



**Rada Przejrzystości**  
działająca przy  
**Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji**

**Protokół nr 5/2018**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 29 stycznia 2018 roku**  
**w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT)**

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

1. Marzanna Bieńkowska
2. Lucjusz Jakubowski – uczestniczył w posiedzeniu od pkt 4.
3. Barbara Jaworska-Łuczak
4. Andrzej Kokoszka
5. Agata Maciejczyk
6. Konrad Maruszczyk
7. Aleksandra Michowicz – uczestniczyła w posiedzeniu od pkt 4.
8. Michał Myśliwiec
9. Tomasz Pasiński – prowadził posiedzenie
10. Jakub Pawlikowski – uczestniczył w posiedzeniu od pkt 4.
11. Jerzy Stelmachów
12. Zbigniew Szawarski
13. Piotr Szymański
14. Janusz Szynkler
15. Andrzej Śliwczyński
16. Marek Wroński

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Paweł Grieb
2. Rafał Suwiński

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia „Program kompleksowej diagnostyki i terapii wewnątrzmacicznej w profilaktyce następstw i powikłań wad rozwojowych i chorób dziecka nienarodzonego – jako element poprawy stanu zdrowia dzieci nienarodzonych i noworodków na lata 2018-2020”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego leków BEDICA, BEDIOL, BEDROLITE, BEDROCAN, BEDROBINOL (kannabinoid) we wskazaniu: padaczka lekooporna; przewlekły ból, w tym: w chorobie nowotworowej, ból neuropatyczny, ból fantomowy; spastyczność, w tym spastyczność



P

w stwardnieniu rozsianym; algodystrofia; nudności i wymioty związane z chemioterapią; stwardnienie rozsiane.

6. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnych netupitantum + palonosetronum we wskazaniu pozarejestacyjnym: wczesne lub opóźnione wymioty u osób dorosłych związane z silnie emetogenną chemioterapią z zastosowaniem antybiotyku z grupy antracyklin i cyklofosfamidu – profilaktyka.
7. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
  - 1) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkoły podstawowej w Gminie Gierałtowiec na lata 2018-2022”,
  - 2) „Program Profilaktyki i Wczesnego Wykrywania Raka Piersi” (powiat żarski).
8. Zamknięcie posiedzenia.

**Ad 1.** Posiedzenie o godzinie 10:30 otworzył Przewodniczący Rady Tomasz Pasierski.

**Ad 2.** Rada przyjęła jednogłośnie propozycję porządku obrad przedstawioną przez Tomasza Pasierskiego.

Następnie, Jerzy Stelmachów złożył wniosek dot. omówienia tematu „Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego »Profilaktyczne usunięcie jajników i jajowodów redukujące ryzyko raka jajników i jajowodów u nosicielek patogennych mutacji w genach BRCA 1/2«” na posiedzeniu, w dniu 7 lutego br., przez Radę w pełnym składzie. W drodze głosowania Rada przyjęła ww. wniosek.

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

**Ad 4.** Tomasz Pasierski przypomniał, że temat był już wstępnie omawiany na wcześniejszym posiedzeniu Rady, jednakże na wniosek Zbigniewa Szawarskiego podjęto decyzję o omówieniu go ponownie, w pełnym składzie.

Następnie, analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.440.9.2017 „Program kompleksowej diagnostyki i terapii wewnątrzmacicznej w profilaktyce następstw i powikłań wad rozwojowych i chorób dziecka nienarodzonego – jako element poprawy stanu zdrowia dzieci nienarodzonych i noworodków na lata 2018-2020”.

W trakcie trwania prezentacji na posiedzenie przybyli: Lucjusz Jakubowski, Aleksandra Michowicz i Jakub Pawlikowski. Wszyscy złożyli odpowiednie oświadczenia dotyczące konfliktu interesów.

Tomasz Pasierski zauważył, że wiele zaplanowanych w projekcie interwencji ma charakter eksperymentalny.

Jerzy Stelmachów wyraził zaniepokojenie możliwością dopuszczenia wykonywania różnych procedur wewnątrzmacicznych. Stwierdził, że w programie mieszają się metody proste (np. uzupełnienie wód płodowych lub wypuszczanie nadmiaru wód płodowych w przypadkach wielowodzia) z bardzo skomplikowanymi działaniami operacyjnymi. W związku z powyższym, w sytuacji, w której program nie będzie dedykowany wyłącznie 2-3 wybranym ośrodkom, może być bardzo dużo powikłań. Zgodził się, że program stanowi pewien eksperyment. Podkreślił, że wszystkie procedury, nawet te proste, powinny być wykonywane wyłącznie w ośrodkach wysokospecjalistycznych.

Marek Wroński nawiązał do danych z 2014 r., opierających się na ankietach wypełnianych w 50 amerykańskich centrach medycznych, z których wynika, że tylko 40% ww. ośrodków wykonywało chirurgię wewnątrzmaciczną bądź chirurgię na otwartej macicy. W Stanach Zjednoczonych Ameryki



jest tylko 5-6 specjalistycznych ośrodków, które wykonują najbardziej zaawansowane procedury. Budowanie tego typu centrów polega na organizowaniu kilkumiesięcznych szkoleń lekarzy, którzy muszą czerpać wiedzę i doświadczenie od osób wykonujących określone zabiegi.

Andrzej Śliwczyński przypomniał, że opiniowany projekt stanowi kontynuację obecnie funkcjonującego programu.

Tomasz Pasierski zauważył, że wskazane byłoby określenie szacunkowych kosztów zabiegów. Umożliwiłoby to dokonanie porównania w zakresie relacji kosztów do zysków.

Lucjusz Jakubowski podkreślił, że 11-letnie doświadczenie w realizacji wcześniejszych wersji programu daje szansę oszacowania kosztów poszczególnych typów zabiegów. Do określenia kosztów można by było wykorzystać także indywidualne wnioski o sfinansowanie kosztów zabiegów wewnątrzmacicznych wykonywanych zagranicą. Zwrócił uwagę, że w przypadku zabiegów, które nie będą wykonywane w Polsce, będzie istniała presja na wykonywanie ich poza granicami kraju.

Andrzej Śliwczyński stwierdził, że skoro obecnie realizowana jest 3 edycja programu to nie wydaje się zgód na leczenie zagranicą. Tego typu zgody są wydawane wyłącznie w sytuacji, w której nie można danej procedury wykonać w Polsce.

Lucjusz Jakubowski wskazał, że część procedur objętych programem, na podstawie zarządzenia Prezesa NFZ nr 125/2016 z 22 grudnia 2016 r., jest uwzględniana w katalogu świadczeń NFZ. Zarządzenie to jest jednym z aktów wykonawczych Ustawy „Za życiem”, stanowiących o poszerzeniu zakresu opieki ginekologiczno-położniczej nad kobietą ciężarną i dzieckiem. Świadczenia z ww. katalogu mogą być rozliczane w różnych kategoriach, przede wszystkim w ramach jednolitych grup pacjentów (JGP), z uwzględnieniem wagi punktowej, a co za tym idzie, pod względem kosztowym, muszą one odpowiadać wadze punktowej. Zaznaczył, że choć nie ma danych na kosztowych nt. konkretnych procedur, to wieloletnie doświadczenia, w jego opinii, pozwoliłyby określić średnie koszty.

Aleksandra Michowicz wspomniała o pozytywnej opinii Rady z 2014 r., która powinna zostać wzięta pod uwagę podczas opiniowania obecnego projektu, zawierała ona bowiem istotne zastrzeżenia dot. kontynuowania programu (m.in. dotyczące kosztorysu poszczególnych interwencji).

Andrzej Śliwczyński zauważył, że Rada nie obraduje nad wprowadzeniem każdej procedury do koszyka świadczeń gwarantowanych, tylko nad programem, który można uznać za pewnego rodzaju formę ryczałtu, w którym koszty będą uśrednione.

Tomasz Pasierski nie zgodził się z przedmówcą. Stwierdził, że program składa się z różnych interwencji i trzeba brać pod uwagę, że mogą one być niezwykle kosztowne, przy niewielkich korzyściach medycznych.

Następnie, przeprowadzono konsultacje z ekspertem z dziedziny genetyki prof. dr hab. Jackiem Zarembą, Kierownikiem Poradni Genetycznej Instytut Psychiatrii i Neurologii w Warszawie. W jego opinii, program jest potrzebny i powinien zostać oceniony pozytywnie, jednakże istnieje wiele wątpliwości odnoszących się do zawartych w nim zapisów. Zastrzeżenia budzi przedstawienie efektywności diagnostyki i terapii. Zwrócił uwagę, że brakuje danych informujących o ilości udanych i nieudanych zabiegów oraz śmiertelności noworodków związanej z daną procedurą. Podkreślił także, że w omawianym przypadku trzeba brać pod uwagę nie tylko płód, ale także matkę, gdyż inwazyjność procedur jest różna, niekiedy dość duża. Ważna jest także kwestia, w ilu przypadkach interwencje przewidują wykonanie cesarskiego cięcia. Zakwestionował zapis mówiący o tym, że wskaźnikiem jakości terapii będzie zabranie do domu zdrowego dziecka. Zaznaczył, że próby podjęcia terapii nie zawsze są skuteczne.

Tomasz Pasierski zgodził się, że podjęcie prób w celu wyleczenia jednej choroby nie oznacza wyleczenia wszystkich innych.

Jacek Zaremba zakwestionował zapisy mówiące o istnieniu wysokich wskaźników przeżycia noworodków na poziomie 60%-75% oraz o tym, że brak podjęcia terapii w większości patologii wiąże się ze śmiertelnością okołoporodową wynoszącą 80%-100%, ponieważ nie podano źródła danych. Dodał, że autorzy projektu przewidują ocenianie efektywności na podstawie wskaźnika bazowego, którym jest umieralność okołoporodowa 5/1000 w Polsce. W wyniku diagnostyki i terapii ww. umieralność obniżyć się może o 10%, co, w jego opinii, jest dość śmiałym założeniem.

W tym miejscu, Rada przeprowadziła konsultacje z prof. zw. dr hab. n. med. Krzysztofem Szaflikiem, Kierownikiem Kliniki Ginekologii, Rozrodczości i Terapii Płodności Instytutu Centrum Zdrowia Matki Polki w Łodzi. Został on zapytany o koszty procedur zaplanowanych w programie i wskazanie najdroższych z nich.

Krzysztof Szaflik na początku podkreślił, że program jest niezwykle potrzebny, z uwagi na to, że diagnostyka prenatalna i możliwości rozpoznawania nieprawidłowości w ostatnim czasie bardzo się zwiększyły, co pozwala podejmować terapię wewnątrzmaciczną. Wdrożenie idei terapii wewnątrzmacicznej było możliwe dzięki wdrożeniu programu. Zaznaczył, że w pierwszym etapie funkcjonowania programu cena była ujednoczona, niezależnie od rodzaju zabiegu. Obecnie zabiegi podzielić można na grupy zabiegów najdroższych na poziomie 10 tys. zł, zabiegów na poziomie 6 tys. zł i mniejszych zabiegów na poziomie 2-3 tys. zł (dla porównania wspomniał, że na Zachodzie najdroższe zabiegi, np. kardiologiczne, kosztują ok. 20 tys. euro). Przyznał, że choć pieniądze te nie są wystarczające (szczególnie biorąc pod uwagę konieczność zakupu drogich wyrobów medycznych), to dają możliwość rozpoczęcia działań. Podkreślił, że program pozwala sfinansować sprzęt, który kupowany był w latach 2009-2010 i jest już dość stary. W ostatniej edycji programu pieniądze przeznaczone były głównie na wykonywanie zabiegów.

Tomasz Pasierski zapytał także o to, które zabiegi, w opinii eksperta, mają charakter eksperymentalny, a które są już ustaloną praktyką medyczną.

Krzysztof Szaflik wskazał, że wszystkie wymienione w programie zabiegi są do nas przenoszone z ośrodków zlokalizowanych w Europie Zachodniej, więc nie są już eksperymentami medycznymi. Podkreślił także, że w Polsce każda nowowprowadzana procedura uzyskiwała akceptację Komisji Etycznej Instytutu Centrum Zdrowia Matki Polki.

Tomasz Pasierski podsumował, że jest to zatem metoda nowa, ale dobrze oceniana i przebadana w ostatnich latach.

Krzysztof Szaflik zgodził się z Tomaszem Pasierskim. Zwrócił także uwagę, że istotnym elementem pozwalającym realizować program jest ścisła współpraca z chirurgami.

Jakub Pawlikowski stwierdził, że program trwa od kilkunastu lat i można się domyślać, że w kilku ośrodkach powinni pracować odpowiednio przeszkoleni w zakresie terapii wewnątrzmacicznej płodu ludzie. Zapytał eksperta o liczbę polskich ośrodków mogących realizować obecnie opiniowany program.

Krzysztof Szaflik przyznał, że wsparcie ze strony innych ośrodków jest bardzo potrzebne, ponieważ pacjentów jest bardzo dużo. Na dzień dzisiejszy, mimo posiadanego sprzętu, omawiane procedury nie są w nich wykonywane. Następnie, wymienił 3 ośrodki, które, w jego opinii, są obecnie przygotowane do realizacji programu.

Tomasz Pasierski zapytał o skuteczność opiniowanych procedur i o przeżywalność płodów w przypadku najbardziej skomplikowanych zabiegów.

Krzysztof Szaflik stwierdził, że w przypadku przepukliny przeponowej przeżywalność wynosi ok. 40%, natomiast śmiertelność w przypadku braku leczenia zależy od stopnia nasilenia wady. Zazaczył, że w sytuacji braku leczenia w zespole przetoczeń między płodami w ciąży bliźniaczej śmiertelność wynosi 100%, wdrożenie leczenia powoduje natomiast przeżywalność przynajmniej jednego płodu na poziomie 92%, a dwóch płodów na poziomie 76%.

Po zakończonych konsultacjach z Krzysztofem Szaflikiem, Rada kontynuowała konsultacje z Jackiem Zarembą. Dodał on, że zasadniczą sprawą w przypadku dokonywania oceny opiniowanego programu jest dysponowanie danymi katamnesticznymi, tj. informacjami dot. tego, co się potem dzieje z „uratowanymi” dziećmi (na ile skuteczne są podejmowane działania). Pod uwagę należałoby wziąć także relacje programu z Ustawą „Za życiem”. Podkreślił, że rozwijanie programu, w jego opinii, jest bardzo cenne, głównie z uwagi na to, że stosowane procedury w wielu przypadkach są skuteczne. Nie należy kierować się wyłącznie kosztami związanymi z wykonywaniem zabiegów, ale trzeba brać pod uwagę możliwość rozwoju ośrodków mogących w przyszłości wykonywać omawiane procedury. Zwrócił także uwagę, że bardzo istotna jest kwestia poradnictwa genetycznego, poprzedzającego wykonywanie opiniowanych procedur.

Po zakończonych konsultacjach, swoją propozycję opinii przedstawili Jakub Pawlikowski i Lucjusz Jakubowski, członkowie Rady wyznaczeni przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponowali opinię pozytywną. Pomimo to, Lucjusz Jakubowski zwrócił uwagę, że program został źle przygotowany w zakresie treści i redakcji. Jednym z podstawowych zarzutów jest zlekceważenie wszystkich zaleceń Rady zawartych w opinii z roku 2014. Zauważył, że zawarte w projekcie procedury w części dotyczą kobiet ciężarnych, które wcześniej nie podjęły decyzji o zakończeniu ciąży. Ponadto, pewne pojęcia użyte w opisie programu są niedopowiedziane lub wręcz mylone. Diagnostyka przedurodzeniowa, która musi być elementem kwalifikacji do zabiegu wewnątrzmacicznego u płodu, jest pojęciem niezwykle szerokim. Każde badanie wykonywane u kobiety ciężarnej wynikające ze standardów położniczych stanowi diagnostykę przedurodzeniową (badania USG, badania kontrolne, badania krwi itd.). Podkreślił, że diagnostyki przedurodzeniowej pod kątem różnicowania przyczyn wad, które mogą być kwalifikowane do zabiegów wewnątrzmacicznych, nie należy mylić z celami i założeniami programu badań prenatalnych. Podkreślił, że program terapii płodu i program badań prenatalnych idą w dwóch różnych kierunkach. Program terapii płodu ma na celu ratowanie życia dziecka lub przedłużenie okresu życia płodu do takiego momentu ciąży, w którym po porodzie dziecko ma szansę przeżyć i może być u niego wdrożona wielospecjalistyczna opieka lekarska. Program badań prenatalnych natomiast jest adresowany do wybranych grup wskazań i nieprawidłowy wynik stanowi wskazanie do podjęcia przez kobietę autonomicznej decyzji dotyczącej kontynuowania lub przerwania ciąży. Następnie, odniósł się do wypowiedzi eksperta i potwierdził, że w procesie diagnostyki wad, które są kwalifikowane do zabiegów, bierze udział genetyk kliniczny. W dalszej części opisał niektóre rodzaje zabiegów wykonywanych u płodu, które dają szansę na normalne funkcjonowanie lub na reoperację po urodzeniu. Przyznał, że problemem jest część zabiegów, które w wyniku powikłań (wynikających z samej wady bądź z zabiegu) mogą rzutować na deficyt intelektualny dzieci. Dodał, że jakość życia dzieci po urodzeniu bywa różna, jednakże trzeba pamiętać, iż w przypadku niektórych wad rezygnacja z zabiegu oznacza 100% szans na obumarciu płodu. Podkreślił, że ewidentnym niedostatkiem opiniowanego programu jest brak danych statystycznych w tym zakresie. Ponadto, zwrócił uwagę na elementy projektu wymagające poprawy, wśród których wymienił m. in. konieczność sformułowania celów zgodnie z regułą S.M.A.R.T. i konieczność podania wskaźników i mierników efektywności. Odniósł się także do pojęcia

5  
7.2  
18

eksperymentu medycznego. Zwrócił uwagę, że opiniowane jest nie świadczenie zdrowotne, a program polityki zdrowotnej, wyznaczający kierunek, jaki Ministerstwo Zdrowia chce nadać jednemu z nurtów opieki położniczej, w tym perinatalnej. Wskazane byłoby umieszczenie w programie zapisu mówiącego o tym, że analiza efektów prowadzonych zabiegów odbywać się będzie w ramach prac naukowych, na które wyraziły zgodę lokalne komisje bioetyczne. Odniósł się także do kwestii ekonomicznych, wskazując, że przedstawiony budżet został niewłaściwie przygotowany. Z jednej strony, w projekcie przedstawiono listę aparatury, która ma zostać zakupiona, z drugiej strony natomiast, znalazła się tam informacja o trybie wyłaniania jednostek uczestniczących w programie w drodze konkursu, z zaznaczeniem konieczności spełnienia pewnych warunków, w tym zasobów kadrowych i sprzętowych. Budzi to niejasności w zakresie tego, czy budżet przeznaczony na zakup aparatury obejmuje tylko uzupełnienie, czy też pełne wyposażenie jednostek biorących udział w postępowaniu konkursowym oraz w zakresie dystrybucji zakupionego sprzętu. Podobne niejasności związane są także z środkami przeznaczonymi na finansowanie poszczególnych typów zabiegów, ponieważ nie oceniono ich średniego kosztu. Podsumowując wskazał, że nie byłoby zasadne rezygnowanie w programie i pozbawianie w ten sposób kobiet, które pomimo zdiagnozowania wady u płodu nie zdecydowały się na wcześniejsze przerwanie ciąży, szans, jakie daje program.

Tomasz Pasierski zwrócił uwagę, że bywają sytuacje, w których wada płodu zostaje zdiagnozowana już po terminie ustanowionym w ustawie, w którym dopuszcza się możliwość przerwania ciąży.

Lucjusz Jakubowski wskazał, że w programie brakuje także pewnego logicznego algorytmu postępowania, uwzględniającego wykorzystywanie poszczególnych możliwości w zależności od sytuacji.

Michał Myśliwiec stwierdził, że negatywne zaopiniowanie programu odbiera kobietom szanse odniesienia korzyści z niego wynikających. Wobec powyższego, przychylił się do propozycji opinii pozytywnej, przy czym zaproponował dokonanie podziału uwag Rady na uwagi o charakterze formalnym (np. wymóg dostosowania do zasad reguły S.M.A.R.T.) i na uwagi o wielkim znaczeniu. Poinformował, że w jego odczuciu program dotyczy tylko jednego ośrodka – Centrum Zdrowia Matki Polki w Łodzi, podczas gdy powinny zostać wyznaczone 4 ośrodki w różnych częściach Polski.

Lucjusz Jakubowski przypomniał, że zapisy programu mówią o wyłonieniu ośrodków w drodze postępowania konkursowego.

Andrzej Kokoszka poparł projekt opinii pozytywnej. Zaproponował jednak zwrócenie uwagi w zaleceniach, że w przypadku procedur o charakterze eksperymentalnym powinno się wystąpić o grant do Narodowego Centrum Nauki.

Tomasz Pasierski stwierdził, w oparciu o wypowiedź eksperta, że należy uznać, iż procedury zawarte w programie nie mają już charakteru eksperymentów.

Jakub Pawlikowski dodał, że uwagi zawarte w propozycji opinii zawierają postulat realizacji programu przez większą ilość ośrodków i skupiska specjalistów z wielu dziedzin medycyny. Ponadto, zaznaczono, że w przypadku wszystkich procedur noszących znamiona eksperymentów leczniczych uwzględniona powinna być opinia komisji bioetycznej. Następnie, poddał pod dyskusję kwestie etyczne i społeczne, które mogą mieć pewne znaczenie w odbiorze społecznym. Wskazał, że zgodnie z zasadami etyki medycznej, lekarz opiekujący się kobietą w ciąży jest odpowiedzialny za dobro zarówno matki, jak i dziecka. Podkreślił, że interwencje związane z leczeniem płodu zawsze wymagają zgody kobiety ciężarnej.

Tomasz Pasierski uznał, że kwestia pozyskania zgody matki jest sprawą oczywistą i nie ma innej alternatywy.

7.2  
6 18

Rada dyskutowała także nad zaproponowanym tytułem programu i jego ewentualną korektą.

Janusz Szyndler stwierdził, że program musi zostać zaopiniowany pozytywnie, z uwagi na wagę zagadnienia. Podkreślił natomiast, że projekt ma bardzo dużo wad. Brakuje przede wszystkim danych z realizacji wcześniejszych edycji programu (np. zestawienia opisów przypadków). Zgodził się ze zdaniem poprzedników, że program skierowany jest do jednego ośrodka, zwrócił jednak uwagę, iż nie wiadomo, czy założenie o większej ilości ośrodków jest możliwe do zrealizowania, głównie z uwagi na brak odpowiednich specjalistów mogących wykonywać tego typu procedury. Duże wątpliwości budzą założenia budżetowe, ponieważ powinna zostać przedstawiona realna wycena procedur, w oparciu o doświadczenia z poprzednich edycji programu.

Piotr Szymański zauważył, że możliwe wydaje się finansowanie tego typu procedur w ramach ryczałtu w ośrodkach specjalistycznych, co stanowiłoby alternatywę dla opiniowanego programu. W czasie 11-letniej realizacji kolejnych edycji projektu (w ramach którego wykonywano procedury i zakupiono sprzęt, który częściowo nie jest wykorzystywany z uwagi na brak przeszkolonej kadry), nie powstał spójny system opieki nad płodem. Zaakceptowanie obecnej wersji programu nie daje szansy na poprawę tej sytuacji, w budżecie nie zaplanowano bowiem wydatków na koordynację nastawioną na powstanie spójnego programu opieki wewnątrzmacicznej. Sposób przedstawienia budżetu nie pozwala ocenić, czy środki przeznaczone na zakup sprzętu zostaną właściwie spożytkowane (z uwzględnieniem realnych potrzeb placówek realizujących projekt). Według niego, program powinien zostać lepiej przygotowany, tzn. powinien uwzględniać wycenę indywidualnych procedur, określać rolę koordynatora i warunki konwergencji. Ponadto, w pierwszej wersji programu zawarto założenie stworzenia baz Kardio-Prenatal i Prenatal. Efektów funkcjonowania ww. baz nie są znane. W obecnym budżecie przeznaczono środki na stronę internetową, a nie na prowadzenie baz danych. Kolejna edycja programu nie przyniesie zatem dużo więcej informacji, ponad to co jest dostępne obecnie.

Lucjusz Jakubowski, powołując się na wieloletnie doświadczenia z realizacji podobnych programów, stwierdził, że finansowanie w ramach ryczałtu, w oparciu o przedstawioną kalkulację kosztów procedur, możliwe jest w przypadku odpowiednio zorganizowanych w danym zakresie i wyposażonych ośrodków. Zwrócił uwagę, że NFZ nie zwraca kosztów i amortyzacji sprzętu, w związku z tym wdrażane programy Ministra Zdrowia muszą przewidywać środki na zakup aparatury. Postęp technologiczny w zakresie terapii wewnątrzmacicznej jest tak ogromny, że wymaga częstych zmian sprzętu.

Andrzej Śliwczyński poinformował, że NFZ w ramach ryczałtu może finansować wyłącznie świadczenia gwarantowane, a niektóre procedury zawarte w projekcie programu nie spełniają tego wymogu.

Lucjusz Jakubowski podniósł kwestię świadczeń uwzględnionych w rozporządzeniu Prezesa NFZ, w oparciu o zapisy Ustawy „Za życiem”, co do których została dopuszczona możliwość rozliczenia w ramach JGP. Powstaje zatem pytanie, czy procedury takie należy traktować jako świadczenie gwarantowane.

W odpowiedzi, Andrzej Śliwczyński stwierdził, że nie do końca tak jest. Są to świadczenia w ramach kompleksowego udzielania świadczeń zgodnie z zapisami Ustawy „Za życiem”. Nie można traktować jako świadczenia poszczególnych elementów wchodzących w zakres ww. kompleksowej opieki.

Zbigniew Szawarski zwrócił uwagę na to, że opiniowany program może być oceniany z różnych perspektyw. Z perspektywy profesjonalnej (tzn. lekarskiej) może on wzbudzać wiele entuzjazmu. Z tego punktu widzenia im więcej ośrodków i przeznaczonych pieniędzy tym lepiej. Z punktu widzenia aktualnej polityki zdrowotnej państwa program także oceniony byłby pozytywnie, ponieważ doskonale wpisuje się on w cywilizację życia, w Ustawę „Za życiem”, w ochronę życia. Z perspektywy eksperta z zakresu HTA (ang. Health Technology Assessment, ocena technologii medycznych) program powinien

zostać uznany za źle przygotowany, nie bierze on bowiem pod uwagę wcześniejszych zaleceń AOTMiT, (można więc zakładać, że ponownie zgłoszone uwagi także zostaną zignorowane) i nie zawiera żadnych wniosków płynących (follow up) z realizacji poprzednich edycji. Natomiast z perspektywy rodziców dziecka z głęboką wadą genetyczną zakładać należy, że lektura zapisów programu wywołałaby przerażenie. Istnieje bowiem kilka możliwości: wyleczenie dziecka lub obniżenie poziomu niepełnosprawności (sukces), niepewność w stosunku do powodzenia lub porażki podjętej próby oraz brak możliwości podjęcia jakichkolwiek działań. W sytuacji, w której nic nie da się zrobić, zawsze będzie istniała pewna grupa kobiet, które po uzyskaniu pełnej informacji o możliwych alternatywach postępowania zdecydują się na przedwczesne zakończenie ciąży, co zgodnie z ideologią leżącą u podstaw programu oznacza zabicie nienarodzonego dziecka z woli matki. Program nie uwzględnia sytuacji kobiet, u których ciąża ma charakter głębokiej i niepoddającej się leczeniu patologii, a kobieta nie wyraża zgody na kontynuowanie ciąży. Z uwagi na powyższe, opowiedział się za negatywnym zaopiniowaniem projektu programu.

Michał Myśliwiec zaznaczył, że odrzucenie programu spowoduje 4-krotnie większe wydatki Ministerstwa Zdrowia przeznaczone na leczenie zagranicą.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 14 głosami za projektem opinii Rady, przy 2 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 5.** Tomasz Pasierski zwrócił uwagę na brak dobrych dowodów naukowych oraz na dużą ilość wskazań, nad którymi należałoby się oddzielnie zastanawiać.

Swoją propozycję stanowiska przedstawił Janusz Szyndler, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Przyznał, że zaopiniował wniosek w sposób zbiorczy. Potraktowanie preparatów wspólnie, przy odnoszeniu się do zawartości tetrahydroksykannabinoli i kannabidiolu w każdym z nich, spowodowało brak informacji dotyczących skuteczności tego typu zestawień. Problem polega na tym, że większość dostępnych dowodów naukowych charakteryzuje się znaczną heterogennością – nie dotyczą one jednego środka albo środka o konkretnym składzie tetrahydroksykannabinoli i kannabidiolu, tylko bardzo różnych produktów, zawierających zmienne zawartości (czasem niespecyfikowane) i dotyczących różnych form do spożycia (napar, środek do palenia). Uniemożliwia to oszacowanie ekspozycji poszczególnych pacjentów. Dodał, że w swojej propozycji stanowiska kierował się brakiem dowodów naukowych, bez uwzględniania ideologicznych przesłanek stosowania ocenianych preparatów. Zaznaczył, że negatywna rekomendacja nie odnosi się do stosowania kanabinoidów, lecz stanowi wyraz braku dowodów na skuteczność preparatów o określonej formie i składzie.

Następnie, analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z raportu nr: OT.4311.14.2017, „Produkty zawierające kannabinoide: Bedica, Bediol, Bedrolite, Bedrocan, Bedrobinol, we wskazaniach: padaczka lekooporna; przewlekły ból, w tym: ból w chorobie nowotworowej, ból neuropatyczny, ból fantomowy; spastyczność, w tym spastyczność w stwardnieniu rozsianym; algodystrofia; nudności i wymioty związane z chemioterapią; stwardnienie rozsiane”.

Tomasz Pasierski przyznał, że Rada nie powinna rekomendować produktów o tak niezdefiniowanym charakterze.

Janusz Szyndler podkreślił, że w zasadzie nie są to produkty lecznicze i nie są one zarejestrowane jako środki terapeutyczne. Następnie, odniósł się do stosowania preparatów w padaczce lekoopornej, w przypadku której stanowią one jedną z ostatnich linii leczenia w ciężkich zespołach padaczkowych. Podkreślił, że dane kliniczne odnosiły się w tym przypadku tylko do stosowania kannabidiolu. Według niego, opiniowane preparaty nie byłyby odpowiednie, ponieważ brakuje danych i dowodów

7.2  
18



odnoszących się do połączenia z tetrahydroksykannabinolem. Nie wyklucza to skuteczności opiniowanych preparatów, jednakże wymaga przeprowadzenia odpowiednich badań. Poinformował także, że w zasadzie wszystkie dane kliniczne dowodzące skuteczności kanabinoidów dotyczą stosowania wyłącznie kanabidiolu, podczas gdy kwestia proporcji między poszczególnymi składnikami może mieć duże znaczenie dla skuteczności leczenia. Dodał, że dostępne badania są niskiej jakości – nie zawierają dobrej oceny grup włączanych, brakuje odpowiednich grup kontrolnych i randomizacji. W leczeniu przewlekłego bólu (w chorobie nowotworowej, bólu neuropatycznego) mimo mnogości badań i przeglądów systematycznych występuje problem niejednorodności i braku właściwego zaślepienia. Większość badań wskazuje na umiarkowaną skuteczność, ale tylko u wyselekcjonowanej grupy pacjentów w terapii III rzutu. Ponadto, dostępne rekomendacje dotyczą syntetycznych analogów kanabinoidów - są one analogami wyłącznie tetrahydroksykannabinoli, więc nie odnoszą się do ocenianych preparatów. W przypadku leczenia stwardnienia rozsianego (SM) nie ma żadnych dowodów potwierdzających wpływ na przebieg choroby. W przypadku spastyczności w SM nie widać efektów w zakresie oceny w skalach obiektywnych, widać go natomiast w ocenach pacjentów w skalach numerycznych. Prawdopodobnie może być to związane z tym, że pacjenci ogólnie lepiej się czują. Nie zmienia to faktu, że nie ma twardych dowodów na skuteczność opiniowanych preparatów. Zauważył, że wskazania różnią się między sobą pod kątem zalecanych składów preparatów. W leczeniu nudności związanych z chemioterapią zaleca się preparaty THC (tetrahydroksykannabinole), czyli syntetyczne analogi, które nie są opiniowane we wniosku. Wskazał, że brakuje danych odnośnie leczenia bólów fantomowych oraz algodystrofii. Następnie, odniósł się do kwestii bezpieczeństwa stosowania. W jego opinii, skutków ubocznych działania kanabinoidów jest niewiele i mają one łagodny charakter, przy czym podkreślić należy, że nie istnieją w tym zakresie dane długoterminowe. Kwestie ekonomiczne nie są znaczące. Do tej pory środki wydane na refundację terapii w przypadku padaczki lekoopornej były niewielkie. Podsumowując, zaproponował stanowisko negatywne, którego podstawę stanowił brak wystarczających danych klinicznych.

Michał Myśliwiec zauważył, że jeżeli część dzieci otrzymywała oceniane kanabinoidy to negatywne stanowisko Rady spowoduje utratę możliwości ich stosowania. Zaproponował zatem zawarcie zapisu pozwalającego podjąć próbę zastosowania preparatów w przypadku padaczki lekoopornej.

Tomasz Pasierski zauważył, że wobec braku dostępnych środków leczenia w jakimś wskazaniu dopuszczalne jest pozytywne zarekomendowanie stosowania preparatów, w przypadku których nie ma działań niepożądanych i wysokich kosztów stosowania, a co do których jest nadzieja, że będą skuteczne.

Piotr Szymański wskazał, że kluczową kwestią jest to, iż opiniowane preparaty nie mają statusu produktów leczniczych, nie wszystkie z nich posiadają także certyfikat GMP (ang. Good Manufacturing Practice, Certyfikat Dobrej Praktyki Wytwarzania). W jego opinii, stanowi to podstawę do negatywnej rekomendacji dot. ich finansowania. Przywołał także zapisy z uchwały Rady z 2016 r., w której Rada negatywnie ustosunkowała się do propozycji wydawania zgód na refundację, jednakże wskazała, że z przyczyn humanitarnych uzasadnione może być stosowanie preparatów w szczególnych przypadkach.

Andrzej Śliwczyński podkreślił, że Rada opiniuje wniosek o refundację, a nie o możliwość sprowadzania w ramach importu docelowego ze środków własnych pacjenta. Wskazał, że w przypadku takich schorzeń jak padaczka lekooporna, szpital może sprowadzić i sfinansować preparat. Poparł sprowadzanie preparatów dla pacjentów, u których lekarz widzi szansę na osiągnięcie korzyści, jednakże istnieje problem finansowania, z uwagi na to, że nie są to leki. Według niego, opinia dla finansowania powinna być negatywna.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 12 głosami za projektem stanowiska Rady, przy 4 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 6.** Swoją propozycję opinii przedstawił Marek Wroński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponował opinię pozytywną. Zwrócił uwagę na uciążliwości związane z wymiotami typu ostrego, występujące u 90% chorych otrzymujących wysokodawkową chemioterapię. Głównym celem opiniowanej terapii jest zapobieganie wystąpieniu nudności, wymiotów poprzez stosowanie profilaktyki przed rozpoczęciem chemioterapii/radioterapii. Następnie, przedstawił krótką charakterystykę ocenianych substancji czynnych. Odnosił się także do istniejących wytycznych klinicznych i rekomendacji. Zwrócił uwagę, że brak szczegółowych danych uniemożliwia oszacowanie populacji dorosłych pacjentów, a co za tym idzie precyzyjnych kosztów związanych ze stosowaniem terapii. Zaznaczył, że stosowanie opiniowanych substancji uzasadniają wyniki prospektywnych badań.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 16 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 7. 1)** Swoją propozycję opinii przedstawiła Aleksandra Michowicz, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponowała opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT. Podkreśliła, że program został bardzo starannie przygotowany. Koncentruje się on na powszechnie uznanych rekomendacjach międzynarodowych towarzystw naukowych oraz ekspertów klinicznych, dotyczących profilaktyki nadwagi i otyłości wśród dzieci. Program jest wieloskładnikowy, proponuje bardzo dobrze opracowaną akcję edukacyjną połączoną z zajęciami wychowania fizycznego i indywidualnym przygotowaniem diet dla grup dzieci z potwierdzonym BMI wskazującym na nadwagę bądź otyłość. Bardzo dobrze zaplanowano akcję informacyjną, również dla rodziców, a także założenia budżetowe. Zwróciła uwagę na pewne niedociągnięcia, wśród których wymieniła: nieaktualność niektórych danych epidemiologicznych, pewną niezgodność celów głównych i szczegółowych z zasadą S.M.A.R.T., fakt, że niektóre mierniki efektywności nie odnoszą się bezpośrednio do celów, istnienie pewnych niedokładności w zakresie oszacowania grupy docelowej, brak konkretnego określenia liczebności grup uczestniczących w szkoleniach. Dodatkowo, program zakłada ewentualne dofinansowanie z NFZ. Podkreśliła także, że, poza badaniami antropometrycznymi, zaplanowane interwencje nie powielają świadczeń gwarantowanych.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 16 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**2)** Swoją propozycję opinii przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponowała opinię pozytywną. Wskazała, że program jest wieloletni, zakłada przebadanie kobiet w wieku 45-49 lat (ok. 230 kobiet rocznie). Zaplanowano przeprowadzenie kampanii informacyjno-edukacyjnej i spotkań edukacyjnych, wykonanie mammografii i USG u pacjentek, u których istnieć będą jakieś wątpliwości o charakterze medycznym. Przewidziano także naukę samobadania piersi.

Tomasz Pasiński zgłosił wątpliwości w zakresie planowanej populacji.

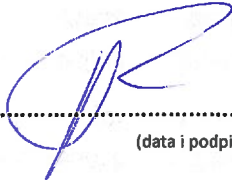
Marzanna Bieńkowska wskazała, że istnieją różne rekomendacje w tym zakresie i niektóre z nich dopuszczają wykonywanie mammografii już od 40 r.ż. Podkreśliła, że populacja zaplanowana

w programie nie pokrywa się z populacją objętą świadczeniami w ramach NFZ. Dodała, że koszty zostały prawidłowo wyliczone. Wskazała, że pewne elementy (np. miernik i cele) wymagają poprawy.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 16 głosami za projektem opinii Rady, przy 0 głosów przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 8.** Prowadzący posiedzenie Tomasz Pasierski zakończył posiedzenie Rady o godzinie 13:48.

Protokół sporządził Tomasz Pasierski  
Przewodniczący Rady Przejrzystości

  
..... 7.2.18  
(data i podpis)



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 20/2018 z dnia 29 stycznia 2018 roku

o projekcie programu „Program kompleksowej diagnostyki i terapii wewnątrzmacicznej w profilaktyce następstw i powikłań wad rozwojowych i chorób dziecka nienarodzonego – jako element poprawy stanu zdrowia dzieci nienarodzonych i noworodków na lata 2018-2020”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program kompleksowej diagnostyki i terapii wewnątrzmacicznej w profilaktyce następstw i powikłań wad rozwojowych i chorób dziecka nienarodzonego – jako element poprawy stanu zdrowia dzieci nienarodzonych i noworodków na lata 2018-2020” Ministra Zdrowia, biorąc pod uwagę społeczne znaczenie problemu zdrowotnego, którego dotyczy program oraz fakt, że jest to kolejne przedłużenie realizacji jego zadań zapoczątkowanych w roku 2006, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady dotyczących sposobu realizacji zadań przewidzianych w programie, ich finansowania, a przede wszystkim oceny efektywności interwencji podejmowanych w poszczególnych grupach wskazań do terapii wewnątrzmacicznej płodu.*

*Ponadto, Rada wyraża zaniepokojenie, że jej liczne uwagi, dotyczące poprzedniej edycji programu, sformułowane w 2014 roku, nie zostały uwzględnione.*

#### Uzasadnienie

*Opiniowany projekt programu de facto zakłada kontynuację jego zadań realizowanych etapami w latach 2006 – 2008, 2009 – 2013 oraz 2014 – 2017, niezmiennie pod nazwą: „Program kompleksowej diagnostyki i terapii wewnątrzmacicznej w profilaktyce następstw i powikłań wad rozwojowych i chorób płodu - jako element poprawy stanu zdrowia płodów i noworodków”. Modyfikację tytułu projektu należy uznać za mylącą i nieuzasadnioną z punktu widzenia nomenklatury medycznej, w której obowiązuje ciąg pojęć: zapłodnienie, zygota, zarodek, embriion (okres rozwoju embrionalnego), płód (okres życia płodowego), a po porodzie noworodek (do 4 tygodnia życia), następnie niemowlę oraz kolejne etapy wieku dziecięcego i dojrzewania, do osiągnięcia dorosłości.*



Projekt programu nie zawiera informacji o jego autorach. Ze względu na jego znaczenie społeczne, założenia organizacyjne i planowane nakłady, naturalnym wydawałoby się, że jego współautorami powinni być co najmniej konsultanci krajowi w dziedzinie ginekologii i położnictwa, perinatologii oraz neonatologii, będący reprezentantami Ministra Zdrowia i administracji państwowej. Ułatwiłoby to koordynację programu, niezależnie od wytypowania ośrodka koordynującego działania w ramach programu, racjonalizację wydatków na sprzęt i aparaturę oraz nadzór merytoryczny nad realizacją zadań przewidzianych w programie. Założenia programu powinny odnieść się również do takiego sposobu ustalania wskazań do zabiegów u płodu i ich ewidencjonowania, aby uniknąć ich ewentualnego podwójnego finansowania w związku z dublowaniem się części interwencji wymienionych w projekcie programu oraz w zarządzeniu 125/2016/DSOZ Prezesa NFZ z 22 grudnia 2016. Możliwość realizacji części świadczeń na podstawie w/w zarządzenia powinna być zresztą omówiona w projekcie programu z punktu widzenia jego organizacji oraz uzasadnienia dla jego budżetu. Powszechnie wiadomo, że ceny świadczeń kontraktowanych przez NFZ z reguły nie uwzględniają w ich kalkulacji zakupów aparatury i jej amortyzacji. Jeśli zatem za w pełni zasadne uznać należy kontynuowanie i rozwój programu terapii płodu, także z punktu widzenia zwiększenia liczby ośrodków specjalizujących się w tym zakresie, to w pełni zrozumiałe jest również przeznaczenie przez MZ odrębnych środków na zakupy drogiego sprzętu i specjalistycznej aparatury. Opis programu powinien jednak zawierać dokładniejszą informację dotyczącą ośrodków już teraz uczestniczących w realizacji programu (kilku – str. 25 projektu), o czym w projekcie jest mowa, ale nie wymienia się zakresu i liczby przeprowadzonych w nich interwencji, które musiały już być zabezpieczone od strony aparaturowej. Mowa jest w innym miejscu (str. 30) o wykorzystaniu „grup terapii płodu” w dużych ośrodkach położniczych kraju, bez padania ani składu specjalistów w tych „grupach”, ani listy wspomnianych „ośrodków”. Jediną placówką wymienioną z nazwy jest Instytut Centrum Zdrowia Matki Polki w Łodzi. Należy więc uściślić, także od strony organizacyjnej, jak będą wyglądać potrzeby sprzętowe poszczególnych ośrodków oraz dystrybucja zakupionej aparatury. Istnieje w tym miejscu pewna niekonsekwencja wynikająca z konieczności przeprowadzenia postępowań konkursowych z jednej strony, a z drugiej podanie w projekcie gotowej już listy potrzeb aparaturowych.

W projekcie podana jest definicja umieralności okołoporodowej, co ma mniejsze uzasadnienie, gdyż jest mało prawdopodobne, aby realizacja zadań programu w sposób znaczący wpłynęła na ten parametr. Nie jest natomiast podana definicja wspomnianej również wielokrotnie śmiertelności płodów lub śmiertelności okołoporodowej z powodu wybranych typów wad wrodzonych

lub zaburzeń wpływających na dobrostan płodu w różnych okresach ciąży, co ma większe znaczenie z punktu widzenia planowanych interwencji.

Z tytułu projektu programu wynika konieczność przeprowadzenia kompleksowej diagnostyki mającej na celu – jak się należy domyślać – kwalifikację do terapii wewnątrzmacicznej płodu. Zagadnienie to nie jest jednak dobrze omówione, a niektóre fragmenty opisu programu mogą wręcz powodować pewne nieporozumienia, widoczne zresztą w opiniach części ekspertów. Diagnostyka prenatalna jest pojęciem bardzo szerokim. Może dotyczyć przede wszystkim wszelkich rutynowych działań diagnostycznych ujętych w standardach postępowania położniczego niemal od pierwszych do ostatnich tygodni ciąży w przypadku każdej kobiety ciężarnej. Celem takich badań jest ocena rozwoju embrionalnego oraz dobrostanu płodu. Badania po tym kątem wykonywane są także u matki z myślą o jej ogólnym stanie zdrowia w przebiegu całej ciąży. Główną technologią diagnostyczną pozwalającą na rutynowe monitorowanie rozwoju embrionu i płodu jest współcześnie ultrasonografia. Diagnostyka każdej prawidłowo przebiegającej ciąży oraz w podejrzewanych lub zidentyfikowanych przypadkach jej patologii może obejmować również badania biochemiczne, hematologiczne, immunologiczne, mikrobiologiczne i szereg innych, a także inną poza USG diagnostykę obrazową. Ten nurt opieki nie ma ścisłych powiązań i zależności z odrębnie realizowanym i finansowanym przez NFZ programem badań prenatalnych (PBP). Założenia i cele PBP są inne niż cele opiniowanego programu, który w skrócie można nazwać programem terapii wewnątrzmacicznej płodu (PTWP). PTWP obliczony jest na ratowanie lub przedłużenie życia płodu w przypadkach wybranych wad rozwojowych lub innych zaburzeń zagrażających kontynuacji ciąży, w sposób dający szansę skutecznej wielospecjalistycznej opieki okołoporodowej oraz w późniejszym życiu postnatalnym dziecka. PBP obejmuje natomiast szereg badań nieinwazyjnych i/lub inwazyjnych w konkretnych, określonych w tym programie grupach ryzyka wystąpienia u płodu wybranych typów wad rozwojowych, aberracji chromosomowych lub dziedzicznych chorób o podłożu monogenowym. Wprawdzie jedną z grup wskazań do badań inwazyjnych w ramach PBP mogą być wady rozwojowe stwierdzone nawet podczas rutynowego badania USG płodu, ale potwierdzenie ich genetycznego podłoża zwykle stanowi o podważeniu wskazań do wewnątrzmacicznej terapii płodu, niż odwrotnie. Innymi słowy ciężarne kwalifikowane do PTWP bardzo rzadko będą kwalifikowane z PBP, którego skutkiem może być profilaktyka wtórna wad i chorób o podłożu genetycznym, co innymi słowy może wiązać się z pewnym odsetkiem ciąż wcześniej zakończonych na podstawie autonomicznych decyzji matek lub rodziców w tym zakresie. Kompleksowa diagnostyka ciąży i płodu w ramach PTWP może niekiedy obejmować metody cytogenetyczne i molekularne wykorzystywane w ramach PBP, ale badania tego typu

nie są wówczas zwykle finansowane z PBP lecz w ramach jednorodnych grup pacjentów lub innych środków przewidzianych na realizację PTWP. Celem takich badań w ramach postępowania różnicującego przyczyny wad rozwojowych lub innych zaburzeń kwalifikowanych do terapii wewnątrzmacicznej płodu jest wykluczenie ich podłoża genetycznego co mogłoby stanowić przeciwwskazanie do terapii, zwłaszcza w przypadkach potencjalnie letalnych, gdyż podejmowanie zabiegów mogłoby być wówczas nieuzasadnione, nieefektywne, a w określonych przypadkach nosić wręcz znamiona terapii uporczywej, przedłużającej naturalny bieg zdarzeń, z zagrożeniem dla życia i zdrowia ciężarnej i utrudnieniem decyzji dotyczących opieki położniczej na dalszych etapach ciąży oraz w odniesieniu do sposobu, czasu i miejsca prowadzenia porodu. Jak wynika z powyższego, zarówno PBP jak i PTWP mogą generować zasadniczo różne problemy natury etycznej i psychologicznej z punktu widzenia interesów matki i płodu. Z przywołanych zatem w projekcie programu zapisów ustawy "Za życiem" i aktów wykonawczych do niej mogą korzystać zarówno matki objęte PBP po stwierdzeniu patologii u płodu, niezależnie od typu decyzji dotyczących dalszych losów ciąży, matki rezygnujące z badań w ramach tego programu mimo wskazań do badań, jak i ciężarne objęte PTWP, zwłaszcza w przypadkach o niekorzystnym rokowaniu lub powikłanym przebiegu po terapii wewnątrzmacicznej, a także ciężarne u których ustalono przeciwwskazania do takiej terapii. Niezależnie od rodzaju sytuacji spośród tych, wymienionych powyżej, każda ciężarna powinna mieć zapewnione wielospecjalistyczne poradnictwo lekarskie, z poradnictwem genetycznym włącznie, opiekę psychologiczną, opiekę hospicyjną i paliatywną uwzględniającą zależnie od konkretnego przypadku potrzeby matki i dziecka. Rada zamieszcza w uzasadnieniu ten obszerny komentarz chcąc z jednej strony podkreślić odrębne cele i założenia PBP oraz PTWP oraz zwrócić uwagę na fakt, że przywołanie w projekcie programu informacji o PBP oraz ustawy "Za życiem" miałoby sens pod warunkiem opracowania logicznego algorytmu postępowania uwzględniającego różne scenariusze rozwoju sytuacji klinicznych u kobiet objętych PTWP. W obecnej formie redakcyjnej projekt programu tego warunku nie spełnia.

Strukturalne wady rozwojowe i choroby płodu występują w 3-4,5/100 diagnozowanych przypadków, średnio w ok. 3,5%. W grupie dzieci w wieku 0-4 lat wrodzone wady rozwojowe są przyczyną 36,2% zgonów, stanowiąc drugą przyczynę zgonu w tej grupie wiekowej (NIZP-PZH 2016). Szacuje się, że liczba płodów wymagających leczenia w trakcie ciąży wynosi około 0,5%, co stanowi około 2000 przypadków na 400 000 porodów rocznie w kraju.

W chwili obecnej istnieje możliwość leczenia farmakologicznego lub chirurgicznego niektórych wad rozwojowych lub innych zaburzeń rozwoju płodu zdiagnozowanych w okresie prenatalnym. Do chorób płodu, które

kwalfikują się do terapii wewnątrzmacicznej należą między innymi: zespół TTTS (zespół przetoczeń między bliźniętami), zespół TRAP (zespół odwróconego przepływu krwi między bliźniętami), sIUGR (selektywne wewnątrzmaciczne zahamowanie wzrostu płodu w ciąży jednokosmówkowej), niedokrwistość płodu, choroba hemolityczna noworodka, przepuklina przeponowa, przepuklina pępkowa, przepuklina oponowo-rdzeniowa, uropatia zaporowa, wytrzewienie jelit, guzy szyi, guz okolicy krzyżowo-guzicznej, sekwestracja płata płucnego, niektóre wady serca oraz zaburzenia rytmu serca płodu.

W ramach planowanych interwencji wnioskodawca wymienia szerokie spektrum metod diagnostycznych i leczniczych w zakresie medycyny prenatalnej. Większość z nich pokrywa się z aktualnymi rekomendacjami, stanowiskami towarzystw naukowych i opiniami ekspertów.

Skuteczność i bezpieczeństwo wnioskowanych w programie interwencji wewnątrzmacicznych trudno jest oceniać z uwzględnieniem metodyki HTA, ponieważ w przypadku niektórych technologii brak jest wystarczających dowodów naukowych wysokiej jakości, pozwalających na sformułowanie jednoznacznych rekomendacji i wniosków wynikających z porównań między grupami płodów poddanych i nie poddanych tego typu terapii. Specyfika omawianych sytuacji klinicznych jest poważną barierą w uzyskaniu danych o wyższej wartości dowodowej. Należy również podkreślić, że w niektórych typach zaburzeń każdy uratowany płód stanowi o wartości dodanej programu, niezależnie od efektywności interwencji, bez której nie istniałaby szansa przeżycia dziecka. Prace badawcze, a zwłaszcza metaanalizy dotyczące porównań efektywności i bezpieczeństwa różnych technik zabiegowych wykorzystywanych w terapii wad lub zaburzeń tego samego typu należą do rzadkości i odnoszą się do nielicznych nieprawidłowości rozwojowych. Publikowanie takich wyników jest zapewne kwestią czasu w miarę zwiększania się liczby ośrodków i wykonywanych w nich zabiegów w skali europejskiej oraz ogólnoswiatowej. Obecnie większość publikacji z tego zakresu oparta jest o dane obserwacyjne.

W niektórych zespołach zaburzeń rozwojowych rekomendowane postępowanie kliniczne jest uzależnione od ciężkości stanu lub ryzyka rozwoju powikłań, np. w zespole TTTS jest uzależnione od stopnia zaawansowania zaburzeń hemodynamicznych wg klasyfikacji Quintero (PTG 2014, RCOG 2016), a w zespole TRAP od okoliczności stwierdzenia objawów obciążenia serca u płodu pompującego lub zwiększenia perfuzji (w tym pojawienia się wielowodzia) oraz wzrastania płodu bezsercowego (ISUOG 2016a). Dostępne dowody naukowe dotyczące cystoskopii płodu w diagnostyce i leczeniu niedrożności dolnych dróg odpływu moczu, shuntów opłucnowo – owodniowych, walwuloplastyki zastawki aortalnej i płucnej, przezskórnej terapii laserowej nowotworów, amniointuzji terapeutycznej w małowodziu, pozwalają



na stosowanie procedur tylko w ośrodkach o najwyższym stopniu referencyjności, specjalizujących się w inwazyjnej medycynie płodu i legitymujących się posiadaniem interdyscyplinarnego, doświadczonego zespołu oraz odpowiedniego zaplecza klinicznego.

Wnioskodawca szczegółowo opisał kryteria dotyczące realizatora/ów programu. Pozytywnie należy ocenić możliwość rozszerzenia dotychczasowej formuły programu o dodatkowe ośrodki. Wydaje się, że o ile w częstszych zespołach chorobowych, np. zespół TTTS (podkradania między bliźniętami), albo w przypadku mniej specjalistycznych zabiegów (np. amnioredukcje, amnioinfuzje, odbarczenia), procedury mogą być wykonywane w większej ilości ośrodków, to zabiegi rzadsze (np. valvuloplastyka w przypadkach stenoz aortalnych u płodów) powinny być zarezerwowane dla jednego ośrodka, doświadczonego w tym zakresie. Niezależnie od tego część zabiegów może wymagać decyzji niekonwencjonalnych lub nowatorskich. W ramach nadzoru merytorycznego należy rozważyć konieczność posiadania zgody na prowadzenie określonych typów terapii, także pod kątem doboru zakresu przypadków klinicznych, ze strony lokalnych komisji bioetycznych. Może to stanowić gwarancję przygotowania niezbędnej dokumentacji związanej z procesem opiniodawczym, uwzględniającej także niezbędne informacje dla ciężarnych o charakterze i możliwych powikłaniach zabiegu, a także odpowiednio przygotowane protokoły zgód na zabiegi. Formularze takie powinny być załączone do projektu programu. W projekcie zaznacza się, że niektóre spośród interwencji podejmowanych w ramach poprzednich edycji programu były objęte programami badawczymi i należy się jedynie domyślać, że uzyskiwano wówczas zgody lokalnych komisji bioetycznych, jednakże nie jest to podkreślone *expressis verbis*.

Należy zaznaczyć, że według rekomendacji międzynarodowych (NICE 2006, 2007, 2008) terapia wewnątrzmaciczna winna być przeprowadzana w doświadczonych ośrodkach, w ramach współpracy interdyscyplinarnej i w starannie wyselekcjonowanych przypadkach. W momencie wykrycia wady rozwojowej, oraz podejmowania decyzji co do interwencji zaleca się również, aby w związku z trudną sytuacją emocjonalną kobiety w ciąży i jej rodziny zapewnić dostęp do opieki socjalnej, paliatywno-hospicyjnej, poradnictwa genetycznego oraz wsparcia psychologicznego (ACOG 2011, PTMP 2000). Szerzej omówiono to wyżej w uwagach ogólnych z odniesieniem tej problematyki do zapisów ustawy "Za życiem".

W opinii ekspertów klinicznych procedury przewidziane w programie zostały prawidłowo dobrane, a program powinien być kontynuowany i finansowany przez MZ. Winien jednak obejmować większą liczbę ośrodków i skupiać specjalistów z wielu dziedzin medycyny. Eksperti zauważyli również, że niektóre z procedur (np. amnioredukcja w przypadkach wielowodzia, infuzja płynu

w przypadkach małowodzia, zabiegi kardiologiczne u płodu, okluzja tchawicy w przepuklinie przeponowej, zabiegi w uropatii zaporowej, przepuklinie rdzeniowej i w przypadku potworniaka) są z powodzeniem stosowane w wielu oddziałach klinicznych III stopnia referencji z dobrym rezultatem i dlatego procedury te powinny być finansowane przez NFZ. Wśród uwag krytycznych zauważono, że w programie nie zawarto wymogu przedstawienia efektywności wykonywanych procedur, zwłaszcza w zakresie zwiększenia szansy przeżycia, porodu w ciąży donoszonej, uniknięcia powikłań związanych z wcześniactwem, polepszenia jakości życia i czasu trwania życia. Oceny efektywności programu nie należy opierać na kryteriach zakupu aparatury, przeprowadzenia szkolenia lub wykonania określonej liczby zabiegów. Konsultant krajowy w dziedzinie perinatologii wskazuje również, że ewaluacja programu powinna opierać się na centralnym rejestrze zabiegów inwazyjnych wykonywanych przez realizatorów programu obejmujących również follow-up według ustalonych kryteriów.

Wydaje się, że już sam fakt realizacji programu od roku 2006 powinien świadczyć o możliwości zgromadzenia przez jego realizatorów szeregu retrospektywnych danych klinicznych pozwalających na ocenę efektywności podejmowanych dotychczas interwencji. W projekcie programu wspomina się, że ocena osiągnięcia celu głównego oraz celów szczegółowych podlegać będzie stałemu monitorowaniu na podstawie corocznego sprawozdania z realizacji programu przygotowanego przez Departament Polityki Zdrowotnej oraz corocznego sprawozdania jednostek wyłonionych na realizatorów poszczególnych zadań programu. Należy przypuszczać, że Departament Polityki Zdrowotnej posiada już takie dane sprawozdawcze z poprzednich edycji programu. Powinny one być zebrane i opisane.

Zwraca uwagę fakt, że przy zakładanej większej ilości ośrodków biorących udział w realizacji programu w latach 2018-2020 spaść ma do 400 liczba przeprowadzonych zabiegów (u 300 ciężarnych), przy ponad 1000 zabiegów wykonanych w okresie od 2014 do połowy roku 2017. Wymaga to wyjaśnienia, również z punktu widzenia założeń budżetu programu. W treści projektu nie sprecyzowano również wskaźników, które posłużą ocenie zgłaszalności do programu.

W odniesieniu do planowanych w programie szkoleń zwraca uwagę brak precyzyjnych informacji na temat rodzaju i sposobu prowadzenia szkoleń. Nie wskazano tematyki szkoleń, ani czasu ich trwania. Nie określono celu wyjazdów zagranicznych lub krajowych.

Wnioskodawca określił koszty realizacji poszczególnych zadań oraz koszt całkowity programu. Pierwszym z zadań ma być dofinansowanie zakupu/wymiany aparatury i sprzętu, z uwzględnieniem w tym zakresie także nowych beneficjentów programu. Wnioskodawca oszacował koszty związane z tym zadaniem na kwotę 7,2 mln zł w latach 2018-2020. Nie opisano jednakże

zasad postępowania konkursowego na realizatorów programu z uwzględnieniem ich ewentualnych zasobów aparaturowych, a tym samym klucza doposażenia ich w tym zakresie oraz związanych z tym kosztów. Nie jest jasne w tym kontekście także stwierdzenie, że „przewiduje się udział własny realizatorów w zakresie wyposażenia i doposażenia w sprzęt i aparaturę medyczną w wysokości nie mniejszej niż 15% wartości zadania” – czy może być to wkład własny obejmujący koszty zakupów aparatury już posiadanej.

Kolejnym zadaniem związanym z finansowaniem programu będzie koordynowanie działań prowadzonych w trakcie trwania. Wnioskodawca na kwotę 585 tys. zł oszacował koszty związane z koordynowaniem programu w całym okresie trwania programu. Wnioskodawca nie wyjaśnił czym może być spowodowana różnica w kosztach tego zadania w poszczególnych latach. W 2018 r. koszt koordynowania ma wynosić ok. 45 tys. zł a w latach 2019-2020 odpowiednio 265 tys. zł oraz 275 tys. zł. Generalnie specyfikacja tych kosztów powinna być dokładniejsza.

Następna grupa kosztów wyszczególnionych w projekcie dotyczy zabiegów i operacji wewnątrzmacicznych. W latach 2018-2020 ma on wynieść łącznie 7,2 mln zł. Należałoby jednak podjąć starania o precyzyjniejszą wycenę kosztów poszczególnych interwencji w oparciu o doświadczenia z lat 2006-2017 z ich podziałem na procedury bardziej i mniej kosztochłonne. Może mieć to również istotne znaczenie z punktu widzenia odpowiedzi, które z procedur mogłyby i powinny być finansowane ze środków płatnika publicznego na mocy zarządzenia 125/2016/DSOZ Prezesa NFZ z 22 grudnia 2016, a które z budżetu programu (MZ) i czy w świetle takiego podziału wydatki na to zadanie z budżetu MZ są w pełni uzasadnione.

Warto jednocześnie zaznaczyć, że realizacja interwencji medycznych z zakresu wewnątrzmacicznej terapii płodu na terenie kraju znacząco wpływa na obniżenie kosztów wynikających z finansowania tego typu zabiegów przeprowadzanych w ośrodkach zagranicznych na podstawie indywidualnych wniosków o refundację takich świadczeń ze środków płatnika publicznego.

Ostatnią kategorię kosztów ma stanowić zakup materiałów i wyrobów medycznych niezbędnych do realizowania zabiegów i operacji wewnątrzmacicznych. Łącznie w okresie trwania programu wnioskodawca planuje przeznaczyć na ten cel 1,08 mln zł. Wątpliwości w tym zakresie są podobne jak w poprzednim akapicie.

Koszt całkowity realizacji programu w latach 2018-2020 ma wynieść ponad 16 mln zł.

Program w jego znaczącej części ma być finansowany ze środków budżetu będącego w dyspozycji Ministra Zdrowia.

*Głównym argumentem przemawiającym za pozytywną opinią Rady jest kontynuacja wnioskowanego programu, którego początki datowane są na rok 2006, z planowanymi interwencjami z zakresu wewnątrzmacicznej terapii płodu, pozwalającymi na przedłużenie życia dziecka do okresu ciąży pozwalającego po porodzie na wdrożenie u niego wielospecjalistycznej opieki zmniejszającej śmiertelność okołoporodową z powodu wybranych typów wad rozwojowych lub chorób i zaburzeń innego typu, uwzględnionych 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.440.9.2017 „Program kompleksowej diagnostyki i terapii wewnątrzmacicznej w profilaktyce następstw i powikłań wad rozwojowych i chorób dziecka nienarodzonego – jako element poprawy stanu zdrowia dzieci nienarodzonych i noworodków na lata 2018-2020” realizowany przez: Ministerstwo Zdrowia, Warszawa, styczeń 2018.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie ekspertów przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 16/2018 z dnia 29 stycznia 2018 roku

w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktów: BEDICA, BEDIOL, BEDROLITE, BEDROCAN, BEDROBINOL (kannabinoid) we wskazaniu: padaczka lekooporna; przewlekły ból, w tym: w chorobie nowotworowej, ból neuropatyczny, ból fantomowy; spastyczność, w tym spastyczność w stwardnieniu rozsianym; algodystrofia; nudności i wymioty związane z chemioterapią; stwardnienie rozsiane

*Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgody na refundację produktów: Bedica, Bediol, Bedrolite, Bedrocan, Bedrobinol, (kannabinoid) we wskazaniach:*

- *padaczka lekooporna;*
- *przewlekły ból, w tym: w chorobie nowotworowej, ból neuropatyczny, ból fantomowy;*
- *spastyczność, w tym spastyczność w stwardnieniu rozsianym;*
- *algodystrofia;*
- *nudności i wymioty związane z chemioterapią;*
- *stwardnienie rozsiane.*

#### **Uzasadnienie**

##### Problem kliniczny i terapeutyczny

*Padaczka lekooporna jest rozpoznawana gdy zastosowanie leków przeciwpadaczkowych w optymalnych dawkach nie prowadzi do uzyskania kontroli nad napadami (redukcja napadów mniejsza niż 50% względem stanu wyjściowego). Lekooporność wiąże się z podwyższonym ryzykiem pogarszania się funkcji poznawczych, zaburzeń nastroju oraz zgonu.*

*Ból jest nieprzyjemnym doznaniem związanym z rzeczywistym lub potencjalnie zagrażającym uszkodzeniem tkanek. Jedną z jego odmian jest ból przewlekły charakteryzujący się objawami towarzyszącymi takimi jak obniżenie nastroju, nadmierna drażliwość, zaburzenia snu, czy zaburzenia psychoruchowe. Przykładami bólu przewlekłego jest ból występujący w chorobie nowotworowej, ból neuropatyczny, jak również ból fantomowy.*



Stwardnienie rozsiane (SM) jest chorobą demielinizacyjną o charakterze autoimmunologicznym, której istotę stanowi przewlekły proces zapalno-demielinizacyjny ośrodkowego układu nerwowego prowadzący do powstawania ognisk demielinizacyjnych. Jednym z objawów występujących w przebiegu SM jest spastyczność, która występuje także u chorych po innych uszkodzeniach ośrodkowego układu nerwowego. Spastyczność występuje u większości pacjentów ze stwardnieniem rozsianym, uniemożliwiając lub znacznie utrudniając funkcjonowanie. Celem leczenia spastyczności jest między innymi zmniejszenie bólu, napięcia mięśniowego, jak również poprawa sprawności wykonywania codziennych czynności.

Zespół algodystroficzny to zespół chorobowy, dotyczący głównie kończyn, najczęściej poprzedzony urazem, zabiegiem inwazyjnym np. operacją kręgosłupa lub chorobą narządów wewnętrznych. Algodystrofia charakteryzuje się wzmożoną wrażliwością na ucisk oraz zmiany temperatury otoczenia, która w późniejszym okresie jest zastępowana upośledzoną reaktywnością na bodźce. U chorych zwraca uwagę labilność emocjonalna, tendencja do stanów lękowych i depresji.

Nudności i wymioty związane z chemioterapią należą do najczęstszych powikłań leczenia przeciwnowotworowego. Postrzegane są przez chorych jako główne działanie niepożądane związane z planowaną chemioterapią i negatywnie wpływają na jakość życia. Mogą powodować zaburzenia wodno-elektrolitowe, przyczyniać się do opóźnień i redukcji należnych dawek leków, a w konsekwencji zmniejszać skuteczność leczenia przeciwnowotworowego.

### Dowody naukowe

#### *Padaczka lekooporna*

Odnalezione przeglądy systematyczne (Wong 2017, Gloss 2014, Barnes 2016) dotyczące stosowania kannabinoidów w leczeniu padaczki lekoopornej wskazują, że kannabinoidy mogą mieć korzystny wpływ w napadach padaczkowych o różnej etiologii, w tym w padaczce opornej na leczenie. Jednakże w większości odnalezionych badań nie było grupy kontrolnej, co zmniejsza wiarygodność oceny skuteczności kannabinoidów w leczeniu padaczki. Ponadto w dominującej większości badań stosowano kannabidiol (CBD), a nie mieszaninę THC i CBD w zdefiniowanych proporcjach.

Wytyczne Therapeutic Goods Administration (TGA) 2017 wskazują, że leczenie padaczki wyciągami z konopi leczniczych lub kannabinoidów może być zalecane tylko jako leczenie wspomagające. Australian National Council on Drugs 2014 wskazują, że kannabinoidy mogą mieć potencjalne działanie przeciwdrgawkowe, ale badania kliniczne w tym zakresie są w fazie wstępnej bądź też wyniki tych badań są niejednoznaczne. Podobnie wytyczne American Epilepsy Society 2014 podkreślają, że obecnie brakuje silnych dowodów

naukowych dotyczących stosowania kannabinoidów. Należy podkreślić, że wytyczne dotyczą stosowania CBD lub ekstraktu o proporcji CBD do THC - 20:1.

#### *Leczenie przewlekłego bólu*

*Odnalezione przeglądy systematyczne (Aviram 2017, Bowen 2017, Häuser 2017, Häuser 2017(1), Nugent 2017, Amato 2016, Parmar 2016, Deshpande 2015, Whiting 2015,) dotyczące stosowania kannabinoidów w leczeniu przewlekłego bólu, w tym bólu w chorobie nowotworowej oraz bólu neuropatycznego. Badania włączone do przeglądu systematycznego charakteryzowały się znaczną niejednorodnością oraz brakiem właściwego zaślepienia. Na podstawie analiz stwierdzono, że stosowanie kannabinoidów w leczeniu przewlekłego bólu może być umiarkowanie skuteczne jednakże jakość dowodów powoduje, że nie jest możliwe sformułowanie ogólnych zaleceń dotyczących stosowania tych środków a ponadto mogą być one stosowane, tylko jako leczenie trzeciego rzutu, u starannie wyselekcjonowanych pacjentów.*

*Wytyczne Therapeutic Goods Administration (TGA) 2017 oraz Canadian Pain Society 2017 wskazują na możliwość stosowania kannabinoidów w leczeniu bólu różnego pochodzenia w jednakże jakość dowodów oszacowano na niską do umiarkowanej. Według rekomendacji Europejskiej Federacji Towarzystw Neurologicznych w 2010 r, kannabinoidy stosowane na śluzówkę jamy ustnej (syntetyczne analogi) posiadają dowody na skuteczność w leczeniu bólu neuropatycznego różnego pochodzenia w tym, w leczeniu bólu neuropatycznego w stwardnieniu rozsianym, po wyczerpaniu innych metod leczenia.*

#### *Stwardnienie rozsiane i spastyczność w stwardnieniu rozsianym*

*Wyniki prób klinicznych dotyczących stosowania kannabinoidów w stwardnieniu rozsianym, nie przyniosły dowodów na zmniejszenie postępu lub aktywności SM.*

*W badaniach dotyczących spastyczności w SM stwierdzono, że przy uwzględnieniu oceny spastyczności według skali Aswortha (ocena przeprowadzana przez lekarza), leki na bazie pochodnych konopi nie wykazywały przewagi nad placebo. W przypadku oceny w skalach subiektywnych wykazywały istotną przewagę co może wskazywać na brak obiektywnego efektu przeciwspastycznego.*

*Według wytycznych Canadian Pain Society 2017 oraz Therapeutic Goods Administration (TGA) 2017 kannabinoidy są zalecane, jako trzecia linia leczenia bólu związanego z SM, brak jest natomiast dowodów wykazujących na pozytywny wpływ kannabinoidów na zmniejszenie postępu lub aktywności SM. American Academy of Neurology 2014 i zalecenia polskich ekspertów rekomendują preparat Sativex (nabiximol THC: CBD 1:1) w celu uzyskania*

poprawy w zakresie spastyczności i bólu. Natomiast rekomendacje NICE 2014 nadmieniają, że bezpośrednie strategie neuroprotekcyjne (na przykład zastosowanie tetrahydrokannabinolu) okazały się nieskuteczne w leczeniu wtórnie postępującego MS.

Polskie rekomendacje z 2013 roku podkreślają skuteczność działania kannabinoidów, wskazując, że ponad 50% leczonych pacjentów osiąga więcej niż 30% poprawę w zakresie spastyczności, bólu i objawów ze strony dolnych dróg moczowych (dane dla preparatu Sativex). Wytyczne Therapeutic Goods Administration (TGA) 2017 nadmieniają, że istnieją dowody, że Sativex i inne wyciągi THC:CBD mogą zmniejszać spastyczność mięśni i poprawiać jakość życia pacjenta (poziom dowodów C). Rekomendacje AAN 2014 wskazują na skuteczność niektórych preparatów zawierających kannabinoidy w redukcji objawów spastyczności odczuwanych przez pacjenta i bólu w przebiegu stwardnienia rozsianego. Natomiast NICE 2014 z uwagi na fakt, że terapia lekiem Sativex jest nieopłacalna kosztowo, nie rekomenduje tej metody leczenia u pacjentów, którzy dotychczas nie byli leczeni kannabinoidami.

*Nudności i wymioty związane z chemioterapią*

Istnieją dowody, że preparaty THC (nabilon i dronabinol) wykazują podobną skuteczność w redukcji nudności i wymiotów spowodowanych chemioterapią jak konwencjonalnie stosowane leki, w tym ondansetron (antagonista receptorów 5-HT<sub>3</sub>). Pomimo licznych pojedynczych doniesień o korzyściach z zastosowania kannabinoidów podawanych wziewnie bądź doustnie, brak jest badań wysokiej jakości oceniających ich skuteczność we wnioskowanym wskazaniu, w szczególności THC wzbogaconej o CBD w różnych proporcjach.

Wszystkie odnalezione rekomendacje zalecają stosowanie kannabinoidów w leczeniu nudności i wymiotów związanych z chemioterapią. Wytyczne Therapeutic Goods Administration (TGA) 2017 podkreślają, że objawy leczenia przeciwnowotworowego (np. nudności, wymioty, zaburzenia nastroju, zmęczenie, utrata masy ciała) ulegają poprawie po rozpoczęciu terapii kannabinoidami. Podobnie National Comprehensive Cancer Network 2014. Canadian Pain Society 2017 nadmieniają, że nabilon jest zatwierdzony w Kanadzie do stosowania u pacjentów z nudnościami i wymiotami związanymi z chemioterapią. Należy podkreślić, że rekomendacje dotyczą syntetycznych preparatów zawierających THC bez dodatku CBD.

*Ból fantomowy i algodystrofia*

Nie odnaleziono dowodów (w tym pierwotnych i wtórnych) efektywności klinicznej kannabinoidów we wskazaniach: ból fantomowy i algodystrofia. Odnaleziono jedynie rekomendacje Reflex Sympathetic Dystrophy Syndrome Association 2013, które wskazują, że istnieją dowody na efektywność



kannabinoidów w leczeniu bólu, jednakże brak jest badań potwierdzających ich skuteczność w leczeniu algodystrofii.

Większość badań klinicznych potwierdza, że leczenie kannabinoidami jest dobrze tolerowane, a skutki uboczne stosowania kannabinoidów w różnych preparatach mają na ogół charakter łagodny. Objawy niepożądane zgłaszane u 10% pacjentów to głównie: senność, zmniejszenie apetytu, biegunka, zmęczenie, drażliwość oraz zaburzenia żołądkowo-jelitowe. Należy jednak zauważyć, że brakuje danych dotyczących długoterminowego stosowania kannabinoidów, w szczególności w aspekcie wpływu na funkcje poznawcze oraz zachowanie z uwzględnieniem ryzyka związanego z działaniem indukującym zaburzenia natury psychicznej, w tym z uzależnieniami.

#### Problem ekonomiczny

Z danych Ministerstwa Zdrowia wynika, że produkty lecznicze Bedica, Bediol, Bedrolite, Bedrocan, Bedrobinol były sprowadzane dla polskich pacjentów w ramach importu docelowego. Minister Zdrowia w latach 2016 – 2017 wydał zgodę na refundację preparatu: Bedica dla 11 pacjentów, Bediol dla 54 pacjentów, Bedrocan dla 13 pacjentów Bedrolite dla 30 pacjentów we wskazaniu padaczka lekooporna. W latach 2016-2017 w ramach importu docelowego zrefundowano łącznie 1243 opakowań preparatów zawierających kannabinoidy za łączną kwotę 260 400 zł netto. Refundacja dotyczyła preparatów wyłącznie we wskazaniu padaczka lekooporna. Z otrzymanych danych wynika, że średnia koszt poniesiony na refundację jednego opakowania zawierającego 5 g suszu wynosi 209,50 zł netto. Nie są dostępne wystarczające dane umożliwiające precyzyjne oszacowanie wielkości przyszłej populacji kwalifikujących się do stosowania preparatów zawierających kannabinoidy w omawianych wskazaniach.

#### Główne argumenty decyzji

Zdaniem Rady, dostępne w chwili obecnej dowody naukowe nie uzasadniają wydawania zgód na refundację produktów Bedrobinol, Bedrocan, Bediol, Bedica, Bedrolite we wnioskowanych wskazaniach. Dostępne badania (najczęściej niskiej jakości – brak randomizacji, grup kontrolnych) wskazują na pozytywne efekty stosowania produktów zawierających kannabinoidy we wskazaniu padaczka lekooporna, przewlekły ból neuropatyczny oraz spastyczność w przebiegu stwardnienia rozsianego. Brak jest badań dotyczących bólów fantomowych i algodystrofii. Należy zauważyć, że w wymienionych badaniach z reguły stosowano jedynie syntetyczne pochodne THC (dronabilon, nabilon, nabiksimol), a nie produkty zawierające tetrahydrokannabinol (THC) i kannabidiol (CBD), co dodatkowo utrudnia możliwość ekstrapolowania ich wyników na wnioskowane produkty, które charakteryzują się zróżnicowaną zawartością THC i CBD. Według większości

*dostępnych rekomendacji klinicznych zasadność stosowania kannabinoidów we wnioskowanych wskazaniach wymaga dalszych badań. W części wskazań, w szczególności w leczeniu spastyczności, nudności i wymiotów wywołanych chemioterapią oraz lekoopornej padaczce rekomendacje zalecają stosowanie konkretnych pochodnych kannabinoidów. Zdaniem ekspertów klinicznych dostępne dane nie są wystarczające, aby rekomendować zastosowanie produktów zawierających kannabinoidy we wnioskowanych wskazaniach.*

#### **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.4311.14.2017, „Produkty zawierające kannabinoidy: Bedica, Bediol, Bedrolite, Bedrocan, Bedrobinol, we wskazaniach: padaczka lekooporna; przewlekły ból, w tym: ból w chorobie nowotworowej, ból neuropatyczny, ból fantomowy; spastyczność, w tym spastyczność w stwardnieniu rozsianym; algodystrofia; nudności i wymioty związane z chemioterapią; stwardnienie rozsiane”.  
Data ukończenia: 24 stycznia 2018.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 21/2018 z dnia 29 stycznia 2018 roku

w sprawie substancji czynnych netupitantum + palonosetronum  
we wskazaniu pozarejestacyjnym: wczesne lub opóźnione  
wymioty u osób dorosłych związane z silnie emetogenną  
chemioterapią z zastosowaniem antybiotyku z grupy  
antracykliny i cyklofosfamidu - profilaktyka

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną netupitantum + palonosetronum we wskazaniu pozarejestacyjnym: wczesne lub opóźnione wymioty u osób dorosłych związane z silnie emetogenną chemioterapią z zastosowaniem antybiotyku z grupy antracyklin i cyklofosfamidu - profilaktyka.*

#### Uzasadnienie

##### Problem kliniczny i terapeutyczny

*Nudności to nieprzyjemne, niebolesne, subiektywne uczucie potrzeby wymiotowania podczas gdy wymioty są definiowane jako gwałtowne wyrzucenie treści żołądka przez usta w wyniku silnych skurczów mięśni brzucha i klatki piersiowej. U chorych na nowotwory nudności i wymioty są uciążliwym objawem samej choroby lub niepożądanym działaniem leczenia.*

*Najczęstszą przyczyną nudności i wymiotów są przyjmowane leki i toksyny. Najwyższy potencjał emetogeny wśród chemioterapeutyków wykazują: cisplatyna  $\geq 50\text{mg}/\text{m}^2$ , cyklofosfamid  $>1500\text{mg}/\text{m}^2$ , dakarbazyna i karmustyna  $>250\text{mg}/\text{m}^2$ , chlormetyna (mechloretamina) i streptozocyna oraz połączenie antybiotyku z grupy antracyklin z cyklofosfamidem. Wywołują one wymioty typu ostrego u ponad 90% chorych.*

*Potencjał emetogeny poszczególnych leków nie ma znaczenia w przypadku wysokodawkowej chemioterapii, która niezależnie od zastosowanego schematu, jest leczeniem o wysokim potencjale emetogenym. Większa predyspozycja do występowania nasilonych nudności i wymiotów oraz mniejsza skuteczność leczenia zapobiegawczego dotyczą chorych w młodszym wieku i kobiet oraz osób z wywiadem choroby lokomocyjnej.*

*Głównym celem terapii jest zapobieganie wystąpieniu nudności i wymiotów polegające na stosowaniu profilaktyki przed rozpoczęciem chemioterapii*



*i radioterapii. Przeciwdziałanie nudnościom i wymiotom typu późnego polega na dobrej kontroli nudności i wymiotów typu ostrego.*

*Całkowita eliminacja wymiotów typu ostrego (wczesnego) jest możliwa w około 80% przypadków, a późnego 40-50%. Szacuje się, że nudności można skutecznie kontrolować u >50% chorych.*

*Netupitant jest wybiórczym antagonistą działającym na ludzkie receptory neurokininowe 1 (NK1) substancji P. Palonosetron jest antagonistą receptora 5-HT<sub>3</sub> o wysokim powinowactwie do tego receptora i niewielkim powinowactwie lub braku powinowactwa o innych receptorów. Produkty lecznicze stosowane w chemioterapii wywołują nudności i wymioty poprzez stymulowanie uwalniania serotoniny z komórek enterochromafinowych w jelicie cienkim. Serotonina aktywuje następnie receptory 5-HT<sub>3</sub> znajdujące się w dośrodkowych włóknach nerwu błędnego, co powoduje odruch wymiotny. Wykazano, że opóźnione wystąpienie wymiotów jest związane z aktywacją przez substancję P receptorów neurokininy 1 (NK1) z grupy tachykinin (występujących powszechnie w ośrodkowym i obwodowym układzie nerwowym). W badaniach in vitro oraz in vivo wykazano, że netupitant hamuje odpowiedź zależną od substancji P. Wykazano, że netupitant przenika barierę krew-mózg.*

*Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego Akynzeo (netupitantum+ palonosetronum) jest wskazany do stosowania u dorosłych w zapobieganiu ostrym i opóźnionym nudnościom i wymiotom na skutek chemioterapii przeciwnowotworowej zawierającej cisplatynę o silnym działaniu wymiotnym; oraz w zapobieganiu ostrym i opóźnionym nudnościom i wymiotom na skutek chemioterapii przeciwnowotworowej o umiarkowanym działaniu wymiotnym.*

*Pierwsze wskazanie zostało zarejestrowane przez EMA na podstawie badania NETU-07-07 (i objęte refundacją w ramach chemioterapii od stycznia 2017 r). Natomiast rejestrację drugiego wskazania oparto na badaniu, w którym pacjenci otrzymywali chemioterapię złożoną z antracykliny i cyklofosfamidu (NETU-08-18 - publikacja Aapro 2014).*

*Odnaleziono 7 wytycznych klinicznych, różnych organizacji lub towarzystw naukowych odnoszących się do profilaktyki i leczenia nudności i wymiotów związanych z silnie emetogenną chemioterapią z zastosowaniem antybiotyku z grupy antracyklin i cyklofosfamidu u dorosłych pacjentów.*

*W profilaktyce i leczeniu nudności i wymiotów u pacjentów stosujących antybiotyki z grupy antracyklin i chemioterapię cyklofosfamidem, opisane wytyczne kliniczne rekomendują zastosowanie: schematów trójlekowych obejmujących połączenie leków z grup antagonistów receptora 5-HT<sub>3</sub>, antagonistów receptora NK1 oraz deksametazonu. Jak również schematów czterolekowych, w których do kombinacji leków z wymienionych powyżej grup farmaceutycznych, zaleca się dołączenie olanzapiny.*

*Schemat palonosetron + netupitant (NAPA) rekomendowany jest we wnioskowanym wskazaniu przez 3 międzynarodowe organizacje onkologiczne przy czym wytyczne wskazują, że w praktyce klinicznej NAPA stosowany jest w połączeniu z deksametazonem.*

*Pozostałe cztery organizacje i towarzystwa naukowe rekomendowały zastosowanie antagonistów receptora NK1 i 5-HT3 do których należy netupitant i palonosetron.*

*Odnaleziono 6 rekomendacji refundacyjnych, z czego większość to rekomendacje pozytywne z ograniczeniami. Ograniczenia dotyczą głównie populacji pacjentów stosujących chemioterapię o umiarkowanym działaniu wymiotnym, większość rekomendacji zaleca finansowanie tylko w profilaktyce nudności i wymiotów po zastosowaniu chemioterapii o silnym działaniu wymiotnym (2 rekomendacje wymieniają wprost schemat AC).*

#### *Dowody naukowe*

*W wyniku wyszukiwania odnaleziono 1 badanie RCT oceniające skuteczność i bezpieczeństwo NEPA (netupitant/palonosetron) u pacjentów mających otrzymać chemioterapię złożoną z antybiotyków z grupy antracyklin i cyklofosfamidu). Badanie opisano w dwóch publikacjach: Aapro 2014 – gdzie oceniano skuteczność i bezpieczeństwo NEPA po 1 cyklu oraz Aapro 2016 – faza przedłużona badania Aapro 2014; gdzie główne wyniki przedstawiono dla 4 cykli.*

*Zarówno po 1 cyklu chemioterapii jak i w kolejnych cyklach badania, NEPA wykazał istotną statystycznie wyższość nad samym palonostronem (PALO) w zakresie odpowiedzi całkowitej w opóźnionej fazie (25-120 h): odsetek CR w ramieniu NEPA wynosił 76,9%, a po stronie PALO 69,5%. W fazie przedłużonej badano tylko odpowiedź ogólną, która wyniosła 80,3 vs 66,7, 83,8 vs 70,3 oraz 83,8 vs 74,6 odpowiednio po 2, 3 i 4 cyklu ( $p < 0,0001$ ).*

*NEPA wykazała istotną statystycznie wyższość nad PALO w zakresie CR podczas ostrej i ogólnej fazy oraz większości pozostałych drugorzędowych punktów końcowych: brak wymiotów w poszczególnych fazach oraz brak znaczących nudności i całkowita ochrona w fazie opóźnionej i ogólnej. W kolejnych cyklach 2-4 rozszerzonej fazy badania NEPA także wykazał istotną statystycznie wyższość nad PALO w zakresie profilaktyki wymiotów i znaczących nudności.*

*Porównywane interwencje charakteryzowały się zbliżonym profilem bezpieczeństwa. Co najmniej jedno zdarzenie niepożądane wystąpiło u 76% badanych, którzy przyjęli NEPA oraz u 70% po stronie PALO po 1 cyklu. Nie odnotowano żadnych ciężkich zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem. Typ oraz odsetek najczęściej obserwowanych zdarzeń niepożądanych ( $\geq 5\%$ ) w fazie rozszerzonej badania był podobny*

w obu analizowanych ramionach. Do zdarzeń tych należały m.in. neutropenia, łysienie i leukopenia.

Trzeba podkreślić, że nie ma dowodów na przewagę antagonistów 5-HT<sub>3</sub> nad innymi lekami w zapobieganiu nudności i wymiotów typu późnego (wyjątkiem jest palonosetron charakteryzujący się dłuższym okresem półtrwania i większym powinowactwem do receptora 5-HT<sub>3</sub> w stosunku do innych antagonistów 5-HT<sub>3</sub>). W badaniach klinicznych wykazano, że oprócz zapobiegania nudnościom i wymiotom typu ostrego, zmniejsza on częstotliwość dolegliwości typu późnego. Dodatkowo odnaleziono publikację NICE 2017, która stanowiła podsumowanie dowodów naukowych („Evidence summary”) dotyczących produktu leczniczego Akynzeo (netupitant + palonosetron). W podsumowaniu dowodów naukowych dla produktu Akynzeo, NICE zaprezentowało m.in. wyniki badania RCT (Aapro 2014), które wykazały, że podczas pierwszego cyklu schematu chemioterapii cyklofosfamidem w połączeniu z antracykliną istotnie statystycznie więcej uczestników przyjmujących netupitant/palonosetron 300 mg/500 µg miało pełną odpowiedź (brak wymiotów i brak konieczności stosowania leków ratujących) oraz brak znaczących nudności w porównaniu z palonosetronem 500 µg (odpowiedź całkowita: odpowiednio 76,9% w porównaniu z 69,5% i brak znaczących nudności: 76,9% w porównaniu z 71,3%).

Według informacji zwartych w ChPL Akynzeo częstymi działaniami niepożądanymi zgłaszanymi podczas stosowania produktu były ból głowy (3,6%), zaparcia (3,0%) oraz zmęczenie (1,2%). Żadne z tych zdarzeń nie miało ciężkiego charakteru. Jednak należy monitorować stan pacjentów, u których w przeszłości występowały zaparcia lub objawy podostrej niedrożności jelit. Wynika to z faktu, że palonosetron może wydłużać czas pasażu jelitowego i opisywano przypadki hospitalizacji z powodu zaparć wywołanych zaleganiem mas kałowych, związane ze stosowaniem palonosetronu w dawce 0,75mg.

#### Problem ekonomiczny

Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 21 grudnia 2017 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych obecnie finansowane w profilaktyce przeciwwymiotnej ze środków publicznych w Polsce są następujące substancje czynne: aprepitantum, netupitantum +palonosetronum, ondansetronum, thiethylperazinum, dexamethasonum.

Ze względu na brak szczegółowych danych nie było możliwe oszacowanie populacji dorosłych pacjentów kwalifikujących się do profilaktyki przeciwwymiotnej po zastosowaniu silnie emetogennej chemioterapii z zastosowaniem antybiotyku z grupy antracyklin i cyklofosfamidu, których można leczyć preparatem Akynzeo.

*Opierając się na liczbie pacjentów, u których zrefundowano aprepitantum i jednocześnie zastosowano schemat doksorubicyna + cyklofosfamid, oszacowano minimalny wydatek płatnika publicznego (scenariusz minimalny). Natomiast wykorzystując całkowitą liczbę pacjentów, u których zrefundowano chemioterapię z zastosowaniem antybiotyku z grupy antracyklin w skojarzeniu z cyklofosfamidem, oszacowano maksymalny wydatek płatnika publicznego (scenariusz maksymalny).*

*Mając na uwadze brak możliwości precyzyjnego oszacowania populacji docelowej, podano przedział w jakim mogą mieścić się potencjalne wydatki płatnika publicznego związane z refundacją netupitantu i palonosetronu we wskazaniu „wczesne lub opóźnione wymioty u dorosłych związane z silnie emetogenną chemioterapią z zastosowaniem antybiotyku z grupy antracyklin i cyklofosfamidu - profilaktyka”. Wydatki te mieszczą się w przedziale od 230 270 zł do 4 649 922 zł.*

#### Główne argumenty decyzji

*Finansowanie netupitantu i palonosetronu w zapobieganiu wczesnym oraz późnym nudnościom i wymiotom występującym po zastosowaniu wysokoemetogenicznej chemioterapii zawierającej lek z grupy antracyklin i cyklofosfamid jest uzasadnione na podstawie wyników prospektywnych badań. Chemioterapia z udziałem antracyklin i cyklofosfamidu (np. schemat AC – doksorubicyna i cyklofosfamid – w raku piersi) jest obecnie zaliczana do kategorii wysokoemetogenicznych, co jest powszechnie przyjęte i umieszczone w wytycznych postępowania. Netupitant w skojarzeniu z palonosetronem jest stosowany doustnie w pojedynczej dawce (1. doba chemioterapii), co jest wartościowe (większa wygoda i mniejsze ryzyko nieprawidłowości w dawkowaniu); inny antagonist NK1 – aprepitant – wymaga stosowania przez 3 dni.*

*Prof. dr hab. n. med. Maciej Krzakowski opowiedział się za finansowaniem ocenianej technologii w analizowanym wskazaniu, zwracając uwagę na potwierdzoną skuteczność technologii w badaniu pierwotnym.*

#### **Przedmiot zlecenia**

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLA.4604.4.2018 IK:1195349 (PP) z dnia 5 stycznia 2018 r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie substancji czynnej netupitantum + palonosetronum, we wskazaniu pozarejestacyjnym: „Wczesne lub opóźnione wymioty u osób dorosłych związane z silnie emetogenną chemioterapią z zastosowaniem antybiotyku z grupy antracyklin i cyklofosfamidu - profilaktyka”.

**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 Rady Przejrzystości w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leków we wskazaniach innych niż ujęte w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr OT.4321.1.2018, **Netupitantum + Palonosetronum** we wskazaniu: „Wczesne lub opóźnione wymioty u osób dorosłych związane z silnie emetogenną chemioterapią z zastosowaniem antybiotyku z grupy antracyklin i cyklofosfamidu - profilaktyka”, data ukończenia: 19 stycznia 2018.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 22/2018 z dnia 29 stycznia 2018 roku

o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkoły podstawowej w Gminie Gierałtowiec na lata 2018-2022”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkoły podstawowej w Gminie Gierałtowiec na lata 2018-2022”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Oceniany projekt programu dotyczy istotnego problemu zdrowotnego, jakim jest nadwaga oraz otyłość wśród dzieci. Wnioskodawca prawidłowo zaznaczył, że zakres programu jest zgodny z celem Narodowego Programu Zdrowia (NPZ) na lata 2016-2020 („poprawa sposobu żywienia, stanu odżywienia społeczeństwa oraz aktywności fizycznej społeczeństwa”), a także priorytetami dla regionalnej polityki zdrowotnej województwa śląskiego („rozwój profilaktyki zdrowotnej, pierwotnej i wtórnej, diagnostyki i medycyny naprawczej, ukierunkowany na problemy zdrowotne związane z chorobami układu sercowo-naczyniowego oraz układu oddechowego” oraz „zmniejszenie dynamiki rozwoju chorób cywilizacyjnych, w szczególności chorób metabolicznych, cukrzycy, otyłości, alergii oraz rozwój kompleksowej opieki nad osobami z ww. schorzeniami”).*

*Przedmiotowy program proponuje kompleksowe działania. Jest to poparte rekomendacjami (m.in. WHO 2010), które mówią, że najlepszą formą profilaktyki otyłości są skoordynowane interwencje łączące zarówno problemy dietetyczne, jak i aktywność fizyczną. Zgodnie z zaleceniami (NICE 2006) programy dotyczące osiągnięcia i utrzymywania prawidłowej masy ciała powinny być interwencjami multikomponentowymi i łączyć strategie zmiany stylu życia, zwiększenia aktywności fizycznej, poprawy nawyków żywieniowych, jakości diety oraz redukcji przyjętej energii. Ponadto rekomendacje podkreślają konieczność udziału w programach z zakresu nadwagi i otyłości wielodyscyplinarnego zespołu specjalistów (CTFPHC 2015, EASO 2015, NICE 2015), co w omawianym programie zostało uwzględnione.*



Program skierowany jest do dzieci uczęszczających do klas III szkoły podstawowej (ok. 529 dzieci) oraz ich rodziców/opiekunów prawnych (ok. 1058 osób). Okres realizacji programu przewidziano na lata 2018-2020.

Wśród planowanych interwencji wymieniono: badanie przesiewowe całej populacji docelowej dzieci z terenu miasta w oparciu o badania antropometryczne; cykl 5 porad dietetycznych; pomiary antropometryczne w trakcie trwania programu (przeznaczone dla dzieci włączonych do drugiego etapu); pomiar uczestników objętych interwencją dietetyczną: pół roku po zakończeniu programu oraz rok po zakończeniu; edukację żywieniową skierowaną do dzieci oraz ich rodziców/opiekunów prawnych. Realizatorem programu będzie podmiot leczniczy posiadający podpisaną umowę z NFZ, wyłoniony w drodze konkursu ofert, co pozostaje w zgodzie z zapisami ustawowymi

Planowany całkowity budżet realizacji programu oszacowano na 28 349 zł. Program ma być finansowany z budżetu gminy Gierałtowiec. Ponadto z treści projektu programu wynika, że wnioskodawca zakłada jego współfinansowanie z NFZ.

Projekt posiada uchybienia wymagające poprawienia zgodnie z opracowaniem analityków AOTMiT:

- niektóre dane epidemiologiczne nie są aktualne,
- cele główne i szczegółowe nie w pełni zgodne z zasadą S.M.A.R.T.,
- niektóre mierniki efektywności nie odnoszą się bezpośrednio do celów,
- różnica w liczebności populacji docelowej podaną przez wnioskodawcę, a pozyskaną przez analityka-122 osoby,
- brak liczebności grup uczestniczących w szkoleniach,
- projekt programu zakłada dofinansowanie z NFZ natomiast zaplanowane interwencje (poza badaniem antropometrycznym) nie znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych.

#### **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.441.366.2017 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkoły podstawowej w Gminie Gierałtowiec na lata 2018-2022” realizowany przez: Gminę Gierałtowiec, Warszawa, styczeń 2018 oraz Aneksu: „Edukacja w zakresie zdrowego odżywiania oraz profilaktyka i leczenie nadwagi i otyłości – wspólne podstawy oceny”, z kwietnia 2016.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 23/2018 z dnia 29 stycznia 2018 roku o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania raka piersi”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania raka piersi”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Oceniany projekt programu dotyczy profilaktyki raka piersi. Wnioskodawca w sposób szczegółowy przedstawia zagadnienia związane z ww. problemem. Problem zdrowotny wskazany w projekcie wpisuje się w priorytet zawarty w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. ws. priorytetów zdrowotnych (Dz.U.2009 nr 137 poz.1126), mianowicie: „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych”. Program zaplanowany został na lata 2018-2020. Warto podkreślić, że dla osiągnięcia trwałości efektów zdrowotnych w programach polityki zdrowotnej należy rozpatrywać przede wszystkim działania długofalowe. Populację docelową ocenianego projektu programu (kwalifikującą się do przeprowadzenia badania mammograficznego) stanowią kobiety w przedziale wiekowym 45-49 lat z terenu powiatu żarskiego (zameldowane na pobyt stały lub czasowy powyżej roku) corocznie 235 kobiet. W ramach przesłanego projektu programu planuje się przeprowadzenie następujących interwencji: kampania informacyjno-edukacyjna, spotkania edukacyjne, mammografia, USG piersi u kobiet w przypadku decyzji lekarza. Cel przedstawiony przez wnioskodawcę został natomiast przygotowany na dużym poziomie ogólności. Należy zaznaczyć, że dobrze sformułowany cel powinien być zgodny z koncepcją S.M.A.R.T., wg której powinien on być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie. Natomiast cele zaproponowane przez wnioskodawcę nie są w pełni zgodne z ww. koncepcją. Ponadto ważnym jest, aby cele szczegółowe nie przedstawiały działań możliwych do podjęcia, a ich rezultaty. W treści projektu przedstawiono również 7 mierników efektywności. Należy zaznaczyć, że wymienione wskaźniki w większości nie odpowiadają wyznaczonym celom projektu programu. W treści projektu opisano jednak warunki realizacji programu dotyczące personelu,*



wyposażenia i warunków lokalowych. Warto podkreślić, że skuteczna edukacja populacji docelowej zapewni trwałość planowanych efektów zdrowotnych. Badania realizowane będą w podmiotach leczniczych w godzinach rannych i popołudniowych. Natomiast rejestracja pacjentek będzie się odbywała osobiście lub telefonicznie w godzinach wyznaczonych przez realizatorów programu. Termin badania będzie dostosowany do pacjentki. Zdecydowana większość odnalezionych zaleceń odnosi się pozytywnie do wykonywania mammografii u kobiet w wieku 50-74 lata. Niektóre wytyczne dopuszczają jednak prowadzenie ww. badań także u kobiet między 40 a 49 r.ż. (a więc w przedziale wiekowym wskazanym przez wnioskodawcę). Z treści projektu wynika, że w każdym roku realizacji programu badaniem USG piersi zostanie objęte ok. 60 kobiet (25% badanej populacji). Wnioskodawca nie sprecyzował na jakiej podstawie przyjął powyższe założenie. Ponadto pacjentki z nieprawidłowymi wynikami będą kierowane do dalszego postępowania diagnostycznego lub leczenia w ramach świadczeń gwarantowanych opłacanych ze środków NFZ. W ramach programu zaplanowano również przeprowadzenie edukacji na temat raka piersi. Organizowane będą spotkania, podczas których poruszane będą zagadnienia odnoszące się m.in. do profilaktyki raka piersi oraz czynników ryzyka zachorowania na tę chorobę. Ponadto prowadzone będą warsztaty samobadania piersi. Szczegółowa informacja o planowanych terminach i godzinach spotkań edukacyjnych zostanie rozpropagowana przez lokalne środki masowego przekazu oraz na bieżąco zamieszczana będzie na stronie internetowej powiatu żarskiego. Planowana do przeprowadzenia w ramach programu edukacja zdrowotna jest zgodna z zaleceniami polskich i zagranicznych towarzystw naukowych. Wnioskodawca nie precyzuje jednak zakresu tematycznego edukacji, a także nie wskazuje osoby odpowiedzialnej za prowadzenie ww. działań. W projekcie programu przedstawiono koszty jednostkowe, koszty całkowite, źródła finansowania, a także argumenty przemawiające za tym, że wykorzystanie dostępnych zasobów jest optymalne.

#### **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.441.368.2017 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania raka piersi” realizowany przez: Powiat Żarski, Warszawa, styczeń 2018 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki raka piersi – wspólne podstawy oceny”, z czerwca 2015.