prawidłowo aż do pojawienia się ostrego przełomu metabolicznego, występującego zwykle po infekcji, głodówce lub wprowadzeniu diety bogatobiałkowej. Objawami przełomu jest śpiączka, bezdech, wymioty, rzadko zaburzenia neurologiczne (epizody udaropodobne, niedowład połowiczny, encefalopatia), osłabienie napięcia mięśni, opóźnienie rozwoju psychoruchowego.

Częstość występowania w Europie szacuje się na 1: 30 000 do 1: 50 000.

Pacjenci bezobjawowi często nie wymagają leczenia. Niektórzy chorzy mogą wymagać suplementacji L-karnityny. Dieta ograniczająca spożycie leucyny zwykle nie jest konieczna.

Milupa leu 2 prima jest środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego. Zawiera mieszaninę L- aminokwasów bez leucyny oraz składniki mineralne, pierwiastki śladowe, witaminy, maltodekstrynę i wanilinę.

Wskazaniem do stosowania jest m.in. kwasica izowalerianowa i niedobór karboksylazy 3-metylokrotono-CoA. Przeznaczona jest do doustnego stosowania u pacjentów powyżej 1 roku życia, pod ścisłym nadzorem lekarza. Środka nie można stosować jako jedyne źródła pożywienia.

#### Dowody naukowe

Nie odnaleziono badań dotyczących stosowania środka Milupa leu 2 prima w omawianych wskazaniach.

Odnaleziono 4 rekomendacje kliniczne - amerykańską (NEC) i brytyjskie BIMDG 2008, BIMDG dietetic management pathway 2015, BIMDG clinical management guidelines 2017 dotyczące leczenia kwasicy izowalerianowej oraz 1 rekomendację amerykańską (NEC) dotyczącą leczenia 3-metylokrotonyloglicynurii.

W żadnej z nich nie wymieniono preparatu Milupa leu 2 prima, ani nazwy innego środka specjalnego przeznaczenia żywieniowego. Zgodnie z rekomendacjami:

- w kwasicy izowalerianowej po ustabilizowaniu stanu pacjenta zaleca się włączenie preparatu aminokwasów bez leucyny, u pacjentów bez mutacji 932C>T w złym stanie zaleca się ograniczenie białka. U niemowląt karmionych piersią zaleca się niewielką objętość odżywki bezbiałkowej lub bez leucyny, a u niemowląt karmionych butelką odpowiednie łączenie produktów białkowych i bezbiałkowych lub bez leucyny,

- w 3-metylokrotonyloglicynurii, w ostrej fazie choroby zaleca się podanie roztworów glukozy lub dekstrozy, wodorowęglanów w przypadku kwasicy metabolicznej, karnityny oraz zwalczanie czynników powodujących dekompensację metaboliczną.

Z przeglądu metod leczenia kwasicy izowalerianowej, opisanej w publikacji Pinto A., Daly A. Evans E i wsp. „Dietary practices in isovaleric acidemia. A European survey.” *Molecular Genetics and Metabolism Reports*, Vol. 12, Sep. 2017, pp. 16-22 wynika, że w ponad połowie ośrodków europejskich stosuje się produkty wolne od leucyny. (Ankiety rozesłano do 53 ośrodków z 14 krajów europejskich, w tym do Polski. W 39 leczono 140 pacjentów z kwasicą izowalerianową, w 61% ośrodków stosowano produkty wolne od leucyny).

Polscy eksperci wypowiadają się za refundacją preparatu Milupa leu 2 prima, wskazując na stosowanie tego produktu (i innych preparatów bez leucyny) w praktyce klinicznej i podkreślają że:

- stosowanie preparatu pozwala na racjonalizację reżimu dietetycznego i lepsze wyrównanie metaboliczne u pacjentów po 1 roku życia, co prowadzi do poprawy jakości ich życia i rokowania na przyszłość,
- obie choroby w stanach katabolizmu, zagrażają dekompensacją metaboliczną. Produkt powinno się stosować w każdym przypadku ryzyka wystąpienia dekompensacji metabolicznej,
- w ciężkich postaciach kwasicy izowalerianowej ograniczenie podaży białka, w tym leucyny wymaga zastosowania preparatów wolnych od leucyny,
- stosowania Milupy leu 2 prima wymagają tylko wybrani chorzy objawowi z 3-metylokrotonyloglicynurią i objawowi chorzy z kwasicą izowalerianową,
- w sytuacji zaburzeń łaknienia i problemów żywieniowych istnieje potrzeba zmniejszenia objętości pokarmu, co zapewnia skoncentrowany produkt, jakim jest Milupa leu 2 prima,
- dostępność różnych preparatów rozszerza gamę produktów i wiąże się z lepszym przestrzeganiem zaleceń lekarza.

#### Problem ekonomiczny

Ze względu na brak danych o populacji docelowej nie można oszacować wpływu finansowania preparatu Milupa leu 2 prima w ramach importu docelowego na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczenia.

Z dostępnych danych z lat ubiegłych wynika, że problem dotyczy bardzo niewielkiej liczby chorych.

Od 01.01.15 do 26.05.17 wydano 13 zgód na refundację 56 opakowań produktu we wskazaniu kwasica izowalerianowa i 7 zgód na refundację 39 opakowań we wskazaniu 3-metylokrotonyloglicynuria.

*Brak danych o refundacji alternatywnych środków.*

*Żaden z preparatów stanowiących alternatywę dla środka Milupa leu 2 prima nie jest refundowany w Polsce.*

*Główne argumenty decyzji*

*Za refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa leu 2 prima przemawia stosowanie go w praktyce klinicznej w Polsce i innych krajach europejskich.*

*Żaden z preparatów stanowiących alternatywę dla produktu Milupa leu 2 prima nie jest w Polsce refundowany. Ich dobór zależy od wieku dziecka (IVA Anamix Infant – niemowlęta i dzieci do 3 r.ż., IVA Anamix Junior – dzieci od 1 do 10 r.ż., Milupa leu 1 – niemowlęta, Milupa leu 2 prima – powyżej 1.r.ż, Xleu Maxamum – powyżej 8 r.ż i kobiety w ciąży), IVA Cooler 15), jego indywidualnej tolerancji i akceptacji.*

**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 2017 r., poz. 1938 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.431.5.2017 „Milupa leu 2 prima we wskazaniach: kwasica izowalerianowa 3-metylokrotonyloglicynuria”. Data ukończenia: 5 stycznia 2018 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 8/2018 z dnia 8 stycznia 2018 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka  
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Rena Start  
we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek (ICD-10: N18.0)

*Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Rena Start, proszek, puszka á 400 g, we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek (ICD-10: N18.0).*

### Uzasadnienie

#### Problem kliniczny i terapeutyczny

*Przewlekła choroba nerek (PChN) jest to uszkodzenie nerek trwające ponad 3 miesiące. Chorobę dzieli się na 5 stadiów, w zależności od upośledzenia filtracji kłębuszkowej (eGFR), z których ostatnim stadium jest schyłkowa niewydolność nerek, wymagająca leczenia nerkozastępczego. Częstość występowania PChN wśród dzieci w wieku poniżej 16 lat wynosi 1,5-3 na 1 000 000 [Whyte 2009]. W Europie częstość występowania ostatniego stadium choroby nerek u dzieci <1 roku wynosi 9-16/milion/rok, czyli prawie dwukrotnie więcej niż dla całej populacji pacjentów w wieku 0-15 lat [EPDWG 2012].*

*Leczenie zachowawcze, stosowane w stadiach 1-4, polega na stosowaniu diety z obniżoną zawartością białka, sodu, fosforanów i potasu oraz na zwalczaniu objawów (nadciśnienie, niedokrwistość, kwasica, zaburzenia elektrolitowe, mineralne, kostne, niskowzrost i inne).*

*Rena Start jest to wysokoenergetyczny produkt z niską zawartością białek, wapnia, chlorku, potasu, fosforu i witaminy A. Zawiera białko serwatkowe, aminokwasy, węglowodany, tłuszcze, witaminy, minerały, pierwiastki śladowe i długołańcuchowe wielonienasycone kwasy tłuszczowe (LCP): kwas arachidonowy (AA) i dokozaheksaenowy (DHA). W 100 g zawiera: 7,5 g białka, 60 g węglowodanów (4 g cukru), tłuszczów 23 g, co daje energię 477 kcal.*

#### Dowody naukowe

*W wyniku przeprowadzonego przeglądu systematycznego, analitycy Agencji odnaleźli jedno badanie Desloovere 2014 (abstrakt) dotyczące ocenianej technologii medycznej. 18 pacjentów (średnia wieku 0,6 roku) z hiperkaliemią*



(>4,8 mmol K+/l) z powodu choroby nerek otrzymywało Rena Start (Vitaflo). Większość osób dostawało sam środek Rena start (72%), pozostali otrzymywali też mieszanki niemowlęce (17%) lub pokarmy stałe (11%). Zastosowanie środka Renastart pozwoliło na normalizację potasu (3,6-4,8 mmol K+/l) u każdego niemowlęcia lub dziecka.

Na stronie rejestru badań odnaleziono informacje o trwającym badaniu wielośrodkowym dotyczącym ocenianej technologii medycznej (15 pacjentów w wieku od urodzenia do 10 roku życia z PChN). Datę zakończenia badania przewidziano na grudzień 2017 r., ale 5.01.2018 znajdowało się ono ciągle w stadium rekrutacji.

Odnaleziono 4 brytyjskie wytyczne, w tym 2 z nich wydane przez producenta ocenianego ŚSSPŻ, w których zalecano Rena Start do stosowania w niewydolności nerek lub w hiperkaliemii wywołanej chorobą nerek u niemowląt lub dzieci w wieku 1-10 lat. W pozostałych wytycznych zalecano indywidualne dostosowanie diety u dzieci z przewlekłą chorobą nerek, przez wykwalifikowania dietetyka, w tym obniżenie potasu w przypadku wystąpienia hiperkaliemii lub ryzyka jej wystąpienia.

Odnaleziono także informację, że australijski PBAC w 2013 r. umieścił na liście refundacyjnej ŚSSPŻ, ale tylko z możliwością nabycia 4-5 puszek dla jednego dziecka.

#### Problem ekonomiczny

Cena 400 g opakowania Renastart Vitaflo wynosi w UK 33 funty, w Finlandii 78,33 Euro zaś w Australii 1500 dolarów za 6 opakowań po 400 g (z czego pacjent dopłaca 39,50 dolarów). W latach 2016-2017 sprowadzono do Polski łącznie 766 opakowania środka Rena Start w ocenianym wskazaniu na łączną kwotę refundacji wynoszącą 170 205,20 zł netto.

#### Główne argumenty decyzji

Brak jest twardych dowodów na skuteczność Rena Start (poprawa stanu odżywienia i wzrostu, wydłużenie czasu do rozpoczęcia dializ itp.). Jedyne opisane badanie zostało opublikowane jako abstrakt (Desloovere 2014) i dotyczyło skuteczności Rena Startu w zwalczaniu hiperkaliemii u 18 noworodków i dzieci od 0-3,5 roku (średnio 0,6 roku). W hiperkaliemii stosuje się w Polsce żywicę jonowymienną (Resonium), która jest refundowanym produktem o udowodnionej skuteczności.

**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 2017 r., poz. 1938 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.4311.7.2017 „Rena Start we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek (ICD-10: N18.0)”. Data ukończenia: 03 stycznia 2018.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 9/2018 z dnia 8 stycznia 2018 roku  
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej  
„Angioplastyka naczyń obwodowych kończyn dolnych (tętnice udowe  
i podkolanowe) z wykorzystaniem balonu uwalniającego lek”  
jako świadczenia gwarantowanego

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Angioplastyka naczyń obwodowych kończyn dolnych (tętnice udowe i podkolanowe) z wykorzystaniem balonu uwalniającego lek” jako świadczenia gwarantowanego, realizowanego w warunkach szpitalnych.*

### Uzasadnienie

#### Problem kliniczny i terapeutyczny

*Choroby związane z niedrożnością tętnic obwodowych są problemem o rosnącym znaczeniu klinicznym. Ich najczęstszą przyczyną jest miażdżyca, czyli przewlekły, powolny proces cechujący się zwężeniem lub zamknięciem światła naczyń poprzez odkładanie się w błonie wewnętrznej tętnicy blaszki miażdżycowej. U pacjentów z objawami najbardziej typowymi początkowy obraz kliniczny ma postać chromania przestankowego. Przewlekłe niedokrwienie grożące utratą kończyny definiuje się jako występowanie spoczynkowego bólu wywołanego niedokrwieniem, który może, ale nie musi, się łączyć z utratą tkanek (owrzodzenia, martwica) lub zakażeniem. Wyniki metaanalizy wskazują, że u większości pacjentów z chromaniem przestankowym stwierdzono zwiększoną skumulowaną 5-letnią chorobowość z przyczyn sercowo-naczyniowych, wynoszącą 13% w porównaniu z 5% w populacji referencyjnej. Oceniając ryzyko dotyczące kończyny, stwierdzono, że po 5 latach progresja do krytycznego niedokrwienia tętnic nastąpiła u 21% pacjentów, spośród których u 4–27% wykonano amputację. Aktualnie standardowym postępowaniem w terapii chorób tętnic kończyn dolnych jest przeprowadzenie terapii interwencyjnej, czyli rewaskularyzacji wewnątrznaczyniowej (angioplastyka balonowa naczyń, stentowanie) lub terapii chirurgicznej (np. pomostowanie naczyniowe). Wybór metody uzależniony jest od stopnia zaawansowania choroby.*





### Dowody naukowe

Wyniki metaanalizy (Wu 2016) 4 RCT wskazują, że angioplastyka z balonem uwalniającym lek (Drug eluting balloon - DEB) w porównaniu do angioplastyką balonową (ang. percutaneous transluminal angioplasty - PTA) wykazuje taką samą skuteczność i bezpieczeństwo w leczeniu pacjentów z krytycznym niedokrwieniem kończyny w odniesieniu do tętnic podkolanowych. W dwunastomiesięcznym okresie obserwacji, w odniesieniu do wszystkich punktów końcowych (późna utrata światła, binarna restenoza, docelowa rewaskularyzacja zmiany, poważne zdarzenia niepożądane) nie stwierdzono istotnych statystycznie różnic.

Według opinii autorów metaanalizy, nie odnaleziono wystarczających dowodów pozwalających wskazać, która metoda, DEB lub PTA, jest lepsza od drugiej.

Przegląd systematyczny (Kayssi, 2016) obejmujący 11 RCT, doprowadził jego autorów do wniosku, o przewadze DEB nad angioplastyką balonową nieuwalniającą leku, bez założenia stentu w leczeniu choroby tętnic obwodowych kończyn dolnych w okresie do 5 lat od zabiegu, w kilku punktach końcowych. Jakość dowodów naukowych można określić na niską do wysokiej, w zależności od rozpatrywanego punktu końcowego. Przewaga DEB ograniczona jest do tzw. anatomicznych punktów końcowych (tj. pierwotna drożność tętnicy, późna utrata światła, rewaskularyzacja zmiany docelowej, binarna restenoza). Nie mniej jednak, nie ma wystarczającej liczby dowodów pozwalających na przeprowadzenie wiarygodnego porównania obu interwencji w zakresie zmian jakości życia oraz wskaźniku utraty zdolności do chodzenia. Ponieważ wśród pacjentów z chorobą tętnic obwodowych odnotowuje się wysoki wskaźnik konieczności ponownych rewaskularyzacji z powodu restenozy, lepsze efekty jakie daje DEB w tzw. anatomicznych punktach końcowych, zachęcają do dalszych badań. Nie mniej jednak, zanim będzie można stwierdzić przewagę DEB nad angioplastyką balonową nieuwalniającą leku, bez założenia stentu, potrzebne są dane z długookresowych obserwacji klinicznych. Jest to istotne również przez wzgląd na wyższe koszty przeprowadzenia DEB.

Do podobnych wniosków prowadzi drugi przegląd systematyczny, obejmujący 11 RCT (Barkat, 2016). Zanalizowane w nim dane wskazują, iż w leczeniu choroby tętnic obwodowych, DEB w porównaniu do PTA wykazuje większą skuteczność przeciwrestenotyczną, ponadto jest metodą bezpieczną. Odnalezione dowody naukowe wskazują na brak istotnych statystycznie różnic między DEB i PTA w odniesieniu do częstości dużych amputacji oraz zgonów. Autorzy przeglądu zwracają jednak uwagę na brak wyników badań dla długoterminowych okresów obserwacji. Zgodnie z opinią autorów przeglądu, konieczne jest dalsze prowadzenie RCT koncentrujących się na klinicznych i funkcjonalnych wynikach stosowania DEB, a także porównaniu kosztów procedury z jej wynikami klinicznymi.

*Rada jest zdania, że właściwym komparatorem dla DEB powinna być angioplastyka z wykorzystaniem stentów metalowych (BMS).*

#### Problem ekonomiczny

*Zarówno wnioskodawca, jak i AOTMiT, nie opracował szczegółowej analizy ekonomicznej. Wnioskodawca przyjął, że świadczenie będzie finansowane ze środków publicznych w całości. Istnieją rozbieżności pomiędzy liczbą zabiegów rocznie szacowaną przez NFZ – ok. 3000, a zawartą w tzw. Karcie Problemu Zdrowotnego (KPZ) – ok. 13 tys.*

*Ogółem jednostkowy koszt wnioskowanego świadczenia oszacowano na 7 492 – 7 792 zł, a koszt PTA wynosił w 2017 roku 5 192 zł.*

*Zgodnie z opinią NFZ roczny skutek finansowy wprowadzenia nowego świadczenia do koszyka świadczeń gwarantowanych to ok. 5 mln zł, natomiast zgodnie z analizą wpływu na budżet przedstawioną w KPZ maksymalny koszt inkrementalny dla budżetu płatnika szacuje się na poziomie 20-25,2 mln zł.*

#### Główne argumenty decyzji

*Wnioskowane świadczenie jest rekomendowane m. in. przez ESC (2017) i NICE oraz przez zagranicznych i polskich ekspertów.*

#### **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 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr OT.430.3.2017 „Angioplastyka naczyń obwodowych kończyn dolnych (tętnice udowe i podkolanowe) z wykorzystaniem balonu uwalniającego lek”. Data ukończenia: 5 stycznia 2018 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 2/2018 z dnia 8 stycznia 2018 roku

w sprawie substancji czynnej oksaliplatyna we wskazaniach pozarejestacyjnych: chłoniak rozlany z dużych komórek B – DLBCL (ICD-10 C83, C85.7), chłoniak grudkowy – transformacja w DLBCL (ICD-10 C82, C83, C85.7), przewlekła białaczka limfocytowa/chłoniak z małych limfocytów B – Zespół Richtera (ICD-10 C91, C85.7, C83), chłoniak z komórek płaszczka (ICD-10 C85.7), pozawęzłowy chłoniak z komórek T/NK typu nosowego i inne z komórek T (ICD-10 C84), chłoniak Hodgkina (ICD-10 C81)

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną oksaliplatyna we wskazaniach pozarejestacyjnych: chłoniak rozlany z dużych komórek B – DLBCL (ICD-10 C83, C85.7), przewlekła białaczka limfocytowa/chłoniak z małych limfocytów B – Zespół Richtera (ICD-10 C91, C85.7, C83), pozawęzłowy chłoniak z komórek T/NK typu nosowego i inne z komórek T (ICD-10 C84), chłoniak Hodgkina (ICD-10 C81).*

*Jednocześnie Rada Przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną oksaliplatyna we wskazaniach pozarejestacyjnych: chłoniak grudkowy – transformacja w DLBCL (ICD-10 C82, C83, C85.7), chłoniak z komórek płaszczka (ICD-10 C85.7).*

#### Uzasadnienie

##### Problem kliniczny i terapeutyczny

##### *Chłoniaki rozlane z dużych komórek B*

*Chłoniaki nieziarnicze (NHL, ang. non-Hodgkin lymphoma) to nowotwory tkanki limfatycznej, krwiotwórczej i tkanek pokrewnych. Cechą charakterystyczną NHL jest rozrost klonalny komórek limfoidalnych odpowiadających różnym stadiom zróżnicowania prawidłowych limfocytów B, T lub naturalnych komórek cytotoksycznych (NK).*

##### *Chłoniak grudkowy*

*Chłoniak grudkowy (syn. guzkowy; FL, Follicular Lymphoma) jest jednym z częstszych podtypów przewlekłych chłoniaków nieziarniczych (INHL, Indolent Non-Hodgkin Lymphoma). Wywodzi się on z komórek B, które pochodzą*



z ośrodków rozmnażania grudek chłonnych. Chłoniak grudkowy jest chorobą związaną z wydłużonym przeżyciem komórek, a nie z ich nadprodukcją.

#### *Przewlekła białaczka limfocytowa*

Przewlekłą białaczkę limfocytową (CLL, ang. *Chronic Lymphocytic Leukemia*) definiuje się jako monoklonalną limfocytozę B-komórkową, trwającą co najmniej 3 miesiące, o wartości powyżej  $5 \times 10^9/l$  lub bez względu na wysokość limfocytozy w przypadku obecności cytopenii we krwi obwodowej wtórnej do zajęcia szpiku.

#### *Chłoniak z komórek płaszczka*

Chłoniak z komórek płaszczka (ang. *mantle cell lymphoma, MCL*) to nowotwór złośliwy, należący do grupy chłoniaków nieziarnicznych (ang. *non-Hodgkin lymphomas, NHL*). Wywodzi się z dojrzałych, obwodowych limfocytów B i nacieka strefę płaszczka wokół ośrodków rozmnażania grudek chłonnych. MCL wykazuje cechy zarówno chłoniaków o przebiegu agresywnym (szybki wzrost), jak i przewlekłym (nieuleczalność). Choroba ma charakter uporczywie nawrotowy, a wraz z jej postępem okresy remisji stają się coraz krótsze.

#### *Pozawęzłowy chłoniak z komórek T/NK typu nosowego i inne z komórek T*

Ze względu na morfologiczną i funkcjonalną heterogenność komórek limfoidalnych, a także ze względu na ich obecność w wielu narządach organizmu, chłoniaki nieziarniczne (NHL, *non-Hodgkin lymphoma*) są zróżnicowaną histopatologicznie i klinicznie grupą nowotworów. Chłoniaki wywodzące się z komórek NK stanowią 2%. Chłoniaki z dojrzałych komórek T (*mature T-cell neoplasms*) są klonalnymi nowotworami wywodzącymi się z pograsiczych limfocytów T. Nowotwory z dojrzałych komórek NK (*mature NK-cell neoplasms*) pochodzą z limfoidalnych prekursorów różnicujących się w kierunku komórek naturalnej cytotoksyczności. Pierwotne chłoniaki skóry to heterogenna grupa nowotworów układu chłonnego, z których około 65% wywodzi się z dojrzałych limfocytów T (CTCL, *cutaneous T-cell lymphoma*). Chłoniaki skóry definiuje się jako pierwotnie skórne, jeżeli rozrost chłoniakowy jest ograniczony wyłącznie do skóry i przy rozpoznaniu nie stwierdza się zmian w węzłach chłonnych, szpiku czy narządach wewnętrznych. Chłoniaki z obwodowych limfocytów T (PTCL) stanowią grupę rzadkich nowotworów wywodzących się z post-grasiczych limfocytów. Chłoniaki z obwodowych komórek T, bliżej nieokreślone (PTCL NOS, *peripheral T-cell lymphoma, not otherwise specified*) są heterogenną morfologicznie grupą chłoniaków, jednak o podobnym przebiegu klinicznym. Są najczęstszą postacią chłoniaków T-komórkowych i stanowią około 50% z nich oraz około 5% wszystkich nowotworów układu chłonnego.

#### *Chłoniak Hodgkina*

Ziarnica złośliwa, choroba Hodgkina (Hodgkin's lymphoma – HL) obejmuje grupę chorób nowotworowych tkanki limfoidalnej z charakterystycznymi komórkami Reed i Sternberga oraz Hodgkina (otoczonych komórkami odczynowymi). Wymienione komórki wywołują masywny odczyn normalnych limfocytów w węzłach chłonnych, co dominuje w obrazie mikroskopowym ziarniczo zmienionego węzła. Choroba rozwija się głównie w obrębie węzłów chłonnych, ale wykazuje tendencję do szerzenia się początkowo na inne węzły chłonne przez ciągłość, a w bardziej zaawansowanych stadiach także drogą naczyń krwionośnych do odległych struktur limfatycznych i narządów wewnętrznych np. śledziony, wątroby, szpiku, kości.

### Dowody naukowe

#### *Chłoniak rozlany z dużych komórek B – DLBCL*

Odnalezione jedynie europejskie wytyczne z 2015 r. wskazują na możliwość zastosowania schematu chemioterapii zawierającego oksaliplatynę w ramach terapii ratunkowej R-GEMOX (rytuksymab, gemcytabina, oksaliplatyna), w przypadku gdy nie ma możliwości zastosowania chemioterapii wysokodawkowej. Polskie wytyczne wskazują natomiast, iż pacjenci, u których nie można przeprowadzić intensywnej chemioterapii i auto-HSCT ze względu na wiek, stan ogólny lub choroby towarzyszące, powinni być poddani chemioterapii alternatywnej w stosunku do tej, jaką zastosowano w pierwszej linii, nie wskazano jednak konkretnych schematów leczenia. Wytyczne jako wysokodawkową chemioterapię w nawrotach, wskazują różne schematy leczenia: rytuksymab, CHOP, CHOEP, ACVBP, Hyper-CVAD (cykl 1. i 3.) z MA (cykl 2. i 4.), ICE, DHAP, ESHAP, Dexamethasone-BEAM, R-CHOP, R-ICE, R-GDP.

#### *Chłoniak grudkowy – transformacja w DLBCL*

Odnalezione wytyczne polskie z 2013 r., europejskie z 2016 r. i brytyjskie z 2017 r. nie wskazują na możliwość stosowania oksaliplatyny w terapii pacjentów, u których doszło do transformacji chłoniaka grudkowego w DLBCL. Polskie wytyczne wskazują na możliwość stosowania terapii wykorzystywanych w leczeniu DLBCL, europejskie wytyczne wskazują na schematy oparte na antracyklinie (R-CHOP), natomiast brytyjskie wytyczne wskazują na możliwości stosowania terapii konsolidacyjnej z przeszczepem, jednak nie wskazują konkretnych substancji.

#### *Przewlekła białaczka limfocytowa (PBL)/ chłoniak z małych limfocytów B – Zespół Richtera (RS)*

W przypadku Zespołu Richtera odnaleziono jedynie polskie wytyczne PTOK z 2013 r. i wytyczne europejskie ESMO z 2015 r. Jedynie europejskie wytyczne wskazują na możliwość zastosowania w leczeniu schematu opartego na oksaliplatynie (OFAR – oksaliplatyna, fludarabina, cytarabina i rytuksymab). Według polskich

wytycznych sposób leczenia Zespołu Richtera powinien opierać się na takich samych zasadach jak sposób leczenia DLBCL.

#### *Chłoniak z komórek płaszczka*

Odnalezione polskie wytyczne pochodzą z 2013 r., natomiast brytyjskie i europejskie z 2017 r. Żadne z wytycznych nie wskazują możliwości stosowania oksaliplatyny u pacjentów z chłoniakiem z komórek płaszczka. W wytycznych wskazuje się przede wszystkim terapię oparte na rytuksymabie.

#### *Pozawęzłowy chłoniak z komórek T/NK typu nosowego i inne z komórek T*

Wytyczne ESMO wskazują możliwość rozważenia stosowania schematu zawierającego oksaliplatynę (schematy oparte na gemcytabinie np.: GELOX (gemcytabina, L-asparginaza, oksaliplatyna) u pacjentów z nawrotem pozawęzłowego chłoniaka z komórek T/NK typu nosowego, którzy stosowali wcześniej schemat leczenia zawierający L-asparginazę jako terapię ratunkową.

#### *Chłoniak Hodgkina*

Odnaleziono wytyczne dwóch organizacji dotyczących leczenia chłoniaka Hodgkina (PTOK i ESMO). Wytyczne nie wskazują możliwości stosowania oksaliplatyny. Niemniej w polskich wytycznych wskazano, iż od najczęściej stosowanych w praktyce terapii należą schematy oparte na związku platyny – cisplatynie: DHAP, ESHAP, ASHAP, ICE.

#### Problem ekonomiczny

Wyniki uproszczonej analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego wskazują, że w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji leków zawierających oksaliplatynę w analizowanych wskazaniach roczne wydatki płatnika wyniosą ok. 1,3 mln zł przy przyjęciu podstawowych założeń dotyczących liczby cykli i dziennej dawki na poziomie 100 mg/m<sup>2</sup> i 1,71 mln zł przy przyjęciu, iż dzienna dawka wynosi 130 mg/m<sup>2</sup>.

Nie odnaleziono rekomendacji refundacyjnych dla substancji czynnej oksaliplatyna w analizowanych wskazaniach.

#### Główne argumenty decyzji

Przedstawiono rekomendacje kliniczne 3 organizacji – polskiej (PTOK), europejskiej (ESMO) i brytyjskiej (NICE). Jedyne wytyczne europejskie ESMO 2015 w trzech na sześć analizowanych wskazań – w chłoniaku rozlanym z dużych komórek B (DLBCL), przewlekłej białaczce limfocytowej (PBL)/chłoniaku z małych limfocytów B – Zespole Richtera (RS) oraz pozawęzłowym chłoniaku z komórek T wskazywały na możliwość stosowania schematu leczenia zawierającego oksaliplatynę. W przypadku transformacji chłoniaka grudkowego żadne z wytycznych nie wskazywały na stosowanie oksaliplatyny, podobnie jak w przypadku chłoniaka z komórek płaszczka, przy którym jako opcję leczenia wskazywano przede wszystkim terapię oparte na rytuksymabie. W przypadku

*chłoniaka Hodgkina również nie wskazano na stosowanie oksaliplatyny, ale w wytycznych polskich jako terapię najczęściej stosowaną w tym wskazaniu wymieniono schematy oparte na cisplatynie, która jest związkiem platyny.*

*Nie odnaleziono rekomendacji refundacyjnych dla substancji czynnej oksaliplatyna w analizowanych wskazaniach.*

#### **Przedmiot zlecenia**

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w pismach PLA.4604.957.2017.PP.1 z dnia 29.11.2017 r. oraz PLA.4604.957.2017.PP.2 z dnia 07.12.2017 r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie substancji czynnej oxaliplatinum, we wskazaniach: chłoniak rozlany z dużych komórek B – DLBCL (C83, C85.7), chłoniak grudkowy – transformacja w DLBCL (C82, C83, C85.7), przewlekła białaczka limfocytowa/chłoniak z małych limfocytów B – Zespół Richtera (C91, C85.7, C83), chłoniak z komórek płaszczka (C85.7), pozawęzłowy chłoniak z komórek T/NK typu nosowego i inne z komórek T (C84), chłoniak Hodgkina (C81).

#### **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 objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr: OT.4321.9.2017 „Oksaliplatyna we wskazaniach: innych niż określone w ChPL”. Data ukończenia: 4 stycznia 2018 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 3/2018 z dnia 8 stycznia 2018 roku  
o projekcie programu „Ogólnopolski program profilaktyki w zakresie  
miażdżycy tętnic i chorób serca poprzez edukację osób  
z podwyższonymi czynnikami ryzyka sercowo-naczyniowego  
(KORDIAN)”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Ogólnopolski program profilaktyki w zakresie miażdżycy tętnic i chorób serca poprzez edukację osób z podwyższonymi czynnikami ryzyka sercowo-naczyniowego (KORDIAN)”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

### Uzasadnienie

*Wnioskodawca przedstawił obszerny opis problemu zdrowotnego, jakim są choroby układu sercowo-naczyniowego, w tym informacje dotyczące czynników ryzyka występowania chorób układu sercowo-naczyniowego, wymieniając zarówno czynniki modyfikowalne, jak i niemodyfikowalne. Wnioskodawca szczególną uwagę zwrócił na czynniki modyfikowalne, w szczególności zmianę stylu życia. Powołał się także na mapy potrzeb zdrowotnych, przedstawiając dane w zakresie prognoz dotyczących chorób kardiologicznych. Zgodnie z nimi w związku z procesem starzenia się ludności, należy oczekiwać wzrostu liczby nowych przypadków chorób kardiologicznych oraz wzrost liczby nowych pacjentów z chorobami kardiologicznymi (426 tys. w 2025 r.). Analizując zachorowalność w zależności od regionu, największą liczbę pacjentów kardiologicznych w roku 2025 należy spodziewać się w województwach: mazowieckim, śląskim, wielkopolskim oraz małopolskim.*

*W opisie problemu zdrowotnego odniesiono się również do kwestii prewencji chorób sercowo-naczyniowych wskazując, że powinna ona odbywać się na różnych poziomach – w populacji ogólnej „poprzez promowanie zachowań składających się na zdrowy styl życia” oraz indywidualnie „u osób z umiarkowanym lub dużym ryzykiem chorób sercowo-naczyniowych bądź z rozpoznaną chorobą sercowo-naczyniową poprzez przeciwdziałanie niezdrowemu stylowi życia (...) oraz ograniczenie czynników ryzyka sercowo-naczyniowego, takich jak stężenie lipidów czy ciśnienie tętnicze”.*





Głównym celem programu jest „profilaktyka chorób układu sercowo-naczyniowego u osób w wieku aktywności zawodowej, ze szczególnym uwzględnieniem identyfikacji pacjentów obciążonych genetycznie FH, w okresie i na terenie realizacji programu”.

W ramach programu planuje się przeprowadzenie następujących interwencji: edukacji zdrowotnej (dot. wybranych pracowników ochrony zdrowia oraz docelowej grupy pacjentów), konsultacji lekarskiej/pielęgniarskiej na poziomie POZ (w tym: ocena czynników ryzyka ChNS oraz FH, pomiar ciśnienia tętniczego krwi, wagi, wzrostu, BMI, wykonanie EKG spoczynkowego, badania laboratoryjne, kontrola/monitorowanie stanu pacjenta), oraz konsultacji lekarskiej na poziomie ośrodka wielospecjalistycznego (badanie genetyczne w kierunku FH techniką GNS).

Autorzy programu określili także 7 celów szczegółowych: wzrost kompetencji i podniesienie kwalifikacji personelu projektu w zakresie umiejętności skutecznego edukowania i wspierania osób o wysokim ryzyku sercowo-naczyniowym (S-N); włączenie ww. personelu do aktywnej profilaktyki chorób S-N; wzrost wiedzy na temat możliwości obniżenia ryzyka S-N w grupie docelowej pacjentów; poprawa czynników ryzyka chorób S-N u pacjenta w wyniku podjętych działań; wzrost skuteczności wczesnego diagnozowania chorób S-N przez personel POZ poprzez poprawę świadomości pacjentów docelowych m.in. w zakresie wczesnych symptomów choroby serca; poprawa rozpoznawalności FH oraz innych zaburzeń lipidowych w populacji.

Cel główny, jak również cele szczegółowe nie zostały sformułowane w pełni zgodnie z regułą S.M.A.R.T. Należy podkreślić, że cele nie powinny stanowić także działań planowanych do podjęcia (dot. celu pn. „włączenie personelu udzielającego wsparcia (...) do aktywnej profilaktyki chorób układu sercowo-naczyniowego”). Autorzy programu przedstawili liczne mierniki efektywności programu.

Projekt programu skierowany jest do dwóch grup osób: wybranych pracowników ochrony zdrowia oraz wybranych osób w wieku aktywności zawodowej. Do pracowników ochrony zdrowia biorących udział w programie należeć będą: lekarze/pielęgniarki POZ, lekarze medycyny pracy, a także personel udzielający wsparcia w postaci poradnictwa w zakresie diety, edukacji zdrowotnej oraz aktywności fizycznej. Liczba ww. pracowników ochrony zdrowia, która zostanie zaproszona do udziału w programie, została oszacowana na 2445 osób.

Do populacji osób w wieku aktywności zawodowej należeć będą osoby, które ukończyły 18 r.ż., z podejrzeniem podwyższonego ryzyka chorób sercowo-naczyniowych, nie leczące się w ciągu ostatnich 5 lat na chorobę układu sercowo-naczyniowego oraz nie korzystające z Programu ChUK (NFZ). Liczba

tych osób została przez autorów oszacowana na min. 50 000 osób. Wybór tej liczby osób ponownie nie został przez autorów uargumentowany.

Edukacja zdrowotna pracowników ochrony zdrowia będzie skierowana przede wszystkim do lekarzy/pielęgniarek POZ. Będzie ona swoim zakresem obejmować takie zagadnienia jak: diagnostyka oraz wczesne wykrywanie chorób układu sercowo-naczyniowego, strategie postępowania z poszczególnymi czynnikami ryzyka, prowadzenie odpowiedniej oraz skutecznej komunikacji z chorym, w tym motywowanie pacjenta do podjęcia działań profilaktycznych, zgodnie z wytycznymi krajowymi. Dodatkowo, wśród lekarzy POZ, planuje się przeprowadzić szkolenie teoretyczne oraz praktyczne w następującym zakresie: interpretacji badań obrazowych (RTG klatki piersiowej, USG tętnic obwodowych, USG serca); wykonywania badań EKG oraz ich interpretacji; oznaczania czynników ryzyka S-N podlegających modyfikacji (np. ciśnienie tętnicze krwi, stężenie cholesterolu LDL i trójglicerydów w osoczu, tolerancja glukozy, masa ciała) oraz czynników niepodlegających modyfikacji (np. wiek, płeć, historia ChNS w rodzinie), jak również na podstawie skali PolSCORE. Prowadzone w ramach edukacji pracowników ochrony zdrowia szkolenia będą obejmować również praktyczne ćwiczenia z zakresu oceny ryzyka wystąpienia rodzinnej hipercholesterolemii na podstawie algorytmu DLCN. Dopuszcza się możliwość prowadzenia szkoleń w formie e-learningu.

Niemniej jednak należy zaznaczyć, iż zakres działań obejmujących szkolenie innych pracowników systemu ochrony zdrowia (tj. np. lekarzy medycyny pracy, pielęgniarek POZ) nie został w projekcie programu uszczegółowiony. Nieznana pozostaje także liczba oraz czas trwania planowanych do przeprowadzenia szkoleń pracowników ochrony zdrowia. Wzory materiałów potrzebne do przeprowadzenia ww. interwencji nie zostały dołączone do projektu programu, w związku z czym weryfikacji ich treści nie była możliwa. Niemniej jednak w projekcie wskazano, iż to Rada ds. Oceny Programu będzie odpowiedzialna za określenie szczegółów realizacji ww. interwencji.

Edukacja zdrowotna wybranych osób w wieku aktywności zawodowej, biorących udział w programie będzie z kolei obejmować swoim zakresem przede wszystkim możliwości wczesnego rozpoznawania oraz ograniczenia u siebie czynników ryzyka S-N. Ww. edukacja ma być prowadzona przez odpowiednio przeszkoloną w tym zakresie pielęgniarkę, dietetyka, fizjoterapeutę lub „innego przedstawiciela nielekarzkiej profesji medycznej”. Osobom, u których stwierdzone zostanie przez lekarza POZ wysokie lub bardzo wysokie ryzyko wystąpienia ChNS (tj.  $\geq 5\%$ ), zaproponowany zostanie dodatkowo bon edukacyjny ukierunkowany na indywidualne poradnictwo w zakresie diety, aktywności fizycznej oraz edukacji zdrowotnej. Łącznie pacjentowi przysługujące będą w ramach bonu 24 porady 15-minutowe, realizowane w okresie 6 miesięcy. Bon będzie mógł być realizowany również w formie spotkań

grupowych. Pierwsza porada edukacyjna ma mieć charakter ogólny zapoznający pacjenta z zagadnieniami będącymi przedmiotem programu. Kolejne porady edukacyjne będą poświęcone konkretnym zagadnieniom, takim jak np. sposoby rzucania palenia papierosów (porada antynikotynowa), metody zmniejszenia masy ciała itp.

W związku z powyższym należy wnioskować, iż zaplanowane przez autorów działania edukacyjne, skierowane zarówno do populacji pacjentów, jak również pracowników ochrony zdrowia, znajdują swoje uzasadnienie w aktualnych dowodach naukowych.

Zaplanowane przez autorów działania w zakresie wczesnego rozpoznawania oraz diagnostyki FH można uznać zatem za ogólnie zgodne z obecnymi wytycznymi, za wyjątkiem kwalifikacji chorych do badań genetycznych zaplanowanych w projekcie programu (dot. DLCN).

Zakończenie przez uczestników udziału w programie będzie możliwe na każdym etapie jego trwania. Autorzy programu w sposób właściwy odnieśli się do możliwości zapewnienia dalszej opieki pacjentowi, u którego stwierdzono wysokie/bardzo wysokie ryzyko sercowo-naczyniowe i/lub FH. W ramach programu zaplanowano także przeprowadzenie działań informacyjno-promocyjnych o planowanych do wdrożenia działaniach. Program będzie realizowany w latach 2017-2023.

Wskaźniki monitorowania oraz oczekiwane efekty realizacji programu zostaną poddane szczegółowej analizie epidemiologicznej i statystycznej.

W ramach oceny jakości świadczeń „monitorowaniu podlegać będzie również liczba osób, które zrezygnowały z udziału w programie (...)”. Przeprowadzona zostanie także ocena zadowolenia osób z uczestnictwa w programie przy pomocy ankiet (dot. zarówno pacjentów, jak i pracowników ochrony zdrowia). Wzory ankiet zostały dołączone do projektu programu, a ich treść budzi pewne zastrzeżenia. Po pierwsze, niezrozumiałe w ankiecie skierowanej do pacjenta pozostaje pytanie „który z czynników ryzyka postania (sic) Pan/i wyeliminować lub zmodyfikować?”. Po drugie, wątpliwości budzi zasadność skierowanego do pacjentów pytania „Jak oceniliby Pan/i możliwość realizacji kolejnych programów profilaktycznych w tym zakresie?”, należy się bowiem zastanowić, czy pacjenci są kompetentni do udzielenia odpowiedzi na to pytanie.

Wnioskodawca w treści projektu (str. 13) podaje, że „działania zaproponowane w ramach programu KORDIAN będą komplementarne do świadczeń oferowanych obecnie dla danej populacji” oraz że „aktualnie system nie zakłada tak kompleksowego podejścia do pacjentów z grupy ryzyka chorób sercowo-naczyniowych ze szczególnym naciskiem na pacjentów z hipercholesterolemią”. Ponadto, wnioskodawca wskazał również, że niniejszy program „stanowiąc

będzie uzupełnienie dla obecnie funkcjonujących w systemie programów POLKARD oraz ChUK”.

Oceniany projekt programu został zaopiniowany przez konsultanta krajowego w dziedzinie kardiologii, który uznał program za dobrze zaplanowany oraz właściwie umotywowany oraz zarekomendował jego realizację. Wskazał na zasadność wykorzystywania w ocenie czynników ryzyka skali PolSCORE, jak również na zasadność wczesnego wykrywania FH w kontekście chorób sercowo-naczyniowych. Należy jednak podkreślić, że konsultant odniósł się do zasadności podejmowania zaproponowanych działań w populacji osób aktywnych zawodowo w wieku 40-65 lat, natomiast program przewiduje udział osób już od 18 r.ż.

W projekcie programu przedstawiono koszty jednostkowe, koszty całkowite, źródła finansowania, a także argumenty przemawiające za tym, że wykorzystanie dostępnych zasobów jest optymalne.

W założeniach programu podano koszty jednostkowe badań lekarskich. Wycena konsultacji lekarskiej na poziomie POZ została oszacowana na kwotę 110 zł, indywidualnego bonu edukacyjnego dla pacjenta na kwotę 1560 zł (24 porady, koszt 1 porady – 65 zł). Koszt poszczególnych badań wyceniono na kwotę: 30,50 zł – EKG spoczynkowe, 25 zł – lipidogram, 4,50 zł – pomiar stężenia glukozy we krwi, 6,80 zł – obliczenie wartości GFR wg MDRD. Koszt kardiologicznej porady specjalistycznej określono na kwotę 136 zł, natomiast diagnostyki genetycznej techniką NGS probanta – na kwotę 2 882 zł oraz diagnostyki kaskadowej krewnych pacjenta techniką Sangera – na kwotę 1423 zł.

Autorzy programu nie określili natomiast kosztu przeprowadzenia edukacji pracowników systemu ochrony zdrowia, jak również akcji informacyjno-promocyjnej.

W związku z powyższym, nie jest możliwa ocena analityka w zakresie właściwego oszacowania całkowitych kosztów programu, które zostały określone na łączną sumę 40 000 000 zł (2017 r. – 0 zł, 2018 r. – 15 mln zł, 2019 r. – 15 mln zł, 2020 – 10 mln zł).

Ponadto, w kosztorysie nie wskazano dokładnie co zawierają koszty w poszczególnych latach trwania programu. Należy również wskazać, że w projekcie występują nieścisłości w odniesieniu do założonego czasu realizacji programu. Jak wspomniano powyżej, w kosztach programu wskazano, że program realizowany będzie w latach 2017-2020 (str. 40), natomiast na str. 4 projektu czas realizacji określono jako lata 2017-2023. Niejasne jest z czego wynikają ww. rozbieżności.

W analizie kosztów nie wyodrębniono wysokości kosztów pośrednich, jakie zostaną poniesione w ramach realizacji 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 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.440.8.2017 „Ogólnopolski program profilaktyki w zakresie miażdżycy tętnic i chorób serca poprzez edukację osób z podwyższonymi czynnikami ryzyka sercowo-naczyniowego (KORDIAN)” realizowany przez: Ministra Zdrowia, Warszawa, listopad 2017.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 4/2018 z dnia 8 stycznia 2018 roku o projekcie programu „Program profilaktyki próchnicy zębów dla dzieci w wieku 8-10 lat z terenu Gminy Trzebinia na rok 2018”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki próchnicy zębów dla dzieci w wieku 8-10 lat z terenu Gminy Trzebinia na rok 2018”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### **Uzasadnienie**

*Głównym założeniem programu jest „zmniejszenie częstości występowania próchnicy wśród dzieci z populacji docelowej poprzez zintegrowane działania edukacyjne i profilaktyczne”. Cel jest mierzalny jednak nie jest w pełni zgodny z zasadą SMART. Projekt zawiera również 4 cele szczegółowe, które stanowią uzupełnienie głównego założenia. Trzy cele szczegółowe zostały sformułowane w sposób nieprawidłowy, gdyż są działaniami. Przedstawiono 5 mierników efektywności, trzy z nich w postaci „liczby dzieci uczestniczących w programie”, „odsetka populacji docelowej uczestniczącej w programie” oraz „odsetka populacji docelowej podlegającej lakowaniu bruzd zębów szóstych” nie odnoszą się bezpośrednio do celów programu. Pozostałe dwa mierniki zostały sformułowane w sposób prawidłowy*

*Realizację interwencji zawartych w programie zaplanowano w terminie marzec 2018 r. – październik 2018 r. Warto podkreślić, że dla osiągnięcia trwałości efektów programy polityki zdrowotnej powinny charakteryzować się długofalowymi działaniami. W projekcie programu nie określono czy planuje się kontynuację programu w latach następnych.*

*Populację docelową programu stanowią dzieci w wieku 8-10 lat (roczniki 2008-2010) zamieszkujące gminę Trzebinia. Program podzielono na 3 etapy: działań edukacyjnych, badań stomatologicznych oraz zabezpieczenia lakiem szczelinowym bruzd zębów szóstych. Wnioskodawca wskazał, że do etapu edukacyjnego zaplanowano włączenie 100% populacji docelowej (882 dzieci), natomiast do dwóch pozostałych etapów 85% populacji docelowej (750 dzieci). Powyższego założenia nie poparto jednak żadnymi danymi dotyczącymi liczby przeprowadzonych badań stomatologicznych i lakowania w przeszłości.*



Wnioskodawca załączył wzór deklaracji zgody rodzica/opiekuna na udział w programie, który nie budzi zastrzeżeń.

W treści projektu programu określono, że akcja edukacyjna będzie skierowana do wszystkich dzieci w wieku 8-10 lat, natomiast nie wskazano na prowadzenie działań edukacyjnych dla rodziców/opiekunów prawnych. Podkreślić należy, że edukacja zdrowotna, szczególnie w zakresie walki z próchnicą wśród dzieci, stanowi istotną wartość dodaną uzupełniając zakres obecnie prowadzonych interwencji:

- interwencje zaplanowane do realizacji przez wnioskodawcę, po części powielają świadczenia gwarantowane zawarte w Rozporządzeniu MZ w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu stomatologii: ocena stanu higieny jamy ustnej – uzupełnienie świadczeń gwarantowanych,
- instruktaż higieny jamy ustnej – powielenie świadczeń gwarantowanych (przysługuje każdemu dziecku 1 raz w roku kalendarzowym),
- cena stanu uzębienia i zgryzu - uzupełnienie świadczeń gwarantowanych (powielenie świadczeń gwarantowanych dla dzieci w wieku 10 lat),
- określenie wskaźnika puw i PUW – uzupełnienie świadczeń gwarantowanych (powielenie świadczeń gwarantowanych dla dzieci w wieku 10 lat),
- lakowanie bruzd zębów szóstych – powielenie świadczeń gwarantowanych (lakowanie bruzd zębów szóstych jest udzielane 1 raz do ukończenia 8. roku życia) może stanowić uzupełnianie świadczeń gwarantowanych.

Wykonanie powyższych badań oraz zabiegu stomatologicznego u dzieci w wieku 8-10 lat można uznać za działania mające na celu zwiększenie dostępu do świadczeń. Należy podkreślić, że obecnie, zgodnie z danymi NFZ, na terenie gminy funkcjonuje 1 świadczeniodawca, który ma podpisaną 1 umowę na udzielanie świadczeń z zakresu świadczeń ogólnostomatologicznych dla dzieci i młodzieży do ukończenia 18 r.ż. Po wykonaniu świadczeń zaplanowanych w ramach programu rodzice/opiekuni prawni dzieci objętych programem zostaną poinformowani: o konieczności podjęcia leczenia w przypadku występowania próchnicy zębów, o adresie najbliższego gabinetu stomatologicznego udzielającego świadczeń w ramach umowy z NFZ oraz o zalecanym terminie kolejnego przeglądu stomatologicznego.

W programie zaplanowano akcję informacyjno-edukacyjną. Podkreślić należy, że edukacja zdrowotna, szczególnie w zakresie walki z próchnicą wśród dzieci, stanowi istotną wartość dodaną uzupełniając zakres obecnie prowadzonych interwencji

W projekcie określono warunki dotyczące personelu, wyposażenia i warunków lokalowych. Podmiot realizujący program musi spełniać kryteria kadrowe (lekarz dentysta lub lekarz dentysta w trakcie specjalizacji w dziedzinie stomatologii dziecięcej, asystentka lub higienistka stomatologiczna) oraz

*kryteria sprzętowe (stanowisko stomatologiczne – fotel, przystawka turbinowa, mikrosilnik, lampa bezcieniowa lub unit stomatologiczny, lampa polimeryzacyjna oraz skaler).*

*Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.*

*Ocena zgłaszalności do programu ma być dokonywana na podstawie analizy: liczby dzieci z populacji docelowej, które zgłosiły się i wzięły udział w programie; liczby osób niezakwalifikowanych do programu w związku z brakiem konieczności zastosowania działań profilaktycznych oraz liczby osób, które uczestniczyły w działaniach z zakresu edukacji zdrowotnej. Analiza powyższych wskaźników ma odbywać się w 3 okresach sprawozdawczych oraz całościowo po zakończeniu programu.*

*Ocena jakości świadczeń w programie ma być prowadzona w oparciu o analizę wyników ankiety satysfakcji oraz pisemne uwagi uczestników programu. Powyższy dokument został dołączony do projektu programu.*

*W ramach oceny efektywności programu zaplanowano analizę m.in. „odsetka populacji docelowej uczestniczącej w programie”. Powyższy wskaźnik jest zasadny w ocenie zgłaszalności do programu, natomiast nie do końca w ocenie efektywności. Pozostałe wskaźniki dotyczące porównania wyników ankiety dotyczącej wiedzy o próchnicy, jej profilaktyce oraz nawyków higienicznych/żywnościowych zostały sformułowane w sposób poprawny. Ewaluacja efektywności programu powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu, co wnioskodawca uwzględnił w projekcie. Należy jednak podkreślić, że zaproponowane wskaźniki nie są wystarczające do przeprowadzenia kompleksowej analizy efektów programu.*

*Wnioskodawca w treści projektu wskazuje zarówno koszty jednostkowe jak i koszty całkowite przeznaczone na realizację programu. W związku z zaniżonym kosztem jednostkowym lakowania zębów, koszty całkowite wydają się być niedoszacowane. Program ma zostać sfinansowany w całości ze środków Urzędu Miasta Trzebinia.*

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.350.2017 „Program profilaktyki próchnicy zębów dla dzieci w wieku 8-10 lat z terenu Gminy Trzebinia na rok 2018” realizowany przez: Gminę Trzebinia, Warszawa, styczeń 2017 oraz Aneksu „Programy profilaktyki próchnicy u dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z listopada 2017 r.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 5/2018 z dnia 8 stycznia 2018 roku  
o projekcie programu „Program szczepień profilaktycznych przeciwko  
grypie dla mieszkańców Gminy Ośno Lubuskie w wieku 65 lat  
i więcej”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Ośno Lubuskie w wieku 65 lat i więcej”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

### Uzasadnienie

*Wnioskodawca przedstawił w sposób ogólny informacje dotyczące charakterystyki grypy oraz objawów choroby. Opisano drogi szerzenia się oraz typy wirusa. Zwrócono również uwagę na metody diagnostyczne stosowane przy wykrywaniu wirusa grypy. Problem zdrowotny opisany w projekcie programu polityki zdrowotnej wpisuje się w następujący priorytet zdrowotny zawarty w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. ws. priorytetów zdrowotnych (Dz.U.2009 nr 137 poz.1126): „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom. W ramach programu planowane jest wykonanie szczepień przeciwko wirusowi grypy, a także prowadzenie akcji edukacyjnej. W projekcie wskazano 5 celów szczegółowych. Wszystkie cele nie zostały sformułowane w pełni zgodnie z zasadą S.M.A.R.T. Zaproponowano również 6 mierników efektywności. Wszystkie zaproponowane mierniki odnoszą się bezpośrednio do celów programu. Wskazano zarówno mierniki ilościowe, jak i jakościowe, zatem możliwe jest precyzyjne i obiektywne zmierzenie stopnia realizacji większości celów. Nie przedstawiono jednak wskaźnika dla celu dotyczącego zapadalności na grypę.*

*Program zaplanowany został na lata 2018-2022 dla osiągnięcia trwałości efektów zdrowotnych w programach polityki zdrowotnej należy rozpatrywać przede wszystkim działania długofalowe powyższy program spełnia powyższe wymagania.*

*W projekcie programu zaplanowano wykonanie szczepień przeciwko grypie wśród osób w wieku powyżej 65 lat zamieszkałych na terenie gminy Ośno*



Lubuskie. W treści projektu programu odniesiono się do kryteriów włączenia uczestników do planowanych interwencji.

Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce (KLR 2016) wskazuje, że wykonanie szczepień przeciwko grypie powinno zostać każdorazowo poprzedzone wywiadem i badaniem lekarskim, mającym na celu ustalenie, czy u pacjenta istnieją przeciwwskazania do wykonania szczepienia oraz czy nie jest on w grupie zwiększonego ryzyka wystąpienia niepożądanych odczynów poszczepiennych. Zgodnie z ww. wytycznymi, wywiad lekarski powinien uwzględniać informacje nt. aktualnego ogólnego stanu zdrowia pacjenta, a także historię choroby dotyczącą zachorowań ostrych i przewlekłych oraz stosowanych z tego powodu leków. W treści projektu programu znajduje się informacja o przeprowadzeniu badania lekarskiego, co pozostaje w zgodzie z omawianymi wytycznymi. W ramach programu zaplanowano również działania edukacyjne, które będą realizowane na trzech płaszczyznach: podczas wykładów, wizyt u lekarza oraz za pomocą ulotek i plakatów informacyjnych. Wykłady (90-minutowe) mają być realizowane w każdym sezonie dwa razy, dla grup ok. 50-70 osobowych. Tematami poruszonymi podczas spotkań mają być: etiologia i patogenezę grypy, epidemiologia, rozpoznanie, leczenie, profilaktyka czynna i bierna, szczepienia ochronne, niepożądane odczyny poszczepienne oraz sposoby na wzmacnianie odporności. Eksperti kliniczni podkreślają istotną rolę edukacji zdrowotnej w programach polityki zdrowotnej dotyczących profilaktyki grypy. Brak wiedzy nt. zapobiegania zachorowaniom oraz nieprawidłowa interpretacja informacji dot. szczepień przeciwko grypie może być ważną przyczyną nieuczestniczenia w programach szczepień ochronnych. Edukacja zdrowotna stanowi obecnie istotny element polityki zdrowia publicznego i jedno z zadań samorządów lokalnych możliwych do realizacji przy niewielkim nakładzie finansowym.

W projekcie programu przedstawiono koszt jednostkowy, który został oszacowany na 40 zł/os. Wydaje się, że zaplanowane przez wnioskodawcę koszty są wystarczające do zrealizowania omawianych interwencji. Wnioskodawca określił koszty całkowite na 50 000 zł (10 000 zł rocznie). Program ma być w całości sfinansowany ze środków gminy Ośno Lubuskie. Zaznaczono, że gmina będzie ubiegała się o dofinansowanie 40% kosztów działań realizowanych w programie w latach 2019-2022 na podstawie art. 48d ust. 1 Ustawy. Należy podkreślić, że zgodnie z zapisami ustawy „Fundusz może przekazać środki na dofinansowanie programów polityki zdrowotnej realizowanych przez jednostkę samorządu terytorialnego w zakresie udzielania świadczeń zdrowotnych określonych w wykazach świadczeń gwarantowanych określonych w przepisach wydanych na podstawie art. 31d, w kwocie nieprzekraczającej:

- 80% środków przewidzianych na realizację programu jednostki samorządu terytorialnego o liczbie mieszkańców nieprzekraczającej 5 tys.;
- 40% środków przewidzianych na realizację programu jednostki samorządu terytorialnego innej niż wymieniona w pkt 1”.

*Zatem otrzymanie dofinansowania na program szczepień ochronnych przeciw grypie nie jest możliwe, gdyż omawiane świadczenie nie znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych. Wnioskodawca podkreśla jednak, że „w przypadku braku uzyskania dofinansowania Gmina Ośno Lubuskie zapewni ciągłość finansowania działań realizowanych w programie”*

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.351.2017 „Program szczepień profilaktycznych przeciwko grypie dla mieszkańców Gminy Ośno Lubuskie w wieku 65 lat i więcej” realizowany przez: Gminę Ośno Lubuskie, Warszawa, styczeń 2018 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka – wspólne podstawy oceny”, z października 2017 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 6/2018 z dnia 8 stycznia 2018 roku

o projekcie programu „Program szczepień ochronnych przeciwko grypie populacji z grupy szczególnego ryzyka (osób od 60 roku życia) pn. »Grypa 60+« na lata 2018-2020” (gm. Wisznia Mała)

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program szczepień ochronnych przeciwko grypie populacji z grupy szczególnego ryzyka (osób od 60 roku życia) pn. »Grypa 60+« na lata 2018-2020” (gm. Wisznia Mała), pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Wnioskodawca przedstawił w sposób ogólny informacje dotyczące charakterystyki i typów wirusa grypy oraz czynników ryzyka zachorowania. Opisano możliwe drogi szerzenia się wirusa grypy, powikłania pogrypowe oraz przedstawiono informacje dotyczące szczepionki przeciw grypie. Zwrócono również uwagę na populacje szczególnie narażane na zakażenie i którym rekomendowane jest szczepienie. Problem zdrowotny opisany w projekcie programu polityki zdrowotnej wpisuje się w następujący priorytet zdrowotny zawarty w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. ws. priorytetów zdrowotnych (Dz.U.2009 nr 137 poz.1126): „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom”. W ramach programu planowane jest wykonanie szczepień przeciwko wirusowi grypy, a także prowadzenie akcji edukacyjnej. Program jest kontynuacją realizowanego w latach 2013-2017 programu i jak wynika z analizy ilość osób zaszczepionych wzrasta i osiągnęła już 15% populacji kwalifikującej się do programu. Populacja docelowa to osoby powyżej 60 roku życia zamieszkałe na terenie gminy Wisznia Mała. W programie wskazano, że w przypadku zgłoszenia się większej liczby uczestników koszt zostanie pokryty budżetu gminy.*

*Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce (KLR 2016) wskazuje, że wykonanie szczepień przeciwko grypie powinno zostać każdorazowo poprzedzone wywiadem i badaniem lekarskim, mającym na celu ustalenie, czy u pacjenta istnieją przeciwwskazania do wykonania szczepienia oraz czy nie jest on w grupie zwiększonego ryzyka wystąpienia niepożądanych odczynów*



poszczepiennych. Zgodnie z ww. wytycznymi, wywiad lekarski powinien uwzględniać informacje nt. aktualnego ogólnego stanu zdrowia pacjenta, a także historię choroby dotyczącą zachorowań ostrych i przewlekłych oraz stosowanych z tego powodu leków. W treści projektu programu znajduje się informacja o przeprowadzeniu badania lekarskiego, co pozostaje w zgodzie z omawianymi wytycznymi.

W projekcie cele nie zostały sformułowane w pełni zgodnie z zasadą S.M.A.R.T. (m.in. nie przedstawiono wartości do jakich chce dążyć wnioskodawca). Dobrze sformułowany cel powinien być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie.

W projekcie programu zaproponowano 4 mierniki efektywności. Przedstawione mierniki odnoszą się bezpośrednio do celów programu. Nie przedstawiono jednak wskaźników dotyczących zwiększenia wiedzy mieszkańców gminy nt. grypy i jej powikłań. W projekcie programu wskazano jednak, że w wypadku zgłoszenia się do programu większej liczby osób będzie możliwe zabezpieczenie dodatkowych środków finansowanych, aby wszystkie osoby chętne zostały zaszczepione. Wnioskodawca nie wskazał walentności szczepionki planowanej do wykorzystania w ramach interwencji. Określono natomiast, że uczestnicy programu będą szczepieni szczepionką zarejestrowaną i dopuszczoną do obrotu w Polsce. Wyboru preparatu ma dokonać realizator programu.

Wnioskodawca w punkcie projektu dotyczącym sposobu powiązania działań programu ze świadczeniami zdrowotnymi finansowanymi ze środków publicznych wskazał, że koszty badania lekarskiego, procedura podania szczepionki oraz sporządzenia dokumentacji medycznej nie będą finansowane z budżetu programu. Zaznaczono, że ww. elementy będą finansowane w ramach świadczeń NFZ (wizyty w POZ). Jednak w części dotyczącej kosztów programu wskazał, że ww. działania mają być finansowane w ramach omawianego programu. Sposób finansowania niektórych elementów programu nie jest zatem do końca jasny. Wydaje się, że zaplanowane przez wnioskodawcę koszty są wystarczające do zrealizowania omawianych interwencji.

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.354.2017 „Program szczepień ochronnych przeciwko grypie populacji z grupy szczególnego ryzyka (osób od 60 roku życia) pn. „Grypa 60+” na lata 2018-2020” realizowany przez: Gminę Wisznia Mała, Warszawa, styczeń 2018 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka – wspólne podstawy oceny” z października 2017 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 7/2018 z dnia 8 stycznia 2018 roku o projekcie programu „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych dla osób od 65 r.ż. z gminy Kielce”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych dla osób od 65 r.ż. z gminy Kielce”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### **Uzasadnienie**

*Oceniany projekt dotyczy istotnego problemu zdrowotnego, jakim jest profilaktyka chorób zakaźnych układu oddechowego i wpisuje się w następujące priorytety zdrowotne: „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom” oraz „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu przewlekłych chorób układu oddechowego”. [Priorytety zdrowotne wymienione w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. (Dz.U. 2009, Nr 137, poz. 1126).] W projekcie programu zaplanowano przeprowadzenie szczepień ochronnych przeciwko pneumokokom wśród osób w wieku 65 lat i więcej. Planuje się zaszczepienie 70% populacji docelowej (ok. 27 840 osób). Program będzie realizowany w latach 2018-2023. Planowany całkowity koszt realizacji oszacowano na kwotę 7 080 000 zł (1 180 000 zł rocznie).*

*Uznając celowość realizacji ocenianego programu, Rada zwraca jednocześnie na konieczność dokonania niezbędnych wyjaśnień, korekt i uzupełnień, zwłaszcza w odniesieniu do: (1) prawidłowego sformułowania celu głównego i celów szczegółowych zgodnie z zasadą S.M.A.R.T.; i (2) istotnych rozbieżności pomiędzy zaplanowanym budżetem a rzeczywistymi kosztami realizacji programu (problem kosztów jednostkowych) oraz innych sformułowanych w raporcie AOTMiT uwag krytycznych. Rada sugeruje wykorzystanie do rewizji programu opracowanie pt. „Modelowy program profilaktyki zakażeń pneumokokowych wśród osób dorosłych”, Kraków 2015. CEESTAHC.*



**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.352.2017 „Program profilaktyki zakażeń pneumokokowych dla osób od 65 r.ż. z gminy Kielce” realizowany przez: Miasto Kielce, Warszawa, styczeń 2018 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki zakażeń pneumokokowych – wspólne podstawy oceny” z marca 2014 r.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 8/2018 z dnia 8 stycznia 2018 roku  
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie  
rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Szczytniki”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Szczytniki”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

### Uzasadnienie

*Jest to projekt programu polityki zdrowotnej gminy Szczytniki w zakresie rehabilitacji leczniczej, zakładający zaplanowanie i przeprowadzenie odpowiednich zabiegów i interwencji rehabilitacyjnych wśród wszystkich mieszkańców gminy, posiadających skierowanie od lekarza POZ lub specjalisty. Populacja gminy wynosi 7864 osób. Nie określono odsetka populacji docelowej, która będzie objęta programem, ponieważ w tej fazie przygotowania projektu nie wiadomo jeszcze, ile osób zostanie zakwalifikowanych przez lekarza POZ do korzystania z przewidywanych w programie interwencji oraz ile i jakich interwencji przewiduje się dla poszczególnych osób. Nie jest więc możliwe ścisłe wyliczenie kosztów jednostkowych. Program ma być realizowany w latach 2018-2019. Całkowity koszt realizacji programu ma wynieść 60 000 zł (30 000 zł rocznie) i będzie pokryty ze środków Gminy.*

*Projekt program zawiera szereg uchybień i niejasności. Konieczne jest zwłaszcza prawidłowe sformułowanie celu głównego i celów szczegółowych zgodnie z zasadą S.M.A.R.T. oraz odniesienie się do innych sformułowanych w raporcie AOTMiT uwag krytycznych. Należy podkreślić, że zaplanowane przez wnioskodawcę interwencje znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej, zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dn. 9 maja 2017 r. zmieniającym rozporządzenie w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej. Biorąc pod uwagę, iż na terenie gminy Szczytniki nie działa żaden podmiot świadczący zabiegi z zakresu rehabilitacji leczniczej finansowane ze*





*środków NFZ, można stwierdzić, że wnioskodawca próbuje za pomocą programu zwiększyć dostęp do świadczeń rehabilitacyjnych.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.353.2017 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Szczytniki” realizowany przez: Gminę Szczytniki, Warszawa, styczeń 2018 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży” z sierpnia 2016 r.