



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Protokół nr 6/2018**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 5 lutego 2018 roku**  
**w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT)**

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

1. Marzanna Bieńkowska
2. Lucjusz Jakubowski
3. Agata Maciejczyk
4. Konrad Maruszczuk
5. Aleksandra Michowicz
6. Tomasz Pasierski – prowadził posiedzenie
7. Jerzy Stelmachów
8. Zbigniew Szawarski
9. Andrzej Śliwczyński
10. Marek Wroński

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku DYSTARDIS (tetrabenazinum) we wskazaniu: leczenie umiarkowanej lub ciężkiej dyskinezy późnej u dorosłych.
5. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku JAKAVI (ruksolitynib) we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna Ph- (ICD-10: C91.0).
6. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leku XALKORI (kryzotynib) we wskazaniu: chłoniak anaplastyczny z dużych komórek ALK-dodatni (ICD-10: C84).
7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego współfinansowanego przez UE w ramach EFS: „Program prewencji niewydolności serca u pacjentów onkologicznych” (woj. wielkopolskie).
8. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego współfinansowanego przez UE w ramach EFS: „Rozszerzenie dostępności technologicznie wspomaganey diagnostyki funkcjonalnej i rehabilitacji dzieci i młodych dorosłych z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie Województwa Wielkopolskiego”.
9. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
  - 1) „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego in vitro dla mieszkańców miasta Włocławek w latach 2017-2019”,



- 2) „Program wsparcia prokreacji dla mieszkańców Chojnic na lata 2017-2020”,
  - 3) „Program leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego - in vitro dla mieszkańców miasta Kalisza na lata 2017-2019”,
  - 4) „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego - in vitro dla mieszkańców Grudziądza w latach 2018-2019”,
  - 5) „Program rehabilitacji mieszkańców Miasta i Gminy Osieczna na lata 2018-2020”,
  - 6) „Program profilaktycznych szczepień przeciw grypie dla mieszkańców powiatu żuromińskiego”,
  - 7) „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy, nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych w Gminie Mirzec”.
10. Zamknięcie posiedzenia.

**Ad 1.** Posiedzenie o godzinie 10:31 otworzył Przewodniczący Rady Tomasz Pasierski.

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

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

**Ad 4.** Analityk AOTMiT, na podstawie prezentacji, przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej nr: OT.4330.4.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Dystardis (tetrabenazyna) we wskazaniu: leczenie umiarkowanej lub ciężkiej dyskinezy późnej u dorosłych chorych”.

Następnie, swoją propozycję stanowiska przedstawił Lucjusz Jakubowski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu stanowiska Rady. Zwrócił uwagę, że brakuje dowodów naukowych na lepszą skuteczność tetrabenazyny w porównaniu z terapią BSC (ang. Best supportive care, najlepsza terapia wspomagająca), tj. głównie amantadyną i klonazepamem. Dostępne dowody, opublikowane już jakiś czas temu, są niskiej jakości. Zaznaczył, że stosowanie amantadyny, klonazepamu i tetrabenazyny powinno być uzależnione od sytuacji klinicznej pacjenta. Amantadynę, pomimo zalecanego krótkotrwałego okresu stosowania, można łączyć z neuroleptykiem, natomiast jeśli wystąpią objawy uboczne, będące skutkiem stosowania neuroleptyków, powinno się lek odstawić i włączyć leczenie wspomagające, zapobiegające objawom dyskinezy późnej (niezależnie od efektywności leczenia). Duży jest bowiem odsetek pacjentów, u których, nawet przy wieloletnim leczeniu, objawy mogą trwać przez ponad 5 lat. Zauważył, że pojawienie się wskazania rejestracyjnego dla tetrabenazyny, z uwzględnieniem dyskinezy późnej, dało możliwość wystąpienia z wnioskiem o refundację. Lek o porównywalnej skuteczności do amantadyny i klonazepamu będzie zatem refundowany, podczas gdy 2 ww. preparaty, dla których nie istnieje takie wskazanie rejestracyjne, podlegają 100% odpłatności ze strony pacjenta. Refundacja tetrabenazyny oznacza zysk z perspektywy pacjentów, ale stratę dla płatnika publicznego. Co więcej, istnieje ryzyko, że refundowanie tetrabenazyny przyczyni się do tego, iż będzie ona stosowana, niezależnie od sytuacji klinicznej pacjenta. Biorąc pod uwagę powyższe, zaproponował negatywną rekomendację. Podkreślił, że terapia, zgodnie z rekomendacjami, powinna być zindywidualizowana i powinna uwzględniać możliwość stosowania co najmniej 3 ww. preparatów. Ograniczenie stosowania do tetrabenazyny może oznaczać korzyści finansowe dla pacjenta, jednakże nie musi oznaczać korzyści klinicznych, ponieważ nie będzie ona skuteczna u wszystkich pacjentów.

Tomasz Pasierski zauważył, że opiniowana technologia nie stanowi rewelacji, co potwierdził Lucjusz Jakubowski.

Następnie, Rada dyskutowała nad kwestią ewentualnej możliwości złożenia wniosku o stosowanie amantadyny i klonazepamu w trybie off-label.

W dalszej kolejności, Lucjusz Jakubowski podkreślił, że propozycja negatywnego stanowiska wynika z braku dowodów na wyższą skuteczność tetrabenazyny w stosunku do leków z grupy BSC. Zaznaczył jednak, że nie było badań dobrej jakości, w których preparaty te byłyby bezpośrednio porównywane – dostępne prace zawierały głównie porównanie tetrabenazyny z placebo.

Tomasz Pasierski wskazał, że lek ma słabo udowodnioną skuteczność, natomiast jego refundacja wpłynie na znaczny wzrost wydatków po stronie NFZ. Wobec powyższego, przychylił się do propozycji stanowiska negatywnego.

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

**Ad 5.** Na wstępie Tomasz Pasierski zauważył, że oceniana technologia nie jest skuteczna.

Swoją propozycję opinii przedstawił Marek Wroński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponował opinię negatywną i odczytał jej projekt. Przedstawił krótką charakterystykę ocenianej technologii medycznej. Wskazał, że ocena zasadności finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL) dotyczy niezarejestrowanego wskazania, tj. ostra białaczka limfoblastyczna Ph-. Następnie, odniósł się do kwestii braku dowodów naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania leku Jakavi oraz do występujących silnych i groźnych działań ubocznych. Poinformował, że w omawianym przypadku, w którym wskazanie w ramach trybu RDTL nie jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym, relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania nie została oceniona przez EMA (ang. European Medicines Agency, Europejska Agencja Leków).

Tomasz Pasierski stwierdził, że w omawianej populacji bardziej wartościowym lekiem może okazać się tisagenlecleucel.

Marek Wroński nawiązał także do kwestii potencjalnych kosztów. Zwrócił uwagę, że stosowanie ruksolitynibu nie jest efektywne kosztowo w omawianym wskazaniu, a wysoki koszt leczenia nie ma aktualnie uzasadnienia wobec braku jakiegokolwiek udokumentowanego wpływu stosowania leku na przeżycia całkowite chorych.

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

**Ad 6.** Swoją propozycję opinii przedstawił Andrzej Śliwczyński, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Wskazał na problemy z oszacowaniem populacji docelowej oraz na brak dowodów naukowych dobrej jakości na skuteczność stosowania leku w omawianym wskazaniu. Badania są dopiero prowadzone, w związku z czym aktualna pozytywna opinia byłaby przedwczesna. Zauważył, że nie istnieje alternatywna technologia lekowa (zalecane jest stosowanie schematów chemioterapii), co wraz z niemożnością oszacowania populacji nie pozwala określić konkurencyjności cenowej.

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

**Ad 7.** Swoją propozycję opinii przedstawił Tomasz Pasierski. Poinformował, że oceniany projekt zakłada szkolenie w zakresie problemów kardio-onkologicznych. Wskazał na istnienie leków stosowanych w chemioterapii, które w sposób toksyczny działają na serce – są to w głównej mierze

antracykliny stosowane w leczeniu raka piersi oraz w chłoniakach. Powołując się na własne doświadczenie wskazał, że praktyka lekarska zakłada przeprowadzenie konsultacji kardiologicznej przed podaniem antracyklin u pacjenta, a w przypadku występowania czynników ryzyka, związanych z uszkodzeniem serca, onkolog ma możliwość wdrożenia innego leczenia lub podania mniejszej dawki chemii. Podkreślił, że w każdym przypadku decyzja o wyborze leczenia jest bardzo trudna, ponieważ niesie za sobą ryzyko śmierci lub powikłań. W jego opinii, nie jest możliwe objęcie tych problemów poprzez program samorządowy. Projekt zakłada podstawowe przeszkolenie lekarzy nieposiadających specjalizacji z kardiologii w zakresie badania ECHO serca, co stoi w sprzeczności z wytycznymi.

Andrzej Śliwczyński podkreślił, że lekarze rodzinni nie leczą pacjentów kardiologicznych.

Tomasz Pasierski zwrócił uwagę, że projekt ma na celu wykształcenie nowej kadry, jednakże, według niego, w każdym przypadku i tak niezbędna będzie konsultacja kardiologiczno-onkologiczna. Biorąc pod uwagę powyższe, zaproponował opinię negatywną.

Jerzy Stelmachów uznał, że należałoby ustalić, czy ww. konieczność konsultacji kardiologicznej przed podaniem chemioterapii obowiązuje także na terenie woj. wielkopolskiego.

Tomasz Pasierski przyznał, że prawdopodobnie nie jest to obligatoryjne działanie, jednakże trudno sobie wyobrazić zakwalifikowanie pacjenta bez konsultacji z kardiologiem.

Andrzej Śliwczyński wyraził wątpliwość w zakresie zasadności wykonywania ECHO serca przez lekarza onkologa.

Tomasz Pasierski przyznał, że nie ma to sensu. Ponadto, trudno ustalić, jakie są cele programu i w jaki sposób poprzez zaplanowane działania można zapobiec niewydolności serca. Podkreślił, że poza modyfikacją w zakresie chemii (ew. rezygnacją z chemii) nie ma leczenia kardiologicznego, pozwalającego zapobiec niewydolności serca poprzez podanie leków. U niektórych chorych wystąpią bowiem powikłania, u innych nie, a co za tym idzie, nie można określić mierzalnego efektu działań w tym zakresie. Ponadto, nie ma jednoznacznych wytycznych, określających schematy profilaktyki do wdrożenia. W jego opinii, zaproponowana tematyka jest nieodpowiednia dla programu samorządowego. Dodał także, że niezasadne jest adresowanie programu do wszystkich chorych onkologicznych – powinno się ograniczyć populację do chorych leczonych antracyklinami. Następnie, odczytał swój projekt opinii.

W dalszej części posiedzenia, analityk AOTMiT, odpowiedział na pytania i wątpliwości Rady.

Tomasz Pasierski wskazał, że nie ma dowodów na to, że program skutecznie wpłynie na zahamowanie niewydolności serca u pacjentów z wnioskowanej populacji. W związku z powyższym, poddał w wątpliwość możliwość zastosowania w tym przypadku reguły S.M.A.R.T.

Andrzej Śliwczyńska wskazał, że jedynym sensem programu jest większa dostępność pacjentów onkologicznych do kardiologa, co można uznać za cel z punktu widzenia zdrowia publicznego.

Tomasz Pasierski uznał, że nie można tego poczytywać za cel. Jest to raczej środek, który ma służyć osiągnięciu celu. Przypomniał, że wytyczne wskazują na zasadność konsultacji kardiologicznej, jednakże nie mówią, co z niej wynika, ponieważ nie da się tego określić. W jego opinii, miernikiem efektywności programu nie może być wizyta lekarska.

Zbigniew Szawarski stwierdził, że u podstaw opiniowania programów samorządowych zawsze leży to, czy przyniosą one więcej korzyści, czy spowodują jedynie zmarnotrawienie środków na nie przeznaczonych.

Aleksandra Michowicz stwierdziła, że program został bardzo dobrze przygotowany, zakłada różne ścieżki postępowania, dokładnie określa kwestie dotyczące szkoleń. Przypomniała, że wcześniejsza

wersja programu została oceniona pozytywnie, a wszystkie uwagi złożone do niego przez Radę zostały uwzględnione w obecnej wersji. Nie ma zatem podstaw do negatywnego zaopiniowania ocenianego projektu.

Lucjusz Jakubowski zwrócił uwagę, że jest to program lokalny, skierowany do określonej społeczności. Dotyczy ważnego problemu zdrowotnego. Uznanie projektu za zasadny świadczy o uznaniu potrzeby wdrożenia zmian w algorytmach postępowania w systemie ogólnopolskim. W projekcie brakuje precyzyjnego opisu sytuacji obecnej, w tym stanu posiadania i stanu aktualnie gwarantowanych świadczeń opieki zdrowotnej, a także konkretnej informacji, jakie elementy systemu wnioskodawca chce uzupełnić lub poprawić. Poparł propozycję opinii pozytywnej, głównie z uwagi na uwzględnienie poprzednio postulowanych uwag Rady.

Po ostatecznym sformułowaniu treści uchwały, prowadzący zarządził głosowanie. Rada 8 głosami za projektem opinii Rady, przy 2 głosach przeciw projektowi, przyjęła uchwałę, będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad 8.** Swoją propozycję opinii przedstawił Konrad Maruszczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Program dotyczy populacji dzieci od 5 r.ż. i zawiera kilka interwencji, z których główną stanowi cykl terapeutyczny z zastosowaniem zrobotyzowanych systemów do rehabilitacji chodu (zrobotyzowane ortezy, systemy z odciążeniem dynamicznym, egzoskielety). Zaplanowano również zajęcia na pływalni, zajęcia pedagogiczno-psychologiczne oraz działania edukacyjne, skierowane zarówno do rodziców, jak i personelu medycznego. Ponadto, projekt zakłada przeprowadzenie działań diagnostycznych z wykorzystaniem kwestionariuszy wypełnianych przed rozpoczęciem cyklu rehabilitacji oraz po jego zakończeniu. Podkreślił, że zaproponowane interwencje uzupełniają świadczenia gwarantowane, a problem zdrowotny wpisuje się w priorytety zdrowotne określone przez Ministra Zdrowia. W programie przedstawiono precyzyjne kryteria włączenia i wyłączenia, a mierniki efektywności odnoszą się do wszystkich zaproponowanych celów. Uwagi do projektu dotyczą przede wszystkim sposobów sformułowania celów, czasu trwania programu, kosztów niektórych interwencji oraz stosowanych testów sprawnościowych i kwestionariuszy. Wskazał także na pewną niezgodność kryteriów kwalifikacji z istniejącymi rekomendacjami. Zasadne wydaje się przeanalizowanie kwestii potencjalnego dublowania kosztów interwencji zaplanowanych w ramach 3 odrębnych etapów poprzedzających uczestnictwo w sesjach terapeutycznych. Zaproponował opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

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

**Ad 9. 1)** Swoją propozycję opinii przedstawił Zbigniew Szawarski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Stwierdził, że program ma standardową strukturę. Następnie, odniósł się do elementów programu wymagających korekty. Wskazał, że przedstawione cele wymagają przeformułowania zgodnie z regułą S.M.A.R.T., niejasna jest data rozpoczęcia programu, wskazane byłoby zbudowanie układu bardziej precyzyjnych kryteriów kompleksowego monitorowania i ewaluacji programu. Zaproponował opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Lucjusz Jakubowski zadał pytanie o zasadność opiniowania projektu w chwili obecnej, skoro został on zaplanowany do realizacji od 1 stycznia 2017 r.

Zbigniew Szawarski odpowiedział, że projekt wpłynął do zaopiniowania w grudniu 2017 r., nie mógł zatem być wcześniej rozpatrywany. Następnie, Rada przeprowadziła krótką dyskusję w tej sprawie.

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

**2)** Swoją propozycję opinii przedstawił Zbigniew Szawarski, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponował opinię pozytywną, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT. Wskazał, że program jest bardzo podobny do omawianego powyżej i odnoszą się do niego te same zastrzeżenia. Dodatkowo, niejasne jest, czy w trakcie 3 lat trwania program zakłada się leczenie tylko 26 par, czy też przewiduje się leczenie 26 par w każdym roku trwania programu. Nie da się tego ustalić na podstawie przedstawionego w projekcie budżetu.

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

**3)** Swoją propozycję opinii przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Zaproponowała opinię pozytywną. Zwróciła uwagę, że zaplanowano objęcie leczeniem 70 par, natomiast kwotę dofinansowania ustalono na poziom do 5 tys. zł.

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

**4)** Swoją propozycję opinii przedstawiła Marzanna Bieńkowska, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Zwróciła uwagę, że program jest bardzo podobny do powyżej omawianego. W tym projekcie zaplanowano objęcie leczeniem 60 par (30 par rocznie). Zaproponowała opinię pozytywną.

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

**5)** Swoją propozycję opinii przedstawiła Agata Maciejczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Program jest 3-letni i zakłada objęcie interwencjami wszystkich osób zameldowanych w gminie Osieczna, u których występują dolegliwości narządów ruchu. Kwalifikacja odbędzie się podczas badania lekarskiego. Każda zakwalifikowana osoba zostanie skierowana na 10-dniowy cykl, obejmujący 3 procedury rehabilitacyjne. W ramach programu przewidziano możliwość kontynuacji świadczeń, które pacjent otrzymał wcześniej w ramach świadczeń gwarantowanych. Populację docelową oszacowano na 200-250 osób. Projekt ma być w całości finansowany z budżetu gminy. Realizator zostanie wyłoniony w drodze konkursu. Zaplanowano także przeprowadzenie kampanii informacyjnej. Zwróciła uwagę na elementy wymagające poprawy, wśród których wymieniła m. in. konieczność opisanie planowanych działań oraz ich harmonogramu, a także prawidłowego sformułowania celów i mierników efektywności. Wyjaśnienia wymaga także rozbieżność zapisów w zakresie rodzaju, liczby i czasu trwania procedur rehabilitacyjnych dla danego pacjenta. Następnie, odniosła się do zaplanowanych kosztów całkowitych i jednostkowych. Mimo sporej liczby niedociągnięć projektu, zaproponowała opinię pozytywną, głównie z uwagi na to, że program zwiększa dostęp do świadczeń rehabilitacyjnych.

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

**6)** Swoją propozycję opinii przedstawiła Agata Maciejczyk, członek Rady wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie do przygotowania projektu opinii Rady. Podkreśliła, że program został przygotowany bardzo dobrze. Zakłada wyłonienie realizatora w ramach konkursu. Zaplanowane interwencje obejmować mają szczepienia przeciwko grypie oraz akcję edukacyjną. Liczbę uczestników oszacowano na 10% populacji, czyli ponad 1000 osób (w jej opinii założenie to jest wystarczające, ponieważ w ubiegłych latach zaszczepionych zostało 2% populacji). Dodała, że populacja została zaplanowana prawidłowo, a szczepienia poprzedzone zostaną badaniem lekarskim. Niewielkie uwagi dotyczą głównie konieczności przeformułowania celów zgodnie z regułą S.M.A.R.T. oraz wskazania form prowadzenia akcji edukacyjnej.

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

**7)** 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. Wskazała, że program został dobrze przygotowany. Dobór interwencji oraz rekomendacje w zakresie wykrywania nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych nie budzą wątpliwości. Przewidziano możliwość skorzystania z pomocy pielęgniarki środowiskowej/szkolnej/POZ, przy czym nie powieła to świadczeń gwarantowanych. Pewne zastrzeżenia odnoszą się do bloku interwencji dotyczących wykrywania wad postawy, ponieważ dostępne w tym zakresie rekomendacje nie są jednoznaczne. Podkreśliła jednak, że w opiniowanym projekcie dużą uwagę skupiono na doborze specyficznych interwencji, których skuteczność nie budzi wątpliwości. Ponadto, istotną rolę odgrywa również kwalifikacja lekarska. Projekt zawiera cel główny i cele szczegółowe, jego głównym założeniem jest poprawa stanu zdrowia dzieci. Podkreśliła, że program jest wieloletni. Następnie, odniosła się do zaplanowanych interwencji. Niewielkie uwagi dotyczą m. in. oszacowania wielkości populacji docelowej w pierwszym roku trwania programu, niepełnej zgodności celów z zasadą S.M.A.R.T. oraz okoliczności wydawania skierowań na badania RTG lub rehabilitację leczniczą.

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

**Ad 8.** Prowadzący posiedzenie Tomasz Pasierski zakończył posiedzenie Rady o godzinie 12:33.

Protokół sporządził Tomasz Pasierski  
Przewodniczący Rady Przejrzystości

.....  
(data i podpis)



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 17/2018 z dnia 5 lutego 2018 roku  
w sprawie oceny leku DYSTARDIS (tetrabenazinum) we wskazaniu:  
leczenie umiarkowanej lub ciężkiej dyskinezy późnej  
u dorosłych chorych

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Dystardis (tetrabenazyna), 25 mg, tabletki, 112 tabl., kod EAN: 5909991307271, we wskazaniu: leczenie umiarkowanej lub ciężkiej dyskinezy późnej u dorosłych chorych, jako leku dostępnego w aptece na receptę i wydawanie go za odpłatnością ryczałtową.*

### Uzasadnienie

#### Problem zdrowotny

*Dyskineza późna (ang. tardive dyskinesia; ICD-10 G24.01.) to zespół mimowolnych, nieregularnych, hiperkinetycznych ruchów w obrębie twarzy i ust oraz nieskoordynowanych ruchów w obrębie tułowia i kończyn. Za jedną z cięższych postaci, niekiedy zagrażającą życiu, uważana jest dyskineza mięśni oddechowych. Objawy dyskinezy późnej są częstym efektem ubocznym przewlekłego leczenia neuroleptykami i mogą utrzymywać się nawet wiele lat od chwili odstawienia leku z tej grupy. Znacząco upośledzają jakość życia chorych. Jako powikłania polekowe zaburzenia tego typu mogą być m. in. skutkiem hipersensytyzacji receptorów dopaminergicznych lub nadmiernej aktywności glutaminergicznej korowo-prążkowiowych dróg projekcyjnych prowadzących do rdzenia.*

*Wśród korzystnych czynników prognostycznych w przypadkach wystąpienia objawów dyskinezy późnej wymienia się młodszy wiek pacjenta, niższe dawki leków przeciwpsychotycznych stosowane w leczeniu przed wystąpieniem objawów, krótszy czas stosowania leczenia i krótszy czas trwania choroby zasadniczej. Do czynników ryzyka zwiększających prawdopodobieństwo wystąpienia objawów dyskinezy zalicza się podeszły wiek, płeć żeńską, rozpoznanie zaburzeń afektywnych, organiczne uszkodzenie ośrodkowego układu nerwowego, wczesne objawy pozapiramidowe, występowanie dyskinez późnych w rodzinie pacjenta, palenie papierosów, cukrzyca. Ryzyko to może być również zależne od charakteru terapii choroby zasadniczej (rodzaj leku,*





wielkość dawek, czas leczenia neuroleptykami, ich wysokie powinowactwo do receptorów dopaminergicznych). Niezależnie od bardzo szerokiej rozpiętości danych można przyjąć, że dyskineza późna, z uwzględnieniem różnych stopni jej nasilenia występuje u 20 – 35% pacjentów leczonych neuroleptykami. W ramach najlepszego leczenia wspomagającego (BSC) w przypadkach dyskinezy późnej w dostępnych rekomendacjach oraz danych literaturowych zaleca się stosowanie przede wszystkim preparatów zawierających klonazepam lub amantadynę, a także kwasu walproinowego, leków antycholinergicznym oraz leków blokujących kanały wapniowe. W części rekomendacji wymienia się również tetrabenazynę (TBZ).

### Dowody naukowe

Rekomendacja American Academy of Neurology do stosowania TBZ w leczeniu dyskinezy późnej ma taką samą siłę, jak stosowanie amantadyny i słabszą niż leczenie klonazepamem. W oparciu o siłę zaleceń rekomendacji klinicznych, TBZ również można zaliczyć do BSC w leczeniu dyskinezy późnej.

Na podstawie porównania TBZ vs BSC z uwzględnieniem stosowania klonazepamu i amantadyny, nie wykazano istotnych statystycznie różnic w częstości odpowiedzi na leczenie pomiędzy pacjentami stosującymi wyłącznie TBZ lub BSC. Na podstawie badań eksperymentalnych typu cross-over jedynie dla trzech punktów końcowych możliwe było przeprowadzenie porównania TBZ vs PLC. W grupie TBZ zaobserwowano istotne statystycznie zmniejszenie częstości występowania ustnych ruchów dyskinetycznych na minutę w porównaniu z PLC oraz istotnie statystycznie większą poprawę w grupie TBZ niż w grupie PLC w zakresie oceny ruchów mimowolnych. Nie wykazano istotnych statystycznie różnic pomiędzy TBZ i PLC w średnim wyniku uzyskanym w skali NOSIE-30 (służącej do oceny zachowania pacjentów ze schorzeniami psychiatrycznymi na podstawie 72-godzinnej obserwacji pacjenta).

Wyniki pojedynczych ramion TBZ w badaniach eksperymentalnych typu cross-over wskazują, że u wszystkich pacjentów stosujących TBZ wystąpiła co najmniej łagodna lub niewielka poprawa odpowiedzi na leczenie.

W badaniach jednoramiennych oceniano odpowiedź na leczenie w skali AIMS. W badaniu Kertesz 2015 nie zaobserwowano istotnych statystycznie różnic pomiędzy wynikiem początkowym a wynikiem końcowym uzyskanym we wspomnianej skali. Z kolei w badaniu Ondo 1999 zaobserwowano istotną statystycznie poprawę wyniku końcowego w stosunku do wyniku początkowego w zakresie oceny ruchów mimowolnych oraz w zakresie oceny ogólnej w skali AIMS. Różnice w odpowiedzi na leczenie w obu badaniach mogą wynikać z czasu obserwacji – w badaniu z dłuższym czasem obserwacji zaobserwowano istotną statystycznie różnicę w odpowiedzi. Nie zaobserwowano istotnych

statystycznie różnic pomiędzy wynikiem wyjściowym stopnia nasilenia objawów drżenia późnego w skali oceny drżenia, a wynikiem na koniec badania.

Badania skuteczności praktycznej wskazują na skuteczność TBZ – u większości pacjentów obserwowano różnego stopnia poprawę odpowiedzi na leczenie.

Ograniczeniem analizy są niewielkie liczebności populacji we włączonych badaniach (zwłaszcza dla porównania TBZ vs BSC) co ogranicza wnioskowanie o skuteczności TBZ w porównaniu do komparatorów. Dodatkowo większość badań pochodzi z lat 70/80 XX wieku i została oceniona jako badania niskiej jakości. Z uwzględnionych w AKL badań w ciągu ostatnich 5 lat opublikowano jedynie dwa, w tym żadne typu RCT. Ograniczenie stanowi również sposób przedstawienia wyników w części badań, uniemożliwiający weryfikację obliczeń. Spośród działań niepożądanych w leczeniu z zastosowaniem TBZ raportowano parkinsonizm, akatyzię, senność, splątanie i wysypkę. W żadnym z badań włączonych do analizy bezpieczeństwa nie odnotowano zgonów. Ograniczeniami analizy bezpieczeństwa jest przedstawienie wyników wyłącznie dla TBZ oraz brak porównania bezpieczeństwa stosowania TBZ z lekami stosowanymi w ramach BSC.

#### Problem ekonomiczny

Podjęcie decyzji o refundacji dla preparatu Dystardis z odpłatnością ryczałtową ze strony pacjenta spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego zarówno w wariancie z RSS jak i bez RSS. Koszt 30-dniowej terapii z perspektywy płatnika publicznego będzie znacznie większy niż preparatami klonazepamu i amantadyny. Z perspektywy pacjenta 30-dniowa terapia refundowaną TBZ jest tańsza.

Główne ograniczenie analizy ekonomicznej stanowi duża rozbieżność pomiędzy wielkością populacji określonej w oparciu o opinię ekspercką, a populacją przewidywaną w oparciu o dane epidemiologiczne.

Rada zwraca również uwagę na fakt, że ograniczone w chwili obecnej wydatki płatnika publicznego na leczenie dyskinezy późnej są skutkiem braku refundacji preparatów stosowanych dotychczas w ramach BSC, ze względu na brak wnioskowanego wskazania wśród wskazań rejestracyjnych dla tych technologii. Jednocześnie refundacja TBZ może zachęcać do jej stosowania, niezależnie od korzyści klinicznych w konkretnych przypadkach klinicznych. Jest to zatem problem systemowy.

#### Główne argumenty decyzji

Korzyści kliniczne wynikające ze stosowania TBZ nie są jednoznaczne w porównaniu z BSC, a badania w tym zakresie są niskiej jakości. Nie uzasadniają wzrostu wydatków płatnika publicznego. Podkreślenia wymaga fakt, że spośród 31 państw UE i EFTA Dystardis (tetrabenazyna) refundowany jest tylko w dwóch. Korzyści dla pacjenta mogą wynikać jedynie z faktu

*uwzględnienia dyskinezy późnej we wskazaniach rejestracyjnych dla TBZ i ewentualnej refundacji kosztów jej zakupu, a nie z dowodów potwierdzających wyższą jej skuteczność w porównaniu z lekami stosowanymi w ramach BSC.*

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4330.4.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Dystardis (tetrabenazyna) we wskazaniu: Leczenie umiarkowanej lub ciężkiej dyskinezy późnej u dorosłych chorych”. Data ukończenia: 25 stycznia 2018.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 24/2018 z dnia 5 lutego 2018 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych  
leku JAKAVI (ruksolitynib) we wskazaniu: ostra białaczka  
limfoblastyczna Ph- (ICD-10: C91.0)

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Jakavi (ruksolitynib), 5 mg, 56 tabl., we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna Ph- (ICD-10: C91.0).*

#### Uzasadnienie

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

*Ostre białaczki/chłoniaki limfoblastyczne są nowotworami wywodzącymi się z prekursorów (limfoblastów) linii limfocytów B lub T. Komórki blastyczne zasiedlają głównie krew i szpik (ostre białaczki limfoblastyczne, ALL) lub, rzadziej, głównie węzły i tkanki pozawęzłowe (chłoniaki limfoblastyczne, LBL).*

*Wśród genetycznych kryteriów ryzyka praktyczne znaczenia ma zidentyfikowanie postaci ALL z t(9;22) BCR-ABL1+ (Ph+), w której konieczne jest zastosowanie inhibitorów kinaz tyrozynowych. Postać z chromosomem Philadelphia (Ph+) stanowi do 30% ALL; zachorowalność rośnie wraz z wiekiem. Ph+ wiąże się ze szczególnie złym rokowaniem, jednak wprowadzenie inhibitorów kinaz tyrozynowych (TKI), spowodowało w ostatnich latach przełom w leczeniu ALL Ph+ (CR >90%, 5-letnie przeżycie ~50%), z wyjątkiem postaci opornych na TKI. Wyróżnia się również postać ALL „podobną do ALL Ph+” (Ph-like ALL, BCR-ABL1-like B-cell ALL) stanowiącą do 27% przypadków B-ALL u młodych dorosłych.*

*Produkt leczniczy Jakavi (Ruksolitynib) jest selektywnym inhibitorem kinaz Janusowych (JAK), JAK1 i JAK2 (dla enzymów JAK1 i JAK2 wartość IC50 wynosi odpowiednio 3,3 nM oraz 2,8 nM). Kinazy te są mediatorami przesyłania sygnału dla szeregu cytokin i czynników wzrostu odgrywających ważną rolę w procesie hemopozy i funkcjonowaniu układu immunologicznego.*

*Jakavi, zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego, jest wskazany w leczeniu powiększenia śledziony związanego z chorobą lub objawów*



występujących u dorosłych pacjentów z pierwotnym włóknieniem szpiku (znanym także jako przewlekłe idiopatyczne włóknienie szpiku), włóknieniem szpiku poprzedzonym nadkrwistością prawdziwą lub włóknieniem szpiku poprzedzonym nadpłytkowością samoistną

Ocena zasadności finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych dotyczy niezarejestrowanego wskazania tj. ostra białaczka limfoblastyczna Ph- (ICD-10 C91.0).

#### Skuteczność kliniczna i praktyczna

Wnioskowane wskazanie jest odmienne od wskazania rejestracyjnego. Doświadczenie związane ze stosowaniem produktu we wnioskowanym wskazaniu jest ograniczone. Brak jest dowodów naukowych wysokiej jakości dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania leku Jakavi w ALL Ph-. Dodatkowo, część publikacji dotyczących stosowania ruksolitynibu u pacjentów z ALL dotyczy postaci ALL „podobnej do ALL Ph+” (Ph-like ALL, BCR-ABL1-like B-cell ALL. W piśmiennictwie światowym znaleziono tylko wzmiankę o 5 pacjentach z oporną na leczenie B-ALL Ph- (JAK2+).

Wyniki leczenia 3 pacjentów z pracy Eghtedara 2012 nie zostały podane. Z kolei w publikacji Bhalla 2017 opisano 2 przypadki pacjentów z oporną na leczenie B-ALL Ph- (JAK2+), u której włączono leczenie ruksolitynibem po wcześniej zastosowanych schematach chemioterapii i dwóch alloHSCT. Pomimo początkowej dobrej tolerancji ruksolitynibu, przerwano podawanie leku z powodu niewydolności oddechowej i pogorszenia stanu psychicznego. Pacjentka zmarła dwa tygodnie później w związku z powikłaniami po infekcji lub progresji choroby.

Drugi pacjent był 65-letnim mężczyzną z nawrotową B-ALL Ph- (JAK2+, t(8,9)) po chemioterapii i allogenicznym HSCT, który rozpoczął leczenie ruksolitynibem w trybie ambulatoryjnym, i u którego w związku z tym leczeniem wykazano cztery tygodnie poprawy klinicznej i wyraźne zmniejszenie liczby blastów (1. dzień terapii 76% blastów, 7. dzień - 7%, 14. - 1%, 21. - 1%, 28. - 8%, 35. - 31%). Pacjent zmarł sześć tygodni po rozpoczęciu terapii ruksolitynibem; przyczyną śmierci było zdarzenie kardiologiczne, spowodowane współistniejącymi chorobami. Autorzy wskazują, że obecnie nie ma standardu opieki nad leczeniem ratunkowym w przypadku nawrotu ALL, a często stosowane są różne schematy chemioterapii.

#### Bezpieczeństwo stosowania

Lek ma silne i groźne działania uboczne, które u pacjentów w zaawansowanej, opornej na leczenie ostrej białaczką limfatyczną może powodować zgon. Narasta ryzyko zakażeń i zwiększenie stężenia lipidów. Najczęściej zgłaszanymi działaniami niepożądanymi są: niedokrwistość (82,4%), małopłytkowość (69,8%) i krwawienia (32,6%). Do najczęstszych hematologicznych działań

niepożądanych leku należą: niedokrwistość (82,4%), małopłytkowość (69,8%) i neutropenia (15,6%). Trzema najczęstszymi niehematologicznymi działaniami niepożądanymi leku były wylewy podskórne (21,3%), zawroty głowy (15,0%) i ból głowy (13,9%). Do trzech najczęstszych niehematologicznych odchyłeń w badaniach laboratoryjnych należały: wzrost aktywności aminotransferazy alaninowej (26,9%), wzrost aktywności aminotransferazy asparaginianowej (19,3%) oraz hipercholesterolemia (16,6%).

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Wnioskowane wskazanie natomiast dotyczy stosowania leku Jakavi w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, we wskazaniu ostra białaczka limfoblastyczna Ph- (ICD-10 C91.0). Tym samym wnioskowane wskazanie nie jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania nie została jeszcze oceniona przez EMA.

Doświadczenie związane ze stosowaniem produktu we wnioskowanym wskazaniu jest ograniczone. Brak jest jakichkolwiek dowodów naukowych wysokiej jakości dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania leku Jakavi w ALL Ph-.

#### Konkurencyjność cenowa

Wnioskowany koszt netto 56 dni terapii wynosi [REDAKTOWANE] (4 opakowania à 56 tabl.), [REDAKTOWANE] za opakowanie 56 tabl. à 5 mg. Powyższe koszty po doliczeniu 8% VAT wynoszą odpowiednio [REDAKTOWANE] i [REDAKTOWANE].

Jakavi jest jedynym preparatem zawierającym substancję czynną ruksolitynib. Zdaniem Rady, stosowanie ruksolitynibu nie jest efektywne kosztowo w omawianym wskazaniu: wysoki koszt leczenia nie ma aktualnie uzasadnienia wobec braku jakiegokolwiek udokumentowanego wpływu stosowania leku na przeżycia całkowite chorych. Dwaj opisywani chorzy zmarli w ciągu dwóch miesięcy od chwili zapoczątkowania leczenia.

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

Zgodnie z opracowaniem AOTMiT w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych leku Jakavi we wskazaniu: ostra białaczka limfoblastyczna Ph-, wydatki inkrementalne podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, w przypadku finansowania leku Jakavi, stanowiłyby poważne obciążenie płatnika, zarówno z uwagi na wysoką cenę leku jak i szacowaną liczebność populacji chorych oraz brak skuteczności leku w tym schorzeniu.

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

*Jako technologię alternatywną uznano blinatumomab i inotuzumab ozogamycyny oraz dodatkowo tisagenlecleucel. Koszt terapii blinatumomabem, znacznie przewyższa koszt terapii ruksolitynibem.*

*Aktualnie brak jest dowodów naukowych wskazujących na zysk w przeżyciach całkowitych przy stosowaniu powyższych leków.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr OT.422.1.2018, „Jakavi (ruksolitynib) we wskazaniu ostra białaczka limfoblastyczna Ph- w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 30.01.2018 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Novartis Poland Sp. z o.o.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Novartis Poland Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust.2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2016, poz.1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2003 r., Nr 153, poz. 1503 z późn. zm.)

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

**Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Novartis Poland Sp. z o.o.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 25/2018 z dnia 5 lutego 2018 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,  
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych  
leku Xalkori (kryzotynib) we wskazaniu: chłoniak anaplastyczny  
z dużych komórek ALK-dodatni (ICD-10: C84)

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Xalkori (kryzotynib), we wskazaniu: chłoniak anaplastyczny z dużych komórek ALK-dodatni (ICD-10: C84).*

#### Uzasadnienie

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

*Chłoniak anaplastyczny z dużych komórek (ALCL) jest rzadko występującym nowotworem układu chłonnego wywodzącym się z limfocytów T. Obecnie według klasyfikacji Światowej Organizacji Zdrowia wśród rozpoznań ALCL rozróżnia się trzy odrębne jednostki chorobowe: skórną i dwie układowe (ALK+ i ALK-), różniące się zarówno cechami klinicznymi, jak i podłożem genetycznym oraz częściowo obrazem histopatologicznym i immunofenotypem. Przebiega z uogólnionym powiększeniem węzłów chłonnych, zajęciem skóry, kości i tkanek miękkich, płuc i wątroby. Do rzadkości należy zajęcie szpiku i krwi obwodowej. Utkanie chłoniaka tworzą duże, polimorficzne komórki; charakterystyczna jest obecność licznych granulocytów i makrofagów.*

##### Skuteczność kliniczna i praktyczna

*Nie odnaleziono badań randomizowanych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa kryzotynibu w ALCL ALK+. Przegląd abstraktów sugeruje, że próby dotyczące zastosowania tego leku w rozważanej populacji są na bardzo wczesnym etapie – większość doniesień dotyczy odpowiedzi linii komórkowych na badaną substancję w warunkach in vitro. Odnaleziono wyłącznie 2 badania I fazy, dotyczące przeciwnowotworowej aktywności kryzotynibu w populacji pacjentów obejmującej m. in. chorych z anaplastycznym chłoniakiem z dużych komórek, ALK dodatnim oraz dodatkowy raport odnoszący się do jednego z tych*



badań (Mossé 2017), a ponadto serię przypadków odnoszącą się do stosowania kryzotyningu u pacjentów z chłoniakiem (ALCL lub DLBCL) (Gambacorti Passerini 2014) i doniesienie dotyczące skuteczności praktycznej kryzotyningu w populacji 4 pacjentów z nawrotowym/opornym ALK+ ALCL (Huang 2018).

Brak rekomendacji i wytycznych do stosowania Xalkori w omawianym przypadku klinicznym (PTOK 2013; ESMO 2015; NCCN 2015).

#### Bezpieczeństwo stosowania

Na podstawie Charakterystyki Produktu Leczniczego Xalkori najczęstszymi działaniami niepożądanymi ( $\geq 3\%$ , częstość bez względu na przyczynę), które doprowadziły do czasowego odstawienia produktu, były neutropenia (11%), zwiększenie aktywności aminotransferaz (7%), wymioty (5%) i nudności (4%). Najczęstszymi działaniami niepożądanymi ( $\geq 3\%$ , częstość bez względu na przyczynę), które doprowadziły do zmniejszenia dawki, były zwiększenie aktywności aminotransferaz (4%) i neutropenia (3%). Działania niepożądane, bez względu na przyczynę, związane z leczeniem były powodem odstawienia produktu na stałe u 302 (18%) pacjentów, przy czym najczęstszymi działaniami niepożądanymi ( $\geq 1\%$ ) były śródmiąższowa choroba płuc (1%) i zwiększenie aktywności aminotransferaz (1%). W odniesieniu do leku Xalkori są publikowane specjalne ostrzeżenia i środki ostrożności dotyczące stosowania.

#### Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Lek w trakcie badań klinicznych I fazy we wnioskowanych wskazaniach, nie znaleziono wystarczających rekomendacji i dowodów naukowych dla określenia poziomu ryzyka do korzyści zdrowotnych.

#### Konkurencyjność cenowa

Konkurencyjność cenowa nie może być ustalona.

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

Koszt opakowania leku do ok. ██████████. Koszt 3 cykli lub 3 miesięcznej terapii to ponad ██████████, co oznacza koszt roczny terapii powyżej ██████████ na pacjenta. Brak danych od ekspertów odnośnie liczebności populacji.

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

Brak alternatywnej technologii, zalecana jest chemioterapia CHOP i CHOEP, a w przypadku pacjentów z ALCL ALK+ z profilem wysokiego ryzyka (np. IPI >2) powinna zostać rozważona konsolidacja autologicznym przeszczepianiem komórek krwiotwórczych.

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr OT.422.2.2018, „Xalkori (kryzotynib) we wskazaniu: chłoniak anaplastyczny z dużych komórek ALK-dodatni (ICD-10: C84) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 31.01.2018 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust.2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2016, poz.1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2003 r., Nr 153, poz. 1503 z późn. zm.)

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

**Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Pfizer Polska Sp. z o.o.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 26/2018 z dnia 5 lutego 2018 roku o projekcie programu „Program prewencji niewydolności serca u pacjentów onkologicznych” (woj. wielkopolskie)

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program prewencji niewydolności serca u pacjentów onkologicznych” (woj. wielkopolskie).*

#### Uzasadnienie

*Powikłania kardiologiczne po chemioterapii nowotworów stanowią ważny i narastający problem kardiologiczny. Najlepiej zbadane są powikłania sercowe po stosowaniu antracyklin, które dotyczą co 10 leczonej chorej/leczonego chorego, lecz tylko co 250 osoba otrzymująca antracykliny umiera z powodu choroby serca<sup>1</sup>. Antracykliny to podstawowe chemoterapeutyki w leczeniu rak piersi i chłoniaków. Prewencja tych powikłań polega na zastąpieniu antracyklin innym równie skutecznym lekiem, co często nie jest możliwe lub modyfikacji dawkowania antracyklin lub stosowania form o zmodyfikowanym uwalnianiu. Decyzja kliniczna jest bardzo trudna gdyż wybór sprowadza się do pewnej śmierci z powodu choroby nowotworowej i potencjalnego odległego poważnego powikłania w postaci niewydolności serca. Aktualnie nie ma dowodów naukowych wskazujących na korzyści wczesnie włączonej terapii niewydolności serca w tej grupie pacjentów.*

*Okres realizacji programu przewidziano na 3 lata. Planowana populacja objęta programem to pełnoletni pacjenci z terenu woj. wielkopolskiego z rozpoznaniem nowotworu złośliwego, którzy mają być leczeni chemioterapią bądź radioterapią skierowaną na klatkę piersiową i ma obejmować (3 000 osób). Jest to populacja znacznie szersza od chorych leczonych najlepiej zdefiniowanymi lekami kardiotoksycznymi antracyklinami, czyli raków piersi i chłoniaków, i nikt tak szerokiej grupy chorych nie uwzględni w wytycznych.*

*Planowane interwencje obejmują:*

- konferencje szkoleniowe,
- szkolenie lekarzy nieposiadających specjalizacji z kardiologii (onkolodzy/ interniści/ pulmonolodzy/ ginekolodzy) do wykonywania podstawowego badania ECHO serca,



- wykonywanie podstawowego badania ECHO serca (przez lekarza onkologa/ internistę/ pulmonologa/ ginekologa),
- utworzenie zespołów kardiologicznych,
- konsultacja lekarska pod kątem rozpoznania występowania czynników wysokiego ryzyka kardiologicznego u pacjenta onkologicznego i kwalifikacja pacjentów do programu przeprowadzona przez lekarza onkologa w ramach zespołu kardiologicznego,
- konsultacje kardiologiczne w zależności od obecnych czynników ryzyka oraz wyników badań (ECHO serca oraz badań laboratoryjnych).

*Program poprawia dostępność do konsultacji kardiologicznych, lecz nie można przewidzieć, że przełoży się on na realne efekty zdrowotne. Należy uwzględnić fakt, że wnioskodawca uwzględnił większość uwag Rady, zawartych w poprzedniej opinii.*

#### **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.441.370.2017 „Program prewencji niewydolności serca u pacjentów onkologicznych” realizowany przez: Województwo Wielkopolskie, Warszawa, styczeń 2018 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu profilaktyki chorób sercowo-naczyniowych – wspólne podstawy oceny” z lutego 2013, a także raportu nr OT.441.137.2017.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wyżej wskazanych:

1. Tomasz Pasiński Konsultacje Kardiologiczne Medical Education Warszawa 2016.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 27/2018 z dnia 5 lutego 2018 roku  
o projekcie programu „Rozszerzenie dostępności technologicznie  
wspomaganej diagnostyki funkcjonalnej i rehabilitacji dzieci  
i młodych dorosłych z mózgowym porażeniem dziecięcym  
na terenie Województwa Wielkopolskiego”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Rozszerzenie dostępności technologicznie wspomaganej diagnostyki funkcjonalnej i rehabilitacji dzieci i młodych dorosłych z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie Województwa Wielkopolskiego”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

### Uzasadnienie

*Przedstawiony projekt programu polityki zdrowotnej zakłada wdrożenie nowoczesnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym. Program stanowić może uzupełnienie świadczeń gwarantowanych w tym zakresie.*

*Oceniany projekt programu odnosi się do problemu zdrowotnego jakim jest mózgowie porażenie dziecięce. Problem zdrowotny opisany w projekcie programu polityki zdrowotnej wpisuje się w priorytety zawarte w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. ws. priorytetów zdrowotnych (Dz.U.2009 nr 137 poz.1126), mianowicie: „zmniejszenie przedwczesnej zachorowalności i ograniczenie negatywnych skutków przewlekłych schorzeń układu kostno-stawowego” oraz „zapobieganie najczęstszym problemom zdrowotnym i zaburzeniom rozwoju fizycznego i psychospołecznego dzieci i młodzieży objętych obowiązkiem szkolnym i obowiązkiem nauki oraz kształcących się w szkołach ponadgimnazjalnych do ich ukończenia”.*

*Autorzy zaproponowali szczegółowe kryteria kwalifikacji do programu. Kryterium kwalifikacji ma być poziom funkcjonalny I-IV wg Klasyfikacji GMFCS. Należy zaznaczyć, że zgodnie z odnalezionymi zaleceniami (CCHMC 2010) w zależności od wskazań indywidualnych, jak również bezpośredniej oceny klinicznej pacjenta przez fizjoterapeutę, zaleca się stosowanie terapii u dzieci, u których zdiagnozowano porażenie mózgowie na poziomie II-IV w skali GMFCS.*



Dodatkowo, w przeglądzie systematycznym oceniającym skuteczność interwencji opartych na ćwiczeniach, które mogą poprawić kontrolę związaną z postawą ciała u dzieci z porażeniem mózgowym (Dewar 2015), stwierdzono że najbardziej efektywne interwencje były prowadzone wśród dzieci z poziomem I-III wg skali GMFCS.

Mierniki efektywności programu zostały sformułowane w sposób prawidłowy i odpowiadają wszystkim wyznaczonym w treści projektu celom.

Uwagi zawarte w raporcie AOTMiT odnoszą się głównie do sposobu sformułowania celów programu, czasu trwania programu, kosztów niektórych interwencji oraz stosowanych testów sprawnościowych i kwestionariuszy.

Głównym założeniem projektu jest „zwiększenie w trakcie trwania programu dostępności do nowoczesnych metod diagnostyki i rehabilitacji zaburzeń funkcji chodu u dzieci i młodych dorosłych z MPD poprzez udzielenie świadczeń”. Należy zaznaczyć, że cel główny powinien być wyraźnie zdefiniowany i precyzyjnie (w odniesieniu do planowanego czasu) wytyczony, a jego osiągnięcie powinno stanowić potwierdzenie skuteczności zaplanowanych działań. Wskazany cel główny został natomiast przedstawiony w sposób ogólny i nie odnosi się bezpośrednio do efektu zdrowotnego. W treści projektu programu przedstawiono także 3 cele szczegółowe, które uzupełniają przytoczony powyżej cel główny. Odnoszą się one do: „poprawy parametrów chodu u co najmniej 75% osób objętych świadczeniami w programie”, „podniesienia poziomu wiedzy i umiejętności fizjoterapeutów w zakresie koncepcji biometrycznych oraz wspomaganie technologicznie rehabilitacji chodu u osób z MPD”, a także „podniesienia poziomu wiedzy i świadomości rodziców/opiekunów z zakresu przystosowania do funkcjonowania w społeczeństwie osób z MPD”. Co istotne, dobrze sformułowany cel powinien być zgodny z koncepcją S.M.A.R.T., według której powinien on być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie. Należy zaznaczyć, że cele nr 2 i 3 przedstawione w projekcie programu nie są w pełni zgodne z ww. koncepcją.

Wnioskodawca zaznaczył, że okres realizacji programu wyniesie 3 lata. W projekcie nie wskazano jednak dokładnego przedziału lat, podczas których wdrażane będą przewidziane działania. Program powinien zostać uzupełniony o te informacje.

Suma kosztów jednostkowych przedstawionych przez wnioskodawcę jest zatem zgodna z oszacowaniem sumy przeznaczanej na 1 pełen cykl terapeutyczny dla danego uczestnika. Warto jednak zaznaczyć, że działania poprzedzające uczestnictwo w sesjach terapeutycznych podzielone zostały na 3 odrębne etapy, których łączny koszt w przypadku jednego uczestnika wyniesie 1 060 zł. Istnieje



*ryzyko, że w ramach tych 3 osobnych działań, niektóre z czynności mogą się dublować, przez co suma kosztów może być zawyżona.*

*Wnioskodawca nie uzasadnia potrzeby wykonania badania TIDFCh przed rozpoczęciem sesji terapeutycznych oraz po ich zakończeniu. Zgodnie z rekomendacjami zalecanymi miernikami efektywności treningu są: TMWT, 6MWT, GMFM 66, COMP oraz dodatkowo: CAPE, CPQOL, WeeFIM, PEDI. Część z tych pomiarów została zaplanowana do wykonania w ramach programu.*

*Projekt zakłada przeprowadzenie testów sprawnościowych i kwestionariuszy, które mają na celu ocenić stan dziecka. Większość z zaproponowanych metod jest zgodna z wytycznymi. Należy jednak zweryfikować wszystkie zaproponowane skale i dostosować je do zapisów rekomendacji.*

#### **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.441.374.2017 „Rozszerzenie dostępności technologicznie wspomaganą diagnostyki funkcjonalnej i rehabilitacji dzieci i młodych dorosłych z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie Województwa Wielkopolskiego” realizowany przez: Województwo Wielkopolskie, Warszawa, styczeń 2018, Aneksu: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2016, a także raportu nr OT.441.57.2017.MiS: „Rozszerzenie dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie Województwa Mazowieckiego”.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 28/2018 z dnia 5 lutego 2018 roku  
o projekcie programu „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia  
pozaustrojowego in vitro dla mieszkańców miasta Włocławek  
w latach 2017-2019”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego in vitro dla mieszkańców miasta Włocławek w latach 2017-2019”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

### Uzasadnienie

*Głównym celem programu jest zapewnienie dostępu do nowoczesnych metod leczenia pewnej liczbie cierpiących na niepłodność par, zgodnie z obowiązującym w Polsce prawem i standardami postępowania klinicznego. Wnioskodawca stwierdza, że program „realizowany jest od 1.01.2017 do 31.10.2019” (s.17 Programu). Określono koszty całkowite programu w każdym roku jego trwania:*

- 2017 r. – 380 000 zł (76 par),
- 2018 r. – 380 000 zł (76 par),
- 2019 r. – 320 000 zł (64 pary).

*Dodatkowo przedstawiono koszty związane z promocją programu i oszacowano je na 12 000 zł. Program będzie finansowany z budżetu miasta Włocławek.*

*Przedłożony projekt polityki zdrowotnej w zakresie leczenia niepłodności dotyczy ważnego i dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego. Zastrzeżenia Rady dotyczą więc przede wszystkim konieczności niezbędnych korekt i uzupełnień. Dotyczy to przede wszystkim:*

- *prawidłowego sformułowania celu głównego i celów szczegółowych, zgodnie z zasadą S.M.A.R.T.;*
- *zbudowania układu bardziej precyzyjnych kryteriów kompleksowego monitorowania i ewaluacji programu;*
- *wyjaśnienia rzeczywistego czasu trwania programu. Wniosek o wydanie opinii w sprawie programu wpłynął do AOTMiT - 08.12.2017. Jeśli program*



*rzeczywiście zaczyna się w 2018 r., konieczne jest zrewidowanie budżetu, a także innych parametrów programu.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr OT.441.369.2017 „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego in vitro dla mieszkańców miasta Włocławek w latach 2017-2019” realizowany przez: Miasto Włocławek, Warszawa, styczeń 2018 oraz Aneksu: „Programy z zakresu leczenia niepłodności technikami wspomaganego rozrodu (ART) – wspólne podstawy oceny”, ze stycznia 2018.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 29/2018 z dnia 5 lutego 2018 roku o projekcie programu „Program wsparcia prokreacji dla mieszkańców Chojnic na lata 2017-2020”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program wsparcia prokreacji dla mieszkańców Chojnic na lata 2017-2020”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Głównym celem programu jest zapewnienie dostępu do nowoczesnych metod leczenia niepłodności pozostającym w związku małżeńskim parom, zgodnie z obowiązującym w Polsce prawem i standardami postępowania klinicznego. Jak stwierdza wnioskodawca program będzie realizowany w latach 2017-2020. Projekt programu zakłada jego realizację w trzech odrębnych i odrębnie finansowanych modułach. Są to:*

- *moduł procedury zapłodnienia pozaustrojowego;*
- *moduł edukacji młodzieży ze szkół ponadgimnazjalnych w zakresie zdrowia prokreacyjnego;*
- *moduł wsparcia psychologicznego w zakresie zdrowia prokreacyjnego, przeznaczony dla wszystkich mieszkańców miasta mających problemy z prokreacją.*

*Koszty całkowite modułu zapłodnienia pozaustrojowego oszacowano na 200 000 zł w pierwszym roku jego trwania (koszt 26 procedur zapłodnienia pozaustrojowego oraz promocji programu). Budżet na realizację tego modułu w latach kolejnych będzie ustalany z końcem każdego roku kalendarzowego (zarezerwowana kwota będzie nie mniejsza niż 200 000 zł). Na moduł edukacji zdrowotnej planuje się przeznaczenie kwoty nie mniejszej niż 5 000 zł rocznie, natomiast koszty realizacji modułu wsparcia psychologicznego zostały oszacowane na ok. 20 000 zł rocznie. Program będzie w całości finansowany z budżetu miasta Chojnice.*

*Przedłożony projekt polityki zdrowotnej w zakresie leczenia niepłodności dotyczy ważnego i dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego. Zastrzeżenia Rady dotyczą więc przede wszystkim konieczności niezbędnych korekt i uzupełnień. Dotyczy to przede wszystkim:*



- *prawidłowego sformułowania celu głównego i celów szczegółowych, zgodnie z zasadą S.M.A.R.T.;*
- *zbudowania układu bardziej dokładnych kryteriów kompleksowego monitorowania i ewaluacji programu;*
- *wyjaśnienia rzeczywistego czasu trwania programu. Wniosek o wydanie opinii w sprawie programu wpłynął do AOTMiT - 08.12.2017. Jeśli program rzeczywiście zaczyna się w 2018 r., konieczne jest zrewidowanie budżetu, a także innych parametrów programu. Nie jest oczywiste, czy projekt programu zakłada leczenie tylko 26 par w trakcie trzech lat, czy też przewiduje leczenie 26 par w każdym roku trwania (w sumie 78).*

#### **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.441.372.2017 „Program wsparcia prokreacji dla mieszkańców Chojnic na lata 2017-2020” realizowany przez: Miasto Chojnice, Warszawa, styczeń 2018 oraz Aneksu: „Programy z zakresu leczenia niepłodności technikami wspomaganego rozrodu (ART) – wspólne podstawy oceny”, ze stycznia 2018.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 30/2018 z dnia 5 lutego 2018 roku o projekcie programu „Program leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców miasta Kalisza na lata 2017-2019”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców miasta Kalisza na lata 2017-2019”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### **Uzasadnienie**

*Okres realizacji projektu programu zaplanowano od 01.01.2018 r. do 31.12.2019 r.*

*W projekcie występują jednak różnice w tym zakresie. W tytule, prawdopodobnie omyłkowo, wskazano okres realizacji na lata 2017-2019. Również w punkcie dotyczącym kosztów wskazano na realizację części promocyjnej programu w 2017 r. Adresatami projektu są pary zamieszkałe w mieście Kalisz, które spełniają podstawowe kryteria włączenia do programu. Autor projektu, na podstawie stosowanych wyliczeń, zaznacza, że roczne zapotrzebowanie na in vitro w programie będzie dotyczyło ok. 70 par. Głównym założeniem ocenianego projektu programu jest „leczenie niepłodności metodami wspomaganego rozrodu w oparciu o przepisy prawa, określone standardy postępowania i procedury medyczne”, jak również „poprawa dostępu pacjentów dotkniętych problemem niepłodności do metod zapłodnienia pozaustrojowego”. Należy podkreślić, że cel w postaci leczenia niepłodności jest sformułowany w sposób nieprawidłowy, gdyż jest działaniem. W projekcie programu wskazano 4 cele szczegółowe, które uzupełniają cel główny. Należy podkreślić, że cele szczegółowe programu nie zostały sformułowane w pełni zgodnie z zasadą S.M.A.R.T. (m.in. nie przedstawiono wartości do jakich dąży wnioskodawca). Dobrze sformułowany cel powinien być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie.*

*Określono mierniki efektywności odpowiadające celom programu.*

*Wśród zaplanowanych interwencji w ramach danego projektu programu wskazuje się realizację procedur: zapłodnienia pozaustrojowego*



z wykorzystaniem własnych gamet pary (dawstwo partnerskie) lub z wykorzystaniem nasienia dawcy (dawstwo inne niż partnerskie); zapłodnienia pozaustrojowego z wykorzystaniem żeńskich komórek rozrodczych (dawstwo inne niż partnerskie) oraz adopcji zarodka (dawstwo inne niż partnerskie). Opis ww. interwencji został w projekcie szczegółowo określony. Autor projektu zaznacza, że do programu będą kwalifikowały się pary ze stwierdzoną przyczyną niepłodności lub nieskutecznym leczeniem niepłodności w okresie 12 miesięcy poprzedzających zgłoszenie do udziału w programie.

W kwestii wieku kobiet zakwalifikowanych do programu należy wskazać, że w państwach tych dopuszczalność zapłodnienia *in vitro* zależy od wieku kobiety, przy czym górna granica wieku jest zróżnicowana - między 39 a 50 r.ż. Najczęściej jednak jest to wiek kobiet między 40 a 45 r.ż. Z kolei, obowiązująca w Polsce Ustawa o leczeniu niepłodności nie określa górnej granicy wieku kobiety, u której planuje się przeprowadzenie ww. zabiegu. Trzeba też zaznaczyć, że dowody naukowe oraz rekomendacje kliniczne nie odnoszą się do ściśle określonych granic wieku kobiet. W ocenianym projekcie szczegółowo określono medyczne kryteria wykluczenia z udziału w programie dla każdej z procedur. Autor projektu podkreśla, że pacjentki uzyskują do dwóch zarodków, które będą transferowane w cyklu świeżym. Zgodnie z wytycznymi (ACOG 2016, IFFS 2015A, SOGC 2014, EBCOG 2014) zaleca się transfer pojedynczego zarodka, ze względu na bezpieczeństwo położnicze kobiety i płodu oraz uniknięcie ryzyka ciąży mnogich.

Trzeba zaznaczyć, że przed wprowadzeniem procedury zapłodnienia pozaustrojowego, zgodnie z rekomendacjami (NICE 2013), powinno się przeprowadzić diagnostykę niepłodności. Autor projektu zaznaczył, że decyzję o kwalifikacji pary do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego podejmie realizator, m. in. na podstawie stwierdzonej przyczyny niepłodności lub nieskutecznego leczenia niepłodności. Zgodnie z rekomendacjami NICE 2013 zaleca się badanie krwi w celu określenia poziomu hormonów (tj. progesteron i gonadotropiny - hormon FSH, hormon LH, hormon LTH). Dodatkowo zaleca się określenie poziomu hormonu AMH oraz USG jajników. Powinno zostać przeprowadzone również badanie jajowodów w celu określenia czy nie są zablokowane.

Zaplanowane w ocenianym projekcie procedury leczenia niepłodności, pozostają w zgodzie z obowiązującą praktyką, zaleceniami ekspertów klinicznych, jak również pokrywają się z działaniami, które do dnia 30 czerwca 2016 roku były realizowane w ramach programu rządowego.

W projekcie nie przewidziano żadnych działań z zakresu edukacji zdrowotnej. Warto zaznaczyć, że zgodnie z Ustawą o leczeniu niepłodności (dokładnie art. 11 ww. aktu prawnego), organy jst mogą podejmować również działania na rzecz ochrony i promocji zdrowia rozrodczego, które powinny obejmować

*m.in. edukację w zakresie stylu życia chroniącego potencjał rozrodczy człowieka i zwiększającego szanse urodzenia zdrowego dziecka oraz celowości opieki prekoncepcyjnej, ograniczanie emisji czynników mających szkodliwy wpływ na potencjał rozrodczy człowieka, dostęp do informacji nt. czynników mających wpływ na potencjał rozrodczy człowieka, uwzględnianie problematyki zdrowia rozrodczego w opiece zdrowotnej, w szczególności w odniesieniu do osób chorych przewlekle i niepełnosprawnych.*

*Autor projektu zaznacza, że zakwalifikowane do udziału pary mogą zrezygnować z udziału w programie na każdym jego etapie. Jednocześnie podkreśla, że jeśli rozpoczęta procedura zapłodnienia zakończy się we wcześniejszym etapie z innych powodów niż medyczne czy uchybienia realizatora, leczona para ponosi pełne koszty dotychczasowego leczenia.*

*Działania organizacyjne w ocenianym projekcie programu zostały przedstawione w formie ogólnego harmonogramu. Dalsza opieka nad ciężarną po leczeniu niepłodności sprawowana będzie w ramach powszechnie dostępnego systemu opieki perinatalnej. Program przewiduje możliwość dofinansowania jednego zabiegu wspomaganego rozrodu, pod warunkiem przeprowadzenia przynajmniej jednej całej procedury przewidzianej w programie. Koszt ew. kolejnych prób ponoszony jest przez pacjentów.*

*Autor projektu zakłada, że wybór realizatora zostanie zorganizowany na podstawie konkursu ofert, a następnie zatwierdzony przez Prezydenta Kalisza. Dany sposób wyboru głównego realizatora pozostaje w zgodzie z zapisami ustawowymi. Jednak kwestie warunków dotyczących personelu, wyposażenia i warunków lokalowych przedstawiono w sposób ogólny informację. Zaplanowano stałą współpracę z psychologiem.*

*W programie przewidziano raportowanie wyników leczenia do Europejskiego Towarzystwa Rozrodu Człowieka i Embriologii.*

*Za promocję programu odpowiedzialny będzie jego organizator tj. Miasto Kalisz we współpracy z realizatorami usług. Akcja informacyjna zostanie wdrożona przy pomocy materiałów prasowych i reklam w lokalnych mediach, strony internetowej miasta i realizatorów oraz ogłoszeń w placówkach realizatorów programu. Autor zakłada również uwzględnienie innych kanałów informacyjnych, jednak nie odnosi się do szczegółów ww. założenia.*

*Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji, jednak zagadnienie to zostało opisane w sposób zdawkowy. Należy pamiętać, że monitorowanie i ewaluacja są istotnymi elementami programu, które umożliwiają bieżącą ocenę jego przebiegu oraz określenie wpływu programu na sytuację społeczną i zdrowotną w perspektywie wieloletniej. Monitorowanie jest procesem zbierania danych o realizacji programu i służy kontrolowaniu ich*



*przebiegu i postępu. Ewaluacja natomiast jest analizą danych z PPZ, realizowaną w celu oceny efektów prowadzonych działań.*

*W projekcie wskazano, że program będzie podlegać w trakcie jego trwania stałemu monitorowaniu, jednak nie przedstawiono żadnych wskaźników dotyczących oceny zgłaszalności do programu oraz oceny jakości świadczeń w programie.*

*W projekcie oszacowano koszt jednostkowy. Program zakłada dofinansowanie kosztów jednego cyklu zapłodnienia pozaustrojowego lub adopcji zarodka w wysokości do 100%, w maksymalnej kwocie 5000 zł. Wydatki związane z kolejnymi próbami przeprowadzenia zapłodnienia pozaustrojowego ponosić będą uczestnicy programu we własnym zakresie. W programie nie uszczegółowiono kosztów jednostkowych poszczególnych usług wykonywanych w ramach planowanego zapłodnienia pozaustrojowego. Program będzie finansowany z budżetu miasta Kalisz.*

#### **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.441.376.2017 „Program leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców miasta Kalisza na lata 2017-2019” realizowany przez: Miasto Kalisz, Warszawa, styczeń 2018 oraz Aneksu: „Programy z zakresu leczenia niepłodności technikami wspomaganego rozrodu (ART) – wspólne podstawy oceny”, ze stycznia 2018.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 31/2018 z dnia 5 lutego 2018 roku o projekcie programu „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców Grudziądza w latach 2018-2019”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców Grudziądza w latach 2018-2019”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### **Uzasadnienie**

*Okres realizacji projektu programu zaplanowano na lata 2018-2019 i realizator przewiduje kontynuację programu w latach następnych, po ocenie jego efektów. W programie przewiduje się udział około 30 par rocznie. Zaplanowane w ocenianym projekcie procedury leczenia niepłodności, pozostają w zgodzie z obowiązującą praktyką, zaleceniami ekspertów klinicznych, jak również pokrywają się z działaniami, które do dnia 30 czerwca 2016 roku były realizowane w ramach programu rządowego.*

*Głównym założeniem ocenianego projektu programu jest „leczenie niepłodności metodami wspomaganego rozrodu w oparciu o przepisy prawa, określone standardy postępowania i procedury medyczne”, jak również „poprawa dostępu pacjentów dotkniętych problemem niepłodności do metod zapłodnienia pozaustrojowego”. Cel ten jest sformułowany w sposób nieprawidłowy, gdyż jest działaniem. W projekcie programu wskazano również 4 cele szczegółowe, które uzupełniają cel główny. Zatem cele nie zostały sformułowane w pełni zgodnie z zasadą SMART. Dobrze sformułowany cel powinien być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie. W projekcie w sposób zdawkowy odniesiono się do opisu problemu zdrowotnego, jakim jest niepłodność. Wśród zaplanowanych interwencji w ramach danego projektu programu wskazuje się realizację procedur: zapłodnienia pozaustrojowego z wykorzystaniem własnych gamet pary (dawstwo partnerskie) lub z wykorzystaniem nasienia dawcy (dawstwo inne niż partnerskie); zapłodnienia pozaustrojowego z wykorzystaniem żeńskich komórek rozrodczych (dawstwo inne niż partnerskie) oraz adopcji zarodka*



(dawstwo inne niż partnerskie). Opis ww. interwencji został w projekcie szczegółowo określony.

Należy wskazać, że dowody naukowe oraz rekomendacje kliniczne uwzględnione w projekcie nie odnosiły się do ściśle określonych granic wieku kobiet. Większość krajów UE wprowadziła granice wieku do korzystania z procedury *in vitro*. Najczęściej jest to wiek kobiet między 40 a 45 r. ż. Warto również podkreślić, że obowiązująca w Polsce ustawa o leczeniu niepłodności nie określa górnej granicy wieku kobiety, u której planuje się przeprowadzenie ww. zabiegu. Ze względu na brak jednoznacznych wytycznych w Polsce dotyczących górnej granicy wieku kobiet, u których możliwe jest wykonanie zapłodnienia pozaustrojowego, jak również szerokie wątpliwości natury etycznej nie można w sposób jednoznaczny odnieść się do zaproponowanej w programie górnej granicy wieku kobiet.

W ocenianym projekcie szczegółowo określono medyczne kryteria wykluczenia z udziału w programie dla każdej z procedur. Autor projektu podkreśla, że zgodnie z zaleceniami tylko jeden zarodek będzie transferowany do jamy macicy, a w wyjątkowych przypadkach (np. spowodowanych wiekiem pacjentki) maksymalnie dwa zarodki. Zgodnie z wytycznymi (ACOG 2016, IFFS 2015A, SOGC 2014, EBCOG 2014) zaleca się transfer pojedynczego zarodka, ze względu na bezpieczeństwo położnicze kobiety i płodu oraz uniknięcie ryzyka ciąży mnogich. Według wytycznych Polskie Towarzystwo Medycyny Rodzinnej 2012 zarodki z zachowanym potencjałem rozwojowym nieprzeniesione do jamy macicy muszą być kriokonserwowane.

W projekcie nie przewidziano żadnych działań z zakresu edukacji zdrowotnej. Warto zaznaczyć, że zgodnie z Ustawą o leczeniu niepłodności (dokładnie art. 11 ww. aktu prawnego), organy jst mogą podejmować również działania na rzecz ochrony i promocji zdrowia rodzinnego, które powinny obejmować m.in. edukację w zakresie stylu życia chroniącego potencjał rozrodczy człowieka i zwiększającego szanse urodzenia zdrowego dziecka oraz celowości opieki prekonceptyjnej, ograniczanie emisji czynników mających szkodliwy wpływ na potencjał rozrodczy człowieka, dostęp do informacji nt. czynników mających wpływ na potencjał rozrodczy człowieka, uwzględnianie problematyki zdrowia rodzinnego w opiece zdrowotnej, w szczególności w odniesieniu do osób chorych przewlekle i niepełnosprawnych. Program przewiduje możliwość dofinansowania jednego zabiegu wspomaganego rozrodu, pod warunkiem przeprowadzenia przynajmniej jednej całej procedury przewidzianej w programie. Koszt ew. kolejnych prób ponoszony jest przez pacjentów. Przewidziano również raportowanie wyników leczenia do Europejskiego Towarzystwa Rozrodu Człowieka i Embriologii.

Jak wskazuje NICE 2013 przed wprowadzeniem procedury zapłodnienia pozaustrojowego, zgodnie z rekomendacjami powinno się przeprowadzić

*diagnostykę niepłodności. Autor projektu zaznaczył, że decyzję o kwalifikacji pary do leczenia niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego podejmie realizator, m. in. na podstawie stwierdzonej przyczyny niepłodności lub nieskutecznego leczenia niepłodności. Zgodnie z rekomendacjami NICE 2013 zaleca się badanie krwi w celu określenia poziomu hormonów (tj. progesteron i gonadotropiny - hormon FSH, hormon LH, hormon LTH). Dodatkowo zaleca się określenie poziomu hormonu AMH oraz USG jajników. Powinno zostać przeprowadzone również badanie jajowodów w celu określenia czy nie są zablokowane.*

*Program ma być realizowany przy wykorzystaniu personelu medycznego (nie określono jednak szczegółowych wymogów w tym zakresie). Zaplanowano stałą współpracę z psychologiem.*

*Autor projektu zakłada, że wybór realizatora (dopuszcza się wybór więcej niż jednego realizatora) zostanie zorganizowany na podstawie konkursu ofert, a następnie zatwierdzony przez Prezydenta Grudziądza. Sposób wyboru głównego realizatora pozostaje w zgodzie z zapisami ustawowymi.*

*W projekcie programu oszacowano koszt jednostkowy. Program zakłada dofinansowanie kosztów jednego cyklu zapłodnienia pozaustrojowego lub adopcji zarodka w wysokości do 100%, w maksymalnej kwocie 7510 zł. Wydatki związane z kolejnymi próbami przeprowadzenia zapłodnienia pozaustrojowego ponosić będą uczestnicy programu we własnym zakresie. W programie nie uszczegółowiono kosztów jednostkowych poszczególnych usług wykonywanych w ramach planowanego zapłodnienia pozaustrojowego jednak wskazano jednak przedstawiono kosztorys działań w ramach programu rządowego (zakończony 30 czerwca 2016 r.).*

#### **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.441.378.2017 „Leczenie niepłodności metodą zapłodnienia pozaustrojowego – in vitro dla mieszkańców Grudziądza w latach 2018-2019” realizowany przez: Miasto Grudziądz, Warszawa, styczeń 2018 oraz Aneksu: „Programy z zakresu leczenia niepłodności technikami wspomaganego rozrodu (ART) – wspólne podstawy oceny”, ze stycznia 2018.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 32/2018 z dnia 5 lutego 2018 roku o projekcie programu „Program rehabilitacji mieszkańców Miasta i Gminy Osieczna na lata 2018-2020”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program rehabilitacji mieszkańców Miasta i Gminy Osieczna na lata 2018-2020”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### Uzasadnienie

*Niepełnosprawność jest poważnym problemem społecznym, poprawa stanu pacjenta założona w postępowaniu rehabilitacyjnym stanowi najważniejszy element opieki nad pacjentem.*

*Programy polityki zdrowotnej poświęcone działaniom zapobiegającym wystąpieniu lub pogłębieniu niepełnosprawności nie mają zwykle ściśle zdefiniowanego problemu zdrowotnego i precyzyjnie określonej populacji. Wynika to ze specyfiki niepełnosprawności, która odnosi się do zróżnicowanych populacji o odmiennych wymaganiach terapeutycznych, edukacyjnych i społecznych. W związku z tym programy te mogą obejmować szeroki zakres interwencji możliwych do zastosowania.*

*Odnalezione rekomendacje (NSF 2010, VHA-doD 2010) zalecają by pacjenci otrzymywali tyle świadczeń ile potrzebują.*

*Ćwiczenia fizyczne powinny być istotnym elementem rehabilitacji osób z chorobą zwyrodnieniową stawów (RCP-NICE 2008, RACGP 2009).*

*W celu uzyskania optymalnych wyników intensywna i odpowiednio wcześnie rozpoczęta rehabilitacja powinna być wykonywana przez interdyscyplinarny zespół specjalistów (SIGN 2013).*

*Świadczenia z zakresu rehabilitacji znajdują się w katalogu świadczeń gwarantowanych (Rozporządzenie Ministra Zdrowia z 9 maja 2017 r.).*

*Program wpisuje się w priorytety zdrowotne wymienione w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z 21 sierpnia 2009 r. (Dz. U. 2009, Nr 137, poz. 1126).*

*Omawiany program zakłada objęcie interwencjami wszystkich zameldowanych w gminie Osieczna osób z dolegliwościami narządów ruchu, zakwalifikowanych do programu podczas badania. Każdy z uczestników będzie skierowany na 10 dniowy cykl obejmujący 3 procedury rehabilitacyjne. W ramach programu*



przewiduje się możliwość kontynuacji świadczeń, które pacjent otrzymał jako świadczenia refundowane. Oszacowano, że udział w programie weźmie ok. 200-250 osób. Program ma być sfinansowany w całości z budżetu gminy i miasta Osieczna.

Projekt zakłada wybór realizatora w drodze konkursu oraz przeprowadzenie kampanii informacyjnej.

Projekt zawiera wiele elementów, wymaga jednak licznych uzupełnień.

W szczególności należy:

- opisać planowane działania i podać ich harmonogram;
- prawidłowo sformułować cele i mierniki efektywności;
- wyjaśnić rozbieżności pomiędzy założeniem 10-dniowych cykli po 3 procedury i zapisem, że podczas badania kwalifikacyjnego zostanie określony rodzaj, liczba i czas trwania procedur rehabilitacyjnych dla danego pacjenta (co byłoby zgodne z rekomendacjami);
- koszt realizacji programu w 2018 .r oszacowano na 60 000 zł a koszt jednostkowy na 300 zł. Powyższa kwota starczy dla 200 osób. Jeżeli liczba osób miałyby ulec zwiększeniu (zgodnie z planem do 250) należy podać czy zabezpieczono dla nich środki.

Należy także oszacować koszty na kolejne lata realizacji programu zaplanowanego na 3 lata.

#### **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.441.373.2017 „Program rehabilitacji mieszkańców Miasta i Gminy Osieczna na lata 2018-2020” realizowany przez: Miasto i Gminę Osieczna, Warszawa, styczeń 2018 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży”, z sierpnia 2016.



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

### Opinia Rady Przejrzystości nr 33/2018 z dnia 5 lutego 2018 roku o projekcie programu „Program profilaktycznych szczepień przeciw grypie dla mieszkańców powiatu żuromińskiego”

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktycznych szczepień przeciw grypie dla mieszkańców powiatu żuromińskiego”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

#### **Uzasadnienie**

*Wytyczne organizacji światowych (WHO), europejskich (ECDC), poszczególnych krajów UE oraz państw Ameryki Północnej w większości rekomendują coroczne szczepienia przeciwko grypie osób w podeszłym wieku, chociaż różnią się co do dolnej granicy wieku wyznaczającej korzyść z powszechnych szczepień w tej grupie. Osoby starsze są najbardziej narażone na powikłania pogrypowe oraz wysoką śmiertelność.*

*Zalecany przez WHO poziom wyszczepialności wynosi co najmniej 75% populacji osób starszych, aby zwiększyć szansę nabycia odporności populacyjnej.*

*Zgodnie z Programem Szczepień Ochronnych na 2018 r. szczepienia przeciwko grypie należą do grupy szczepień zalecanych niefinansowanych ze środków Ministra Zdrowia. W dokumencie tym szczepienia przeciwko grypie zaleca się osobom w wieku powyżej 55 lat.*

*Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce rekomenduje objęcie szczepieniami osób w wieku 50-64 lat ze wskazań medycznych i społecznych oraz powyżej 65 r.ż. ze wskazań medycznych.*

*Jako wskazania medyczne wymienia się astmę, cukrzycę, niewydolność układu krążenia, oddychania i nerek. Zalecenie szczepienia wszystkich chorych z cukrzycą zgodne jest również ze stanowiskiem Polskiego Towarzystwa Diabetologicznego.*

*Szczepionki przeciwko grypie uważane są za bezpieczne i skuteczne w grupach podwyższonego ryzyka, co zostało potwierdzone szeregiem badań obserwacyjnych i randomizowanych.*



*Oceniany projekt zawiera większość wymaganych elementów, w tym budżet całkowity (56 448 zł) i jednostkowy. Zakłada wybór realizatora programu w ramach konkursu. Interwencje obejmą szczepienia przeciwko grypie i akcję edukacyjną. Liczbę osób uczestniczących w programie oszacowano na około 10% populacji docelowej rocznie (1008 osób). Populacja wybrana została prawidłowo. Szczepienie poprzedzi badanie lekarskie. Okres realizacji programu przewidziano na lata 2018-2019 z możliwością jego kontynuacji w następnych latach.*

*Program wymaga kilku korekt i uzupełnień w tym:*

- *sformułowania celów zgodnie z zasadą S.M.A.R.T.,*
- *wskazanie formy w jakiej będą prowadzone działania edukacyjne.*

#### **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.441.377.2017 „Program profilaktycznych szczepień przeciw grypie dla mieszkańców powiatu żuromińskiego” realizowany przez Powiat Żuromiński, Warszawa, styczeń 2018 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka – wspólne podstawy oceny”, z października 2017.





## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**Opinia Rady Przejrzystości  
nr 34/2018 z dnia 5 lutego 2018 roku  
o projekcie programu „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania  
wad postawy, nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół  
podstawowych w Gminie Mirzec”**

*Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy, nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych w Gminie Mirzec”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.*

### **Uzasadnienie**

*Przedmiotem opinii jest program polityki zdrowotnej z zakresu wczesnego wykrywania wad postawy oraz nadwagi i otyłości, zaplanowany na okres 2018-2023 r. Program skierowany jest do dzieci uczęszczających do klas III szkoły podstawowej (ok. 366 dzieci) oraz ich rodziców/opiekunów prawnych. W ramach programu realizowane będą interwencje w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy (edukacja zdrowotna dzieci i rodziców, konsultacja lekarza rehabilitacji medycznej, cykl 10 zajęć w ramach gimnastyki korekcyjnej grupowej, cykl 10 zajęć w ramach indywidualnej kinezyterapii, kontrolna wizyta u lekarza rehabilitacji medycznej) oraz nadwagi i otyłości (edukacja zdrowotna dzieci i rodziców, badania przesiewowe, 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). Z programu w ramach edukacji zdrowotnej będą mogli również skorzystać rodzice/opiekunowie prawni uczniów III klasy podstawowej. Głównym założeniem programu jest „poprawa stanu zdrowia populacji dzieci w Gminie Mirzec poprzez profilaktykę i wczesne wykrywanie wad postawy, nadwagi i otyłości wśród uczniów klas III szkół podstawowych w latach 2018-2023”.*

*Dodatkowo w treści projektu programu wskazano 11 celów szczegółowych uzupełniających przytoczony powyżej cel główny. Wnioskodawca wskazał także mierniki efektywności. W treści projektu zaproponowano również cztery mierniki efektywności odnoszące się do planowanych działań edukacyjnych. W projekcie*



odniesiono się do kryteriów włączenia dzieci do planowanych interwencji. Wnioskodawca opisał sposób zakończenia udziału w programie będą mogli w każdym momencie zdecydować o zakończeniu udziału dziecka w programie. Koordynatorem programu będzie Urząd Gminy Mirzec. Natomiast realizatorem programu zostanie podmiot leczniczy wyłoniony w drodze konkursu ofert, co pozostaje w zgodzie z zapisami ustawowymi. Realizator będzie musiał spełniać kryteria lokalowe, sprzętowe oraz kadrowe przewidziane przepisami dla realizacji zadań z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Planowany całkowity budżet realizacji programu oszacowano na 52 158 zł. Okres realizacji programu przewidziano na lata 2018-2023. Program ma być finansowany z budżetu Gminy Mirzec. Wnioskodawca będzie się starał o dofinansowanie 40% kosztów działań realizowanych w programie przez NFZ.

Jest to rzetelnie, szczegółowo przygotowany program polityki zdrowotnej zgodnie z obowiązującymi rekomendacjami. Pewne wątpliwości mogą być związane z częścią programu z zakresu wczesnego wykrywania wad postawy, ze względu na m. in. niejednoznaczne rekomendacje, niezalecenie wykonywania bad. rtg w tej grupie wiekowej, możliwość dublowania świadczeń gwarantowanych.

Rekomendacje AAOS, SRS, POSNA i AAP z 2015 r. wskazują, że aby program profilaktyczny był skuteczny, musi być prowadzony przez dobrze wyszkolony personel, który odpowiednio przeprowadzi rekomendowany test Adamsa oraz wykona pomiary skoliometrem, co umożliwi poprawne zidentyfikowanie osób z młodzieńczą skoliozą idiopatyczną. W treści tego projektu programu zaznaczono, że badania zostaną przeprowadzone przez lekarza rehabilitacji medycznej

Projekt posiada uchybienia wymagające poprawienia zgodnie z opracowaniem analityków AOTMiT:

- różnicę pomiędzy podaną przez wnioskodawcę i pozyskaną przez analityka wielkością populacji docelowej kwalifikującej się do programu w pierwszym roku jego trwania (rok szkolny 2018/2019),
- cele główne i szczegółowe nie w pełni zgodne z zasadą S.M.A.R.T.,
- niektóre mierniki efektywności nie odnoszą się bezpośrednio do celów szczegółowych,
- w treści projektu programu nie zaznaczono jakie narzędzie posłuży ocenie kąta rotacji tułowia /KRT/ oraz nie odniesiono się do wartości progowych KRT kwalifikujących do kolejnego etapu programu,
- w treści projektu nie sprecyzowano w jakich przypadkach nastąpi wydanie skierowania na badanie RTG i/lub rehabilitację leczniczą wraz ze wskazaniem rodzicom konkretnego podmiotu leczniczego, w którym dzieci

*będą mogły podjąć leczenie w ramach finansowania przez publicznego płatnika,*

- *część działań zaplanowanych przez wnioskodawcę do wykonania podczas konsultacji lekarskich, pokrywa się z świadczeniami realizowanymi w ramach bilansu zdrowia dziecka w klasie III, jednak nie dubluje 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.441.375.2017 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania wad postawy, nadwagi i otyłości wśród dzieci klas III szkół podstawowych w Gminie Mirzec” realizowany przez Gminę Mirzec, Warszawa, styczeń 2018 oraz Aneksów do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki i korekcji wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny” ze stycznia 2017, „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2016 oraz „Edukacja w zakresie zdrowego odżywiania oraz profilaktyka i leczenie nadwagi i otyłości – wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2016.