



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.9.2019.MKZ

Protokół nr 7/2019
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 18 lutego 2019 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Agencja)

Posiedzenie otworzył Rafał Niżankowski o godzinie 10:17.

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni w chwili rozpoczęcia posiedzenia (wymagane kworum: 7 osób):

1. Anna Cieślik
2. Anna Gręziak
3. Michał Myśliwiec
4. Rafał Niżankowski – prowadził posiedzenie
5. Tomasz Pasierski
6. Janusz Szyndler
7. Dariusz Tereszowski-Kamiński
8. Anetta Undas

Prowadzący przedstawił proponowany porządek obrad:

1. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
2. Zgłaszanie przez członków Rady i omówienie potencjalnych konfliktów interesów.
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku *Humira (adalimumab)* we wskazaniu: łupież czerwony mieszkowy (ICD 10: L44.0).
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanej z zagranicy w ramach importu docelowego żywności specjalnego przeznaczenia medycznego: *L Carnitine Crystalline* we wskazaniu: deficyt dehydrogenazy acylo-CoA średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego współfinansowanego przez UE w ramach EFS „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie zapobiegania depresji wśród dzieci i młodzieży szkolnej” (Woj. Mazowieckie).
6. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Program profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Zielona Góra powyżej 65 r.ż.”,
 - 2) „Szczepienia przeciwko wirusowi HPV w ramach profilaktyki raka szyjki macicy wśród 12-letnich dziewcząt” (miasto Zielona Góra),
 - 3) „Program polityki zdrowotnej dotyczący profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego HPV w Gminie Nowogród Bobrzański na lata 2019-2021”,



- 4) „Zdrowe żywienie w kontekście nadwagi i otyłości – program skierowany do uczniów szkół podstawowych” (miasto Zielona Góra).
7. Sprawy organizacyjne Rady.
8. Przygotowanie opinii nt. zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną *acidum folicum* we wskazaniu: schorzenia reumatyczne – u pacjentów leczonych metotreksatem.
9. Przygotowanie opinii nt. zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne: *nitrendipinum*, *amlodipinum* we wskazaniu: objaw Raynauda związany z twardziną układową - leczenie pierwszoliniowe.
10. Przygotowanie opinii nt. zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną *budesonidum* we wskazaniu: wirusowe zapalenie krtani u dzieci do 18 roku życia.
11. Losowanie składu Zespołu Rady na kolejne posiedzenia.
12. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Dariusz Tereszowski-Kamiński wskazał na konieczność wcześniejszego opuszczenia posiedzenia, w związku z czym prowadzący zaproponował zmianę porządku obrad w taki sposób, aby temat prezentowany przez Dariusza Tereszowskiego-Kamińskiego został omówiony jako pierwszy w ramach punktu obrad dotyczącego programów polityki zdrowotnej.

Tak zmieniony porządek obrad został przyjęty jednogłośnie (8 osób „za”) w brzmieniu:

1. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
2. Zgłaszanie przez członków Rady i omówienie potencjalnych konfliktów interesów.
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Humira (adalimumab) we wskazaniu: łupież czerwony mieszkowy (ICD-10: L44.0).
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację sprowadzanej z zagranicy w ramach importu docelowego żywności specjalnego przeznaczenia medycznego: L Carnitine Crystalline we wskazaniu: deficyt dehydrogenazy acylo-CoA średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego współfinansowanego przez UE w ramach EFS „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie zapobiegania depresji wśród dzieci i młodzieży szkolnej” (Woj. Mazowieckie).
6. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Zdrowe żywienie w kontekście nadwagi i otyłości – program skierowany do uczniów szkół podstawowych” (miasto Zielona Góra).
 - 2) „Program profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Zielona Góra powyżej 65 r.ż.”,
 - 3) „Szczepienia przeciwko wirusowi HPV w ramach profilaktyki raka szyjki macicy wśród 12-letnich dziewcząt” (miasto Zielona Góra),
 - 4) „Program polityki zdrowotnej dotyczący profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego HPV w Gminie Nowogród Bobrzański na lata 2019-2021”,
7. Sprawy organizacyjne Rady.
8. Przygotowanie opinii nt. zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną *acidum folicum* we wskazaniu: schorzenia reumatyczne – u pacjentów leczonych metotreksatem.

9. Przygotowanie opinii nt. zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne: nitrendipinum, amlodipinum we wskazaniu: objaw Raynauda związany z twardziną układową - leczenie pierwszoliniowe.
10. Przygotowanie opinii nt. zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną budesonidum we wskazaniu: wirusowe zapalenie krtani u dzieci do 18 roku życia.
11. Losowanie składu Zespołu na kolejne posiedzenia Rady.
12. Zakończenie posiedzenia.

Ad 2. Na zapytanie prowadzącego, żaden z członków Rady nie zgłosił, aby występował u niego konflikt interesów w związku z tematami planowanymi do omówienia.

Ad 3. Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie analizy piśmiennictwa, dotyczącej zastosowania leku Humira w łupieżu czerwonym mieszkowym.

Na posiedzenie przybył Artur Zaczyński i oświadczył, że nie występuje u niego konflikt interesów w odniesieniu do tematów objętych dzisiejszym porządkiem obrad. Od tej chwili Rada obraduje w składzie 9 członków.

Propozycję opinii przedstawił Janusz Szyndler.

W dyskusji głos zabrali: Rafał Nizankowski i Michał Myśliwiec. Sformułowali treść opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (9 osób „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji przedstawił główne elementy analizy literatury naukowej, dotyczącej zasadności stosowania krystalicznej L Carnityny u pacjentów z deficytem enzymu dehydrogenazy acylo-CoA średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych.

Na posiedzenie przybył Jakub Pawlikowski. Na pytanie prowadzącego odpowiedział, iż nie ma konfliktu interesów w odniesieniu do tematów posiedzenia. Rada obraduje od tej chwili w składzie 10 członków.

Zasadności wydawania zgody na refundację sprowadzanej z zagranicy, w ramach importu docelowego, krystalicznej l-karnityny omówił Michał Myśliwiec i przedstawił propozycję stanowiska Rady w tej kwestii. W dyskusji zwrócono uwagę na dostępność l-karnityny w odżywkach dla sportowców. Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 osób „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji omówił wnioskowany program polityki zdrowotnej z zakresu zapobiegania depresji wśród dzieci i młodzieży szkolnej, współfinansowany przez UE w ramach EFS.

Głos zabrali: Rafał Nizankowski oraz Janusz Szyndler, po czym propozycję opinii Rady przedstawił Artur Zaczyński.

W toku dyskusji Rafał Nizankowski, Artur Zaczyński, Janusz Szyndler i Anna Gręziak zmodyfikowali treść opinii. Rada 8 głosami „za”, przy 2 „przeciw” (10 osób obecnych), uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 6. 1) Analitik Agencji przedstawił analizę programu polityki zdrowotnej z zakresu zdrowego żywienia w kontekście nadwagi i otyłości. Następnie, propozycję opinii Rady przedstawił Dariusz Tereszowski-Kamiński.

W dyskusji głos zabrali: Michał Myśliwiec, Janusz Szyndler i Rafał Niżankowski. Sformułowali zmodyfikowaną treść opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada 7 głosami „za”, przy 3 głosach „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

2) Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej z zakresu profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie. Następnie, Anna Gręziak przedstawiła propozycję opinii Rady.

W dyskusji udział wzięli: Janusz Szyndler, Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec i Anna Gręziak, w wyniku czego sformułowali treść opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 osób „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

3) Analitik Agencji zaprezentował uwagi do programu polityki zdrowotnej z zakresu szczepień przeciwko wirusowi HPV. Następnie, propozycję opinii Rady przedstawiła Anna Cieślik.

W toku dyskusji Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec, Anna Cieślik i Janusz Szyndler modyfikowali treść opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 osób „za”) przyjęła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

4) Analitik Agencji podsumował informacje dotyczące programu polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego HPV. Następnie, propozycję opinii Rady omówiła Anna Cieślik.

Dyskutowali nad nią Rafał Niżankowski oraz Anna Cieślik i ostatecznie dokonali korekt treści opinii Rady, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 osób „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 7. Z uwagi na pilność omówienia i podjęcia decyzji w dalszych punktach porządku posiedzenia, prowadzący zdecydował o przesunięciu tego punktu porządku obrad, dotyczącego spraw organizacyjnych Rady, na koniec posiedzenia.

Ad 8. Propozycję opinii Rady w sprawie zasadności objęcia refundacją leków zawierających kwas foliowy (substancję czynną *acidum folicum*), przy stosowaniu u pacjentów leczonych metotreksatem z powodu schorzeń reumatycznych, przedstawił Tomasz Pasierski. Następnie, dyskusję prowadzili Rafał Niżankowski i Tomasz Pasierski, uzgadniając finalną treść opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 osób „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 9. Propozycję opinii w sprawie substancji czynnych: *nitrendipinum* i *amlodipinum*, stosowanych u pacjentów z objawami Raynaud’a w przebiegu twardziny układowej, przedstawiła Anetta Undas. W dyskusji głos zabrali: Rafał Niżankowski, Anetta Undas i Michał Myśliwiec.

Sformułowali treść opinii dotyczącej nitrendypiny, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 osób „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

W związku z brakiem innych głosów wobec propozycji opinii dotyczącej amlodypiny, analogicznie sformułowano treść opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 osób „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

Ad 10. Propozycję opinii w sprawie substancji czynnej *budesonidum*, stosowanej w wirusowym zapaleniu krtani u dzieci do 18 roku życia, przedstawił Jakub Pawlikowski. W dyskusji głos zabrali: Michał Myśliwiec, Rafał Niżankowski, Jakub Pawlikowski i Tomasz Pasierski. W toku tej dyskusji sformułowano treść opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 osób „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

cd. Ad 7. Na wniosek Anetty Undas, Rada przedyskutowała kwestie związane z wprowadzeniem zmian zapisów w Regulaminie Organizacyjnym Rady, dotyczących losowania do składów Zespołów na posiedzenia Rady. Anetta Undas zaproponowała, aby losowania przeprowadzane były na okres co najmniej 3 miesięcy. W związku z tym, Rada omawiała także problem zapewnienia kworum na posiedzeniach.

Ad 11. Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie Rady w dniu 18 marca 2019 r.

Ad 12. Po wyczerpaniu porządku obrad przewodniczący zakończył posiedzenie o godzinie 12:25



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 40/2019 z dnia 18 lutego 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Humira (adalimumab) we wskazaniu: łupież czerwony mieszkowy (ICD-10: L44.0)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Humira (adalimumab), roztwór do wstrzykiwań o 40mg/0,8 ml, we wskazaniu: łupież czerwony mieszkowy (ICD-10: L44.0), pod warunkiem stosowania u chorych z chorobą oporną na leczenie, po udokumentowaniu nieskuteczności leków pierwszo- i drugoliniowych.

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Wniosek dotyczy zasadności zastosowania w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Humira (adalimumab), we wskazaniu łupież czerwony mieszkowy u pacjenta pediatrycznego w wieku 8 lat i 9 miesięcy. Łupież czerwony mieszkowy (pityriasis rubra pilaris – PRP) jest rzadką, niejednorodną grupą dermatoz o nieznannej etiologii. Zmiany złuszcząco-rumieniowe początkowo dotyczą twarzy i owłosionej skóry głowy oraz rąk, następnie szerzą się, zajmując całą skórę z pozostawieniem „rezerw”. Według opinii eksperta, PRP jest chorobą przewlekłą, nawrotową, wymagającą przewlekłej terapii, a jej przebieg jest trudny do przewidzenia.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

W odnalezionym przeglądzie systematycznym Napolitano 2018 analizowano skuteczność i bezpieczeństwo adalimumabu u dwudziestu pacjentów z opornym na leczenie PRP. Adalimumab podawano w początkowej dawce 80 mg, a następnie 40 mg dwa razy w miesiącu przez okres od kilku tygodni do kilku miesięcy. U części pacjentów poddanych ocenie stosowano także inne terapie immunosupresyjne (między innymi acytretynę bądź metotreksat). Odpowiedź całkowitą uzyskano u 50% pacjentów, a częściową u 25%. Wyniki analizy wskazują na skuteczność adalimumabu we wnioskowanym wskazaniu, jednakże dostępne dowody są bardzo ograniczone.



Bezpieczeństwo stosowania

Lek jest dostępny od wielu lat w innych wskazaniach, a jego profil bezpieczeństwa został dosyć dobrze poznany. W przeglądzie Napolitano 2018 zdarzenia niepożądane wystąpiły u trzech pacjentów i dotyczyły przewodu pokarmowego (zwiększenie aktywności enzymów wątrobowych, wystąpienie chłoniaka grudkowego nieziarnicznego i zespół wstrząsu toksycznego).

Stosowanie adalimumabu może być także związane z ryzykiem wystąpienia ciężkich zakażeń, w tym gruźlicy, posocznicy bakteryjnej, inwazyjnego zakażenia grzybiczego (np. histoplazmozy) lub innego zakażenia oportunistycznego. Zgłaszano przypadki chłoniaków i innych nowotworów złośliwych, a w badaniach postmarketingowych obserwowano przypadki wątrobowo-śledzionowego chłoniaka T-komórkowego u młodzieży i młodych dorosłych z chorobami zapalnymi jelit.

Według informacji zawartymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL) do bardzo często występujących działań niepożądanych należą: zakażenia dróg oddechowych, leukopenia, niedokrwistość, zwiększenie stężenia lipidów, bóle głowy, bóle brzucha, nudności i wymioty, zwiększenie aktywności enzymów wątrobowych, wysypka, bóle mięśniowo-szkieletowe oraz odczyny w miejscu wstrzyknięcia.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Produkt leczniczy Humira nie posiada rejestracji we wnioskowanym wskazaniu (także w populacji pediatrycznej) i relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania jest trudna do oszacowania.

Konkurencyjność cenowa

Produkt leczniczy Humira (adalimumab) nie jest aktualnie refundowany w Polsce we wnioskowanym wskazaniu. Koszt netto 3-miesięcznej terapii wynosi, w zależności od oszacowania, od około 3,6 tys. zł do około [REDACTED]

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

Na podstawie opinii eksperta klinicznego wielkość populacji docelowej została oceniona na 10-20 pacjentów rocznie. Zgodnie z tym oszacowaniem, koszt 3-miesięcznego leczenia adalimumabem, według ceny leku wskazanej w zleceniu, wyniesie od około [REDACTED] (od około 35 tys. zł do około 120 tys. zł, wg. komunikatu DGL).

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

Komparatorami dla wnioskowanej technologii są inne leki działające na TNF α (infliksymab oraz etanercept). Są one wskazywane jako inne opcje terapeutyczne, poza adalimumabem, w przypadku niepowodzenia

wcześniejszymi terapiami. Komparatory również nie są refundowane w omawianym wskazaniu. Brak jest też badań porównujących adalimumab z infliksymabem oraz etanerceptem.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, nr: OT.422.7.2019 „Humira (adalimumab) we wskazaniu: łupież czerwony mieszkowy (ICD-10: L44.0) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych”. Data ukończenia: 13 lutego 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust.2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 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: AbbVie Polska Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 14/2019 z dnia 18 lutego 2019 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację żywności
specjalnego przeznaczenia medycznego L-Carnitine Crystalline
we wskazaniu: deficyt dehydrogenazy acylo-CoA
średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCADD)

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację żywności specjalnego przeznaczenia medycznego L-Carnitine Crystalline, proszek á 1 mg, we wskazaniu: deficyt dehydrogenazy acylo-CoA średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCADD).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia zlecił zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację żywności specjalnego przeznaczenia medycznego L-Carnitine Crystalline we wskazaniu: deficyt dehydrogenazy acylo-CoA średnio-łańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCADD). Produkt nie znajduje się w obrocie na terenie Rzeczypospolitej Polskiej. Choroba jest wrodzonym defektem mitochondrialnego utleniania kwasów tłuszczowych. Charakteryzuje się szybko postępującym załamaniem metabolicznym, które objawia się hipoglikemią hipoketotyczną, letargiem, wymiotami, drgawkami i śpiączką. Stan ten może doprowadzić do śmierci. Pierwsze objawy MCADD zwykle występują od 3 do 24 miesięcy po urodzeniu, u dzieci dotąd uważanych za zdrowe. Podstawą leczenia jest regularne żywienie i unikanie głodzenia.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono randomizowanych badań klinicznych dotyczących stosowania L-karnityny u pacjentów z MCADD. Odnalezione dane są niskiej jakości i nie pozwalają na jednoznaczne ustalenie efektu terapeutycznego L-karnityny. Dodatkowo, w badaniach nad stosowaniem L-karnityny w MCADD pacjenci stosowali również inne leki i interwencje, co zakłócało wiarygodną ocenę efektu. Niepewność co do wnioskowania na temat ocenianej technologii potwierdza przegląd systematyczny Cochrane Collaboration z 2012 roku (Nasser 2012), w którym brak jest badań RCT. Autorzy sugerują, że z uwagi na brak dowodów wysokiej jakości, klinicyści powinni opierać swoje decyzje na doświadczeniu



klinicznym. Brak jest dowodów zarówno na skuteczność, jak i bezpieczeństwo karnityny, a także brak jest danych dotyczących dawki i częstotliwości jej stosowania. Podobne wnioski wysunęli autorzy przeglądu Walter 2003. Odnalezione dane kliniczne małych serii przypadków nie są jednoznaczne, jednak sugerują brak skuteczności L-karnityny w MCADD.

Rekomendacje międzynarodowych towarzystw (AHS 2018 i IDPH 2012) wymieniają karnitynę jako możliwą terapię osób z deficytem MCADD, w zależności od specyficznych zaburzeń. Wytyczne NHS 2016 wyszczególniają, iż zastosowanie L-karnityny w MCADD jest kontrowersyjne.

Problem ekonomiczny

Z powodu braku danych nie jest możliwe precyzyjne i wiarygodne oszacowanie kosztów związanych z refundacją żywności specjalnego przeznaczenia medycznego L-Carnitine Crystalline w ocenianym wskazaniu. Dobowy koszt stosowania w przeliczeniu na 1 kg masy ciała pacjenta mieści się, w zależności od dawkowania, w zakresie od 1,36 zł (15 mg/kg m.c.) do 9,07 zł (100 mg/kg m.c.). Przyjmując populację docelową na poziomie 40 pacjentów oraz skrajnie pesymistyczne założenia (dawkowanie: 100 mg/kg m.c.; masa ciała: 40 kg i stosowanie przez cały rok) koszty związane z refundacją L-Carnitine Crystalline mogą wynieść około 5,3 mln zł na rok.

Główne argumenty decyzji

Brak jest przekonujących dowodów naukowych na efektywność L-karnityny w MCADD.

Eksperti zwracają uwagę, że podstawowym leczeniem w MCADD jest stosowanie regularnych posiłków oraz unikanie przedłużonego głodzenia.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r. poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr: OT.4311.35.2018 „L-Carnitine Crystalline we wskazaniu: deficyt dehydrogenazy acylo-CoA średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCADD)”. Data ukończenia: 13.02.2019 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 41/2019 z dnia 18 lutego 2019 roku
o projekcie programu „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie
zapobiegania depresji wśród dzieci i młodzieży szkolnej”
(woj. mazowieckie)

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie zapobiegania depresji wśród dzieci i młodzieży szkolnej” (woj. mazowieckie).

Uzasadnienie

Pismo o numerze ZD-Z-II.9011.13.2018.AK z dn. 19.12.2018 r. z prośbą o opinię nt. projektu programu polityki zdrowotnej (PPZ) pt. „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie zapobiegania depresji wśród dzieci i młodzieży szkolnej” wpłynęło do Agencji w dn. 19.12.2018 r., co wyznacza ustawowy termin wydania opinii na 19.02.2019 r. Do pisma załączono projekt programu. Przesłane materiały uznano za wystarczające do przeprowadzenia oceny.

Przedmiotem oceny jest projekt PPZ zaplanowany do realizacji przez województwo mazowieckie w zakresie zapobiegania depresji wśród dzieci i młodzieży szkolnej. Działania będą skierowane do 8384 osób (ok. 1% populacji docelowej – liczba dzieci i młodzieży woj. mazowieckiego oceniana jest na ponad 680 tys.). Program będzie obejmował badanie przesiewowe w kierunku wykrycia depresji; pojedynczą konsultację ze specjalistą psychiatrii dziecięcej dzieci z pozytywnym wynikiem badania przesiewowego; działania informacyjno-edukacyjne oraz fakultatywnie działania informacyjno-szkoleniowe dla wybranych grup zawodowych. Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na 5 347 375 zł. Program ma być współfinansowany ze środków Europejskiego Funduszu Społecznego.

Głównym założeniem projektu programu jest „wzrost wykrywalności zaburzeń depresyjnych wśród dzieci i młodzieży szkolnej, na terenie województwa mazowieckiego, uczestniczących w programie w latach 2019-2022”. W projekcie wskazano również 4 cele szczegółowe, tj. (1) „zwiększenie dostępności do badań przesiewowych w kierunku depresji, na terenie województwa mazowieckiego w latach 2019-2022”, (2) „wzrost poziomu wiedzy na temat problematyki zaburzeń depresyjnych wśród uczestników



programu”, (3) „wzrost poziomu wiedzy na temat dostępnych świadczeń medycznych w zakresie leczenia depresji wśród uczestników programu” oraz (4) „wzrost wiedzy i umiejętności z zakresu diagnozy depresji oraz psychoterapii depresji wybranych grup zawodowych”.

Cele nie zostały sformułowane w pełni zgodnie z zasadą S.M.A.R.T. (m.in. nie przedstawiono konkretnych wartości, do jakich chce dążyć wnioskodawca). Dobrze sformułowany cel powinien być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie. Wnioskodawca przedstawił również 19 mierników efektywności. Zgodnie z definicją mierniki efektywności powinny być istotnym odzwierciedleniem zdarzeń lub faktów występujących w danym programie wyrażonych w odpowiednich jednostkach miary. W projekcie programu przytoczono wskaźniki do wszystkich celów szczegółowych. Należy jednak podkreślić, że część mierników w postaci: „liczby podmiotów, w których została udostępniona informacja o możliwości udziału w programie”, „łącznej liczby osób aplikujących do programu w danym roku”, „łącznej liczby osób, które zakwalifikowano do udziału w programie w danym roku”, „łącznej liczby rezygnacji z dalszego uczestnictwa w programie w danym roku”, „łącznej liczby osób, dla których przeprowadzono działania informacyjno-edukacyjne”, „liczby dzieci i młodzieży, dla których przeprowadzono działania informacyjno-edukacyjne”, „liczby rodziców/opiekunów prawnych i innych osób z najbliższego otoczenia uczestnika programu, dla których przeprowadzono działania informacyjnoedukacyjne” nie odnoszą się bezpośrednio do celów programu. Ponadto, mierniki w postaci „liczby przeprowadzonych działań informacyjno-szkoleniowych dla personelu medycznego, lekarzy, pielęgniarek, psychologów, pracowników oświaty, kadry pedagogicznej, pracowników kuratoriów, pracowników ośrodków pomocy społecznej, policjantów i innych służb mundurowych” oraz „liczby osób, którym przeprowadzono działania informacyjno-szkoleniowe dla powyższych grup” nie będą miarodajne w kontekście celu dotyczącego wzrostu wiedzy i umiejętności z zakresu diagnozy depresji, gdyż sama liczba spotkań czy liczba osób w nich uczestniczących nie wpływa bezpośrednio na przyswojenie informacji. Dopiero dzięki sprawdzeniu wiedzy przed i po udziale w programie, np. za pomocą ankiety, możliwe będzie obiektywne i precyzyjne zmierzenie stopnia realizacji ww. celu. Okres realizacji programu został wyznaczony na lata 2019-2022. W konkluzji należy stwierdzić, iż wnioskodawca nie uwzględnił jakiegokolwiek miernika efektu medycznego.

Oceniany projekt PPZ odnosi się do istotnego problemu zdrowotnego, jakim jest depresja występująca wśród dzieci i młodzieży. Wnioskodawca przedstawił szczegółowe informacje uwzględniające definicję depresji, jej objawy, przyczyny oraz zaburzenia często współwystępujące z depresją. Wskazano także sposoby jej leczenia. Należy zaznaczyć, że opiniowany projekt wpisuje się w następujące

priorytety: „zapobieganie, leczenie i rehabilitacja zaburzeń psychicznych” 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”, należące do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 21 sierpnia 2009 r. (Dz.U. 2009, Nr 137, poz. 1126).

Program jest zbieżny z celem Narodowego Programu Zdrowia (NPZ) na lata 2016-2020: „profilaktyka problemów zdrowia psychicznego i poprawa dobrostanu psychicznego społeczeństwa”. Warto zaznaczyć, że w omawianej części projektu odniesiono się również do Narodowego Programu Ochrony Zdrowia Psychicznego na lata 2017-2022. W treści projektu przedstawiono ogólnoswiatowe, ogólnopolskie oraz regionalne dane epidemiologiczne korespondujące z wybranym problemem zdrowotnym. Wskazano, że zgodnie z informacjami WHO (ang. World Health Organization, Światowa Organizacja Zdrowia) łączna liczba osób żyjących z depresją na świecie wynosi 322 miliony i stanowi 4,4% globalnego obciążenia wszystkimi chorobami. Dane dotyczące odsetka dzieci i młodzieży wykazującego zaburzenia psychiczne, w stopniu wymagającym pomocy profesjonalnej, są dość zgodne w wielu krajach i oscylują w granicach 10% populacji ogólnej dzieci i młodzieży. W Polsce odsetek ten wynosi minimum 9%, co oznacza, że pomocy systemu leczenia psychiatrycznego i psychologicznego wymaga około 630 000 dzieci i młodzieży poniżej 18. roku życia. Jednak program ma objąć bardzo niewielką część populacji dzieci i młodzieży, a nie przedstawiono jakichkolwiek dowodów naukowych, aby tego typu wczesne wykrywanie, bez intensywnego leczenia, dało pozytywne efekty zdrowotne. Tymczasem, jak wynika z informacji uzyskanych przez Agencję, kolejka do psychiatrów dziecięcych w woj. mazowieckim w tej chwili wynosi ok. 2 miesięcy, a realizacja programu zwiększyłaby czas oczekiwania.

Zgodnie z mapą potrzeb zdrowotnych w zakresie zaburzeń psychicznych, w 2016 roku w województwie mazowieckim odnotowano 350 hospitalizacji z powodu rozpoznań zakwalifikowanych jako zaburzenia zachowania oraz mieszane zaburzenia zachowania i emocji, co stanowiło 0,92% wszystkich hospitalizacji z powodu rozpoznań, które zakwalifikowano do grupy: choroby psychiczne. W woj. mazowieckim odnotowano 4 najmniejszą liczbę hospitalizacji na 100 tys. dzieci.

W województwie mazowieckim liczba poradni zdrowia psychicznego dla dzieci, które w 2016 roku sprawozdały co najmniej jedną poradę w ramach NFZ wyniosła 25. W województwie udzielono nieco ponad 86 tys. porad. Najwięcej porad (16,92 tys.) udzielono z powodu zaburzeń nerwicowych związanych

ze stresem i postacią somatyczną. W ramach PPZ zaplanowano realizację następujących interwencji:

1. *Badanie przesiewowe w kierunku wykrycia depresji (prowadzone przez jednego z wymienionych specjalistów: magistra psychologii/magistra psychologii klinicznej/psychoterapeutę/psychiatrę/psychiatrę dzieci i młodzieży/lekarza w trakcie specjalizacji z psychiatrii dzieci i młodzieży), przy użyciu jednego z kwestionariuszy: PHQ-9, skala depresji Becka, skala samooceny depresji Zunga, skala depresji CES-D, skala oceny depresji Hamiltona.*
2. *Konsultacje ze specjalistą (lekarzem ze specjalizacją z zakresu psychiatrii, psychiatrą lub psychiatrą dzieci i młodzieży) dla uczestników, którzy uzyskają pozytywny wynik w badaniu przesiewowym. Podczas konsultacji przeprowadzony zostanie pogłębiony wywiad, podczas którego zostanie postawiona diagnoza lub zostaną wydane zalecenia dotyczące dalszego badania z zastosowaniem wystandaryzowanych klinicznych narzędzi oceny stanu psychicznego.*
3. *Dostosowane do wieku uczestników działania informacyjno-edukacyjne (prowadzone przez jednego z wymienionych specjalistów: magistra psychologii/magistra psychologii klinicznej/psychoterapeutę/psychiatrę/psychiatrę dzieci i młodzieży/lekarza w trakcie specjalizacji z psychiatrii dzieci i młodzieży/pielęgniarkę). Działania informacyjno-edukacyjne będą miały za zadanie podnieść poziom świadomości uczestników programu na temat zaburzeń depresyjnych, zwiększyć znajomość problematyki depresji, świadomość w zakresie możliwości wczesnej identyfikacji i zapobiegania zaburzeniom depresyjnym oraz podnieść poziom wiedzy uczestników na temat dostępnych świadczeń medycznych w zakresie leczenia depresji.*
4. *Fakultatywne działania informacyjno-szkoleniowe dla wybranych grup zawodowych, skierowane m.in. do personelu medycznego, lekarzy, pielęgniarek, psychologów, pracowników oświaty, kadry pedagogicznej, pracowników kuratoriów, pracowników ośrodków pomocy społecznej, policjantów i innych służb mundurowych. Tematyka: diagnoza zaburzeń depresyjnych – objawy, czyli jak nie przeoczyć depresji i nie pomylić jej z innym zaburzeniem psychicznym; patogeneza depresji, metody psychoterapii; wpływ osobowości na przejawy depresji i jej konsekwencje dla terapii; mechanizmy psychologiczne, czynniki ryzyka, postępowanie w terapii z pacjentami mającymi myśli samobójcze; rola relacji terapeutycznej; zasady pracy z emocjami.*

W projekcie zawarto koszty jednostkowe oraz koszt całkowity. Koszt jednostkowy został oszacowany na 637,78 zł. Składa się na niego koszt

kwalfikacji uczestnika do programu (63,71 zł), badanie przesiewowe w kierunku wykrycia depresji (109,91 zł), konsultacja ze specjalistą (167,56 zł), działania informacyjno-edukacyjne (100,93 zł), fakultatywne działania informacyjno-szkoleniowe dla wybranych grup zawodowych (89,37 zł) oraz koszty pośrednie (106,30 zł). Powyższa kwota została wyliczona na podstawie analizy wycen przygotowanych na prośbę autorów programu, m.in. przez jednostki samorządu terytorialnego (jst) z terenu Mazowsza, szpitale o profilu psychiatrycznym czy Polskie Towarzystwo Psychiatryczne. W oszacowaniu kosztu jednostkowego nie uwzględniono jednak kosztu edukacji rodziców/opiekunów prawnych. Projekty, w których koszt jednostkowy poszczególnych modułów będzie przekraczał wysokość przyjętych w tym kryterium, nie otrzymają dofinansowania. Wnioskodawca wskazał jednak, że „na etapie tworzenia projektów dopuszczalna jest zmiana wysokości kosztu jednostkowego poszczególnych elementów, jednak projekt musi spełniać kryterium kosztu jednostkowego określonego w regulaminie konkursu”. Zweryfikowane koszty interwencji przez Agencję są zbliżone do cen przedstawionych przez wnioskodawcę.

Mając powyższe na uwadze, Rada opiniuje jak na wstępie.

Rada jest skłonna rozważyć ponownie projekt programu profilaktyki depresji u dzieci i młodzieży, pod warunkiem zapewnienia przez program, iż dzieci, u których stwierdzono depresję, będą objęte właściwą terapią oraz że program obejmie istotną część populacji docelowej (najlepiej całą).

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.237.2018 „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie zapobiegania depresji wśród dzieci i młodzieży szkolnej” realizowany przez: Województwo mazowieckie, Warszawa, luty 2019 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy zdrowotne z zakresu zdrowia psychicznego – wspólne podstawy oceny”, luty 2015 r. i Raportu oceny o nr OT.441.16.2018 dot. programu polityki zdrowotnej pn. „Program ochrony zdrowia psychicznego dzieci szkolnych w Gminie Pszczyna”.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 42/2019 z dnia 18 lutego 2019 roku

o projekcie programu „Zdrowe żywienie w kontekście nadwagi i otyłości – program skierowany do uczniów szkół podstawowych”
(m. Zielona Góra)

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Zdrowe żywienie w kontekście nadwagi i otyłości – program skierowany do uczniów szkół podstawowych” (m. Zielona Góra).

Uzasadnienie

Cel główny: zmniejszenie zachorowalności na choroby związane ze stylem życia na terenie Miasta Zielona Góra poprzez wczesne wykrywanie nadwagi i otyłości u dzieci z klas I-VIII szkół podstawowych oraz przeprowadzenie interwencji edukacyjnych wśród dzieci i rodziców/opiekunów uczestników programu w 2019 r.

Populacja: dzieci uczęszczające do klas I-VIII szkół podstawowych (ok. 60% populacji docelowej) oraz rodzice/opiekunowie prawni dzieci objętych programem.

Projekt programu realizuje priorytet: „przeciwdziałanie nadwadze i otyłości” należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).

Okres realizacji programu zaplanowano na 2019 r., z możliwością kontynuacji w latach następnych. Przeprowadzone w ramach programu działania edukacyjne powinny skutkować długofalowymi efektami zdrowotnymi.

Co prawda pomiary antropometryczne (masa ciała, wzrost, wskaźnik BMI) znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych pielęgniarki lub higienistki szkolnej udzielanych w środowisku nauczania i wychowania, jednakże w ramach świadczeń finansowanych z budżetu Państwa nie jest dostępny kompleksowy, interdyscyplinarny system leczenia otyłości, w tym brak jest zwłaszcza finansowania działań związanych z profilaktyką i edukacją prozdrowotną.

Wnioski z przeprowadzonej analizy skuteczności klinicznej programu wskazują, że interwencje z udziałem rodziców/nauczycieli mogą być efektywne (Summerbell 2009, Seo 2010, Van Cauwenberghe 2010, Wofford 2008, Wilson 2003). Środowisko domowe dzieci ma znaczny wpływ na wagę dzieci, na nawyki



żywieniowe, aktywność fizyczną i modele zachowań (Kropski 2008) oraz dostępne choć nieliczne dane na temat efektywności kosztowej wskazują na potencjalną zasadność kosztową programów profilaktyki otyłości (Loveman 2011).

Interwencje behawioralno-motywacyjne zwiększają pewność siebie beneficjentów, pragnienie kontroli wagi, lepszą samoocenę oraz zwiększoną satysfakcję z własnego wyglądu (Poobalan 2010).

Planowany koszt całkowity programu wyniesie ok. 53 538 zł. Program w całości ma być finansowany z budżetu miasta Zielona Góra.

Biorąc pod uwagę wyżej wymienione rekomendacje oraz relatywnie niski koszt, Rada pozytywnie opiniuje projekt programu zdrowotnego.

Co do skuteczności medycznej (trwała redukcja wagi), Rada zwraca uwagę, że zgodnie z wnioskami przeglądu systematycznego, na podstawie którego przygotowano rekomendacje USPSTF 2017, skuteczność w redukcji masy ciała u dzieci i młodzieży z nadwagą wykazywały interwencje behawioralne (oparte na zmianie stylu życia, np. instruktaż w zakresie zdrowego odżywiania i aktywności fizycznej) trwające łącznie co najmniej 26 godzin kontaktowych i obejmujące również rodziców.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.240.2018 „Zdrowe żywienie w kontekście nadwagi i otyłości – program skierowany do uczniów szkół podstawowych” realizowany przez: Miasto Zielona Góra, Warszawa, luty 2019 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „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 43/2019 z dnia 18 lutego 2019 roku
o projekcie programu „Program profilaktycznych szczepień
ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Zielona Góra
powyżej 65 r.ż.”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Zielona Góra powyżej 65 r.ż.”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Cel główny: spadek liczby infekcji (zapadalności na grypę i infekcje grypopodobne) oraz powikłań po zakażeniu wirusem grypy.

Populacja: osoby w wieku powyżej 65 lat, zamieszkałe na terenie miasta Zielona Góra (ok. 1500 osób – 6% populacji docelowej). Gmina zamieszkiwana jest przez 25 499 osób w wieku powyżej 65 lat. O włączeniu do programu zdecyduje kolejność zgłoszeń.

W ramach programu planowane jest wykonanie szczepień przeciwko wirusowi grypy, a także prowadzenie działań informacyjnych oraz edukacyjnych. Informacje mają być przekazywane za pośrednictwem lokalnych mediów, lekarzy POZ i jednostek miejskich. Działania edukacyjne będą prowadzone przez lekarza podczas badania kwalifikacyjnego.

Realizację programu zaplanowano na rok 2019, z możliwością kontynuacji w latach następnych, w przypadku wygosparowania środków na ten cel w budżecie miasta.

Szczepienia będzie wykonywać podmiot posiadający kontrakt z NFZ na świadczenia z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej. Realizator programu zostanie wyłoniony w drodze konkursu ofert. Realizator będzie zobowiązany do przestrzegania zasad transportu i przechowywania szczepionek. W programie wykorzystana zostanie szczepionka zarejestrowana i dostępna w Polsce, która jest rekomendowana w danym sezonie.

Ocena jakości świadczeń w programie ma być prowadzona w oparciu o analizę wyników ankiety satysfakcji. Do projektu załączono wzór ankiety.



Aspekty finansowe

Koszt jednostkowy został oszacowany na 40 zł/os. (w tym koszty wykonania szczepienia i zakupu szczepionki - 30 zł).

Koszt całkowity został oszacowany na 60 000 zł. Program ma być sfinansowany z budżetu miasta Zielona Góra.

Uwagi Rady

Rada uważa, że w związku z objęciem finansowaniem szczepień przeciwko grypie populacji powyżej 65 roku życia, zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 29 czerwca 2018 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 lipca 2018 r. istnieje konieczność uwzględnienia tego faktu, aby unikać podwójnego finansowania. Należy zauważyć, że finansowanie przez NFZ obejmuje refundację przy 50% poziomie odpłatności, co generuje koszty dla pacjentów powyżej 65 roku życia, podczas gdy szczepienia finansowane przez jednostki samorządu terytorialnego dla innych grup chorych mogą być bezpłatne. Mechanizm finansowania powinien zatem obejmować wyrównanie kosztów szczepień w obu grupach wiekowych.

Dodatkowo Rada odnotowuje, że płatnik publiczny finansuje szczepionkę czterowalentną. Przy formułowaniu programu należy zatem uwzględnić ewentualne różnice skuteczności stosowanych szczepionek.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.239.2018 „Program profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie dla mieszkańców Miasta Zielona Góra powyżej 65 r.ż.” realizowany przez: Miasto Zielona Góra, Warszawa, luty 2019 oraz Aneksu „Programy profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka – wspólne podstawy oceny”, z lipca 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 44/2019 z dnia 18 lutego 2019 roku
o projekcie programu „Szczepienia przeciwko wirusowi HPV
w ramach profilaktyki raka szyjki macicy wśród 12-letnich dziewcząt”
(m. Zielona Góra)

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Szczepienia przeciwko wirusowi HPV w ramach profilaktyki raka szyjki macicy wśród 12-letnich dziewcząt” (m. Zielona Góra), pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT oraz zmiany tytułu na „Profilaktyka zakażeń HPV u 12-letnich dziewcząt”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Miasto Zielona Góra w zakresie profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV), zakładający przeprowadzenie szczepień profilaktycznych przeciwko zakażeniom HPV u dziewcząt w wieku 12 lat, zamieszkałych na terenie gminy, a także działań edukacyjnych dla 12-letnich dziewcząt oraz ich rodziców/opiekunów. Program ma być realizowany w 2019 r. Całkowity koszt programu oszacowano na 200 000 zł. Program ma być sfinansowany w całości ze środków budżetu Miasta Zielona Góra. Oceniany projekt wpisuje się w następujące priorytety: „zmniejszenie zapadalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych” i „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, należące do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469). Podobne programy terytorialne były wcześniej pozytywnie oceniane przez Radę.

Szczepienia przeciw wirusowi brodawczaka ludzkiego znajdują się w grupie szczepień zalecanych, niefinansowanych ze środków znajdujących się w budżecie Ministra Zdrowia.

Głównym założeniem programu jest „wzrost odporności na zakażenia wirusem HPV w populacji docelowej 12-letnich mieszkanek Miasta Zielona Góra dzięki szczepieniom p/ HPV prowadzonym w 2019 r.”. W projekcie wskazano również 3 cele szczegółowe w postaci „wzrostu wiedzy dziewczynek w wieku 12 lat



na temat profilaktyki p/ HPV o 20%”, „wzrostu wiedzy rodziców/opiekunów prawnych dziewczynek objętych programem na temat działań profilaktycznych w zakresie szczepień p/ HPV o 20%”, „zmniejszenia liczby zachorowań na raka szyjki macicy, sromu, pochwy i występowania brodawek płciowych poprzez wdrożenie opisaną profilaktyki polegającej na przeprowadzeniu edukacji zdrowotnej oraz szczepieniach ochronnych przeciwko wirusowi HPV o 10%”. Należy zaznaczyć, że do akcji edukacyjnej zostanie włączone 100% populacji, natomiast szczepienia zostaną przeprowadzone u ok. 48% dzieci, czyli ok. 306 dziewcząt. Wynika to z ograniczeń budżetowych wnioskodawcy. Wnioskodawca w treści projektu wskazuje zarówno koszty jednostkowe, jak i koszty całkowite przeznaczone na realizację programu. W części edukacyjnej będą również brać udział rodzice/opiekunowie. Wnioskodawca nie wskazał konkretnego produktu leczniczego, który zostanie wykorzystany w programie. W programie będzie prowadzony dwudawkowy schemat szczepień.

Rada proponuje zmianę tytułu programu, z uwagi na dostępne dowody wskazujące wyłącznie na zmniejszanie częstości zakażeń HPV oraz nadżerek wysokiego stopnia.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.238.2018 „Szczepienia przeciwko wirusowi HPV w ramach profilaktyki raka szyjki macicy wśród 12-letnich dziewcząt” realizowany przez: Miasto Zielona Góra, Warszawa, luty 2019 oraz Aneksu „Programy przeciwdziałania zakażeniom wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) oraz rakowi szyjki macicy – wspólne podstawy oceny” z listopada 2015.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 45/2019 z dnia 18 lutego 2019 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej dotyczący profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego HPV w Gminie Nowogród Bobrzański na lata 2019-2021”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej dotyczący profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego HPV w Gminie Nowogród Bobrzański na lata 2019-2021”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Gminę Nowogród Bobrzański w zakresie profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV), zakładający przeprowadzenie szczepień profilaktycznych przeciwko zakażeniom HPV u dziewcząt w wieku 13 lat, zamieszkałych na terenie gminy, a także działań edukacyjnych dla 13-letnich dziewcząt i chłopców oraz ich rodziców/opiekunów. Program ma być realizowany w latach 2019-2021. Całkowity koszt programu oszacowano na 78 540 zł. Program ma być sfinansowany w całości ze środków budżetu Gminy Nowogród Bobrzański. Oceniany projekt wpisuje się w następujące priorytety: „zmniejszenie zapadalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych” i „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, należące do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469). Podobne programy terytorialne były wcześniej pozytywnie oceniane przez Radę.

Szczepienia przeciw wirusowi brodawczaka ludzkiego znajdują się w grupie szczepień zalecanych, niefinansowanych ze środków znajdujących się w budżecie Ministra Zdrowia.

Głównym założeniem programu jest „poprawa profilaktyki pierwotnej w zakresie szczepień ochronnych w celu obniżenia liczby osób zakażonych wirusem HPV, który może wywoływać raka szyjki macicy, raka sromu, raka pochwy, raka odbytu i brodawki narządów płciowych”. W projekcie wskazano również 5 celów szczegółowych w postaci (1) „podniesienia i sprawdzenia poziomu wiedzy



na temat profilaktyki raka szyjki macicy i innych chorób, które może wywoływać zakażenie wirusem HPV wśród młodych dziewcząt, chłopców i ich rodziców, w poszczególnych rocznikach”, (2) „założenia udziału 60% populacji dziewczynek z każdego rocznika”, (3) „upowszechniania nawyku wykonywania badań profilaktycznych w celu wczesnego wykrycia chorób nowotworowych”, (4) „zwiększenia dostępności do profilaktyki pierwotnej raka szyjki macicy i innych chorób związanych z zakażeniem wirusem HPV”, (5) „podsumowania świadomości wiedzy po zakończeniu programu, w poszczególnych rocznikach”.

Program w zakresie edukacji skierowany jest do dziewcząt/chłopców zamieszkałych na terenie Gminy Nowogród Bobrzański, w wieku 13 lat. Wnioskodawca podał, że populacja dziewczynek wynosi 154 osoby. Nie określono natomiast liczebności populacji chłopców. Szczepienia skierowane będą do dziewczynek w wieku 13 lat. Zaplanowano objęcie 60% populacji docelowej, tj. ok. 92 osoby. Wnioskodawca wskazał, że powyższy odsetek wyszczepialności jest podyktowany ograniczeniami finansowymi oraz powołał się na wyszczepialność uzyskiwaną w programach prowadzonych przez ościenne jednostki samorządu terytorialnego.

Program zakłada zastosowanie szczepionki 9-walentnej o nazwie Gardasil 9 w schemacie 2-dawkowym.

Wnioskodawca w treści projektu wskazuje zarówno koszty jednostkowe, jak i koszty całkowite przeznaczone na realizację programu.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.1.2019 „Program polityki zdrowotnej dotyczący profilaktyki zakażeń wirusem brodawczaka ludzkiego HPV w Gminie Nowogród Bobrzański na lata 2019-2021” realizowany przez: Gminę Nowogród Bobrzański, Warszawa, luty 2019 oraz Aneksu „Programy przeciwdziałania zakażeniom wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV) oraz rakowi szyjki macicy – wspólne podstawy oceny” z listopada 2015.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 46/2019 z dnia 18 lutego 2019 roku
w sprawie substancji czynnej acidum folicum we wskazaniu
pozarejestacyjnym: schorzenia reumatyczne – u pacjentów
leczonych metotreksatem

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną acidum folicum we wskazaniu pozarejestacyjnym: schorzenia reumatyczne – u pacjentów leczonych metotreksatem.

Uzasadnienie

Metotreksat jest podstawowym lekiem stosowanym w leczeniu RZS, a podawanie kwasu foliowego zmniejsza częstość niepożądanych działań tej terapii nie zmniejszając jej skuteczności. Jest to postępowanie zalecane we wszystkich dostępnych wytycznych leczenia chorób reumatologicznych.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, Aneks do raportu nr: BOR-434-6-2016 „Acidum folicum we wskazaniach: schorzenia reumatyczne – u pacjentów leczonych metotreksatem”. Data ukończenia: 12 lutego 2019 r.





Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 47/2019 z dnia 18 lutego 2019 roku
w sprawie substancji czynnej nitrendipinum we wskazaniu
pozarejestacyjnym: objaw Raynauda związany z twardziną układową
– leczenie pierwszoliniowe

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną nitrendipinum we wskazaniu pozarejestacyjnym: objaw Raynauda związany z twardziną układową – leczenie pierwszoliniowe.

Uzasadnienie

Wytyczne Polskiego Towarzystwa Dermatologicznego (PTD) w zgodzie z wytycznymi EULAR z 2017 r., a także wcześniejszymi z 2009 r. rekomendują pochodne dihydropirydyny, do których należy m.in. nitrendypina, jako leki skuteczne w leczeniu objawu Raynauda u chorych na twardzinę układową (silne zalecenie). Od ostatniego raportu AOTMiT nie opublikowano nowego badania porównującego skuteczność nitrendypiny z innym lekiem zalecanym w tej grupie chorych. Przegląd systematyczny z 2016 r. uwzględnia badania o słabej jakości, w tym najlepsze retrospektywne badanie obserwacyjne na 32 chorych na twardzinę układową, wliczając 22 osoby z objawem Raynauda, których obserwowano przez minimum 6 miesięcy. Dane zawarte w raporcie Agencji z 2016 r. wskazujące na niewielką skuteczność blokerów kanałów wapniowych w ograniczaniu częstości występowania lub nasilenia objawu Raynauda pozostają aktualne. Dotychczasowe badania nie wskazują na nieakceptowane działania niepożądane leków zawierających substancję czynną nitrendypina u chorych na twardzinę układową. Koszty terapii są niewielkie, a doświadczenie w jej stosowaniu wieloletnie. W związku z powyższym, Rada podtrzymuje wcześniejszą pozytywną opinię w zakresie refundacji stosowania nitrendypiny w tym wskazaniu.



Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr: OT.4321.3.2019 „Amlodypina, nitrendypina we wskazaniu innym niż określone w ChPL: objaw Raynauda związany z twardziną układową – leczenie pierwszoliniowe”. Data ukończenia: 11 lutego 2019 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 48/2019 z dnia 18 lutego 2019 roku
w sprawie substancji czynnej amlodipinum we wskazaniu
pozarejestacyjnym: objaw Raynauda związany z twardziną układową
– leczenie pierwszoliniowe**

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną amlodipinum we wskazaniu pozarejestacyjnym: objaw Raynauda związany z twardziną układową – leczenie pierwszoliniowe.

Uzasadnienie

Wytyczne Polskiego Towarzystwa Dermatologicznego (PTD) w zgodzie z wytycznymi EULAR z 2017 r., a także wcześniejszymi z 2009 r. rekomendują pochodne dihydropirydyny, do których należy m.in. amlodypina, jako substancje czynne skuteczne w leczeniu objawu Raynauda u chorych na twardzinę układową. Przegląd systematyczny z 2016 r. uwzględnia badania o słabej jakości, w tym najlepsze retrospektywne badanie obserwacyjne na 32 chorych na twardzinę układową, wliczając 22 osoby z objawem Raynauda, których obserwowano przez minimum 6 miesięcy. Od ostatniego raportu nie zidentyfikowano badań prospektywnych oceniających skuteczność leków zawierających substancję czynną amlodypina w porównaniu z innymi metodami leczenia objawu Raynauda. W związku z powyższym, Rada podtrzymuje wcześniejszą pozytywną opinię w zakresie refundacji stosowania amlodypiny w tym wskazaniu.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr: OT.4321.3.2019 „Amlodypina, nitrendypina we wskazaniu innym niż określone w ChPL: objaw Raynauda związany z twardziną układową – leczenie pierwszoliniowe”. Data ukończenia: 11 lutego 2019 r.





Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 49/2019 z dnia 18 lutego 2019 roku
w sprawie substancji czynnej budesonidum we wskazaniu
pozarejestacyjnym: wirusowe zapalenie krtani u dzieci do 18 roku
życia

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną budesonidum we wskazaniu pozarejestacyjnym: wirusowe zapalenie krtani u dzieci do 18 roku życia.

Uzasadnienie

Wirusowe zapalenie krtani u dzieci może stanowić zagrożenie życia, dlatego niezwykle ważna jest dostępność produktów leczniczych, które mogą przynieść korzystny efekt w tym rozpoznaniu. Budezonid jest syntetycznym kortykosteroidem przeznaczonym do podawania miejscowo w leczeniu wziewnym, który charakteryzuje się silnym działaniem przeciwzapalnym. Pomimo braku wysokiej jakości opracowań dotyczących stosowania leku u dzieci w wirusowym zapaleniu krtani, wytyczne oraz praktyka kliniczna wskazują na korzyści z jego zastosowania przy akceptowalnym poziomie ryzyka. Powyższe przesłanki pozwalały na wydanie dotychczas pozytywnych opinii dotyczących refundacji technologii w omawianym wskazaniu.

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania mającego na celu aktualizację stanu wiedzy na temat wnioskowanej technologii w omawianym wskazaniu, nie odnaleziono nowych dowodów naukowych na skuteczność i bezpieczeństwo, ani nowych wytycznych klinicznych. Odnaleziony przegląd systematyczny Gates A 2018, stanowiący aktualizację wcześniej publikowanych opracowań Cochrane Collaboration, dotyczących oceny wpływu glikokortykosteroidów na leczenie dzieci w wieku 0 – 18 lat z ostrym krupowym zapaleniem krtani (Ausejo 1999, Griffin 2000, Russell 2011), nie zawiera nowych badań odnoszących się do stosowania budezonidu. W związku z powyższym, Rada podtrzymuje wcześniejszą pozytywną opinię w zakresie refundacji stosowania budezonidu



w populacji pediatrycznej we wskazaniu pozarejestacyjnym: wirusowe zapalenie krtani.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego, Aneks do raportu nr: OT.4321.1.2019 „Budesonidum we wskazaniach: wirusowe zapalenie krtani u dzieci do 18 roku życia”.
Data ukończenia: 13 luty 2019 r.