



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.14.2019.LAn

Protokół nr 12/2019
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 25 marca 2019 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Agencji)

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni przy rozpoczęciu posiedzenia (wymagane kworum: 14 osób):

1. Anna Cieślik
2. Anna Gręziak
3. Barbara Jaworska-Łuczak
4. Dorota Kilańska
5. Adam Maciejczyk
6. Michał Myśliwiec
7. Rafał Niżankowski – prowadził posiedzenie
8. Jakub Pawlikowski
9. Rafał Suwiński
10. Piotr Szymański
11. Janusz Szyndler
12. Andrzej Śliwczyński
13. Anetta Undas
14. Artur Zaczyński

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Tomasz Pasierski
2. Tomasz Romańczyk
3. Dariusz Struski
4. Dariusz Tereskowski-Kamiński

Proponowany porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia, omówienie i zatwierdzenie porządku obrad, omówienie konfliktów interesów członków Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie oceny wystarczalności zakresu zgromadzonych materiałów analitycznych do wydania stanowiska dotyczącego zmiany technologii medycznych w zakresie rehabilitacji kardiologicznej.
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzonych zmian w opracowaniu analitycznym pod kątem zmiany technologii medycznych w zakresie rehabilitacji neurologicznej.



4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zmiany technologii medycznej w zakresie definicji opieki paliatywnej i hospicyjnej oraz w zakresie wskazań będących podstawą kwalifikacji do opieki paliatywnej i hospicyjnej.
5. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku MOZOBIL (pleryksafor) we wskazaniu: Ewing sacroma (ICD-10: C41).
6. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku JEVTANA (kabazytaxel) we wskazaniu: rak prostaty z przerzutami do kości i o węzłów chłonnych jamy brzusznej (ICD-10: C61).
7. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego współfinansowanych przez UE w ramach EFS:
 - 1) „Regionalny Program Zdrowotny Województwa Zachodniopomorskiego Rehabilitacja medyczna po przebytych udarach mózgowym na lata 2020-2022”,
 - 2) „Regionalny Program Zdrowotny Województwa Zachodniopomorskiego Rehabilitacja medyczna osób w wieku aktywności zawodowej ze schorzeniami bólowymi układu kostnow stawowego i mięśniowego na lata 2020-2022”.
8. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie wsparcia ratowników medycznych z województwa mazowieckiego w związku z narażeniem na zespół stresu pourazowego na lata 2019-2021”.
9. Ocena zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie leczenia produktami JAKAVI (ruksolitynib) w ramach programu lekowego: B.81 „Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej (ICD-10 D47.1)”.
10. Sprawy organizacyjne.
11. Losowanie składów Zespołów.
12. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Posiedzenie rozpoczęło się o godzinie 10:25.

Żaden z członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Dyrektor Wydziału Świadczeń Agencji poprosił o możliwość przedstawienie dodatkowej prezentacji dot. metodyki prac, stosowanej w procesie przygotowywania materiałów analitycznych z zakresu rehabilitacji leczniczej. Rada jednogłośnie (14 głosami „za”) zmieniła porządek obrad, dodając jako pkt 2. ww. prezentację.

Zatwierdzony porządek obrad (w zakresie dotychczas nieomawianych punktów):

2. Prezentacja z zakresu założeń metodyki prac w obszarze rehabilitacji leczniczej.
3. Przygotowanie opinii w sprawie oceny wystarczalności zakresu zgromadzonych materiałów analitycznych do wydania stanowiska dotyczącego zmiany technologii medycznych w zakresie rehabilitacji kardiologicznej.
4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzonych zmian w opracowaniu analitycznym pod kątem zmiany technologii medycznych w zakresie rehabilitacji neurologicznej.

5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zmiany technologii medycznej w zakresie definicji opieki paliatywnej i hospicyjnej oraz w zakresie wskazań będących podstawą kwalifikacji do opieki paliatywnej i hospicyjnej.
6. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku MOZOBIL (pleryksafor) we wskazaniu: Ewing sacroma (ICD-10: C41).
7. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku JEVTANA (kabazytaxel) we wskazaniu: rak prostaty z przerzutami do kości i o węzłów chłonnych jamy brzusznej (ICD-10: C61).
8. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego współfinansowanych przez UE w ramach EFS:
 - 1) „Regionalny Program Zdrowotny Województwa Zachodniopomorskiego Rehabilitacja medyczna po przebytych udarach mózgowym na lata 2020-2022”,
 - 2) „Regionalny Program Zdrowotny Województwa Zachodniopomorskiego Rehabilitacja medyczna osób w wieku aktywności zawodowej ze schorzeniami bólowymi układu kostnow stawowego i mięśniowego na lata 2020-2022”
9. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie wsparcia ratowników medycznych z województwa mazowieckiego w związku z narażeniem na zespół stresu pourazowego na lata 2019-2021”.
10. Ocena zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie leczenia produktami JAKAVI (ruksolitynib) w ramach programu lekowego: B.81 „Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej (ICD-10 D47.1)”.
11. Sprawy organizacyjne.
12. Losowanie składów Zespołów.
13. Zakończenie posiedzenia.

Ad 2. Dyrektor Wydziału Świadczeń Agencji przedstawił prezentację dot. założeń metodyki prac w obszarze rehabilitacji leczniczej.

Rada odniosła się do przedstawionych założeń, prowadząc dyskusję, w której udział brali: Andrzej Śliwczyński, Rafał Niżankowski, Jakub Pawlikowski, Janusz Szyndler, Adam Maciejczyk, Dorota Kilańska, Piotr Szymański, Artur Zaczyński i Anna Gręziak.

Ad 3. Analityk Agencji przedstawił informacje dotyczące zgromadzonych materiałów analitycznych oraz założeniach koncepcji zmian w zakresie rehabilitacji kardiologicznej.

Rada wysłuchała propozycji opinii przedstawionej przez Rafała Niżankowskiego.

W wyniku dyskusji, w której uczestniczyli: Rafał Niżankowski, Piotr Szymański i Andrzej Śliwczyński, sformułowano treść opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (14 głosów „za”) uchwaliła opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 4. Rada podjęła decyzję o przesunięciu omawiania tego punktu porządku obrad na późniejszy etap posiedzenia, z uwagi na konieczność opracowania treści uchwały zgodnie z założeniami wypracowanymi w toku dyskusji Rady, dotyczącej ogólnej koncepcji prac w obszarze rehabilitacji leczniczej.

Ad 5. Analitik Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących zmiany technologii medycznej w zakresie opieki paliatywnej i hospicyjnej, po czym wywiązała się wstępna dyskusja Rady, w której udział wzięli: Andrzej Śliwczyński, Rafał Niżankowski oraz Anna Gręziak, a propozycję stanowiska przedstawił Andrzej Śliwczyński.

Rada kontynuowała dyskusję, w czym udział brali: Rafał Niżankowski, Rafał Suwiński, Adam Maciejczyk, Andrzej Śliwczyński, Jakub Pawlikowski, Artur Zaczyński, Anna Gręziak, Dorota Kilańska.

Rada przeprowadziła konsultacje z ekspertem z dziedziny medycyny - dr hab. n. med. Małgorzatą Krajnik, prof. UMK, Kierownikiem Katedry i Zakładu Opieki Paliatywnej Szpitala Uniwersyteckiego nr 1 im. dr. A. Jurasza w Bydgoszczy, która odpowiadała także na pytania Rady.

Sformułowano treść stanowiska, w czym uczestniczyli: Rafał Niżankowski, Andrzej Śliwczyński, Dorota Kilańska, Anna Gręziak, Jakub Pawlikowski i Adam Maciejczyk. Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 11 głosami za, przy 3 głosach przeciw (14 osób obecnych), uchwaliła stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. cd. Sformułowano treść opinii, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (14 osób „za”), uchwaliła opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 6. Analitik Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących leku Mozobil (pleryksafor) we wskazaniu: Ewing sacroma (RDTL), po czym odczytano propozycję opinii przygotowaną przez Adama Maciejczyka.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (14 osób „za”), uchwaliła opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 7. Analitik Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących leku Jevtana (kabazytaxel) we wskazaniu: rak prostaty (RDTL), po czym propozycję opinii przedstawił Rafał Suwiński.

W czasie przeznaczonym na dyskusję głos zabrali: Rafał Niżankowski i Rafał Suwiński, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (14 osób „za”) uchwaliła opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 8. 1) Analitik Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących programu polityki zdrowotnej województwa zachodniopomorskiego w zakresie rehabilitacji medycznej po przebytym udarze mózgowym, po czym propozycję opinii przedstawił Andrzej Śliwczyński.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (14 osób „za”) uchwaliła opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

2) Analitik Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących programu polityki zdrowotnej województwa zachodniopomorskiego w zakresie rehabilitacji medycznej osób w wieku aktywności zawodowej, po czym propozycję opinii przedstawiła Anna Cieślik.

W czasie przeznaczonym na dyskusję głos zabrał Rafał Niżankowski, po czym zarządził on głosowanie. Rada jednogłośnie (14 osób „za”) uchwaliła opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Analitik Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących programu polityki zdrowotnej województwa mazowieckiego w zakresie wsparcia ratowników medycznych, po czym propozycję opinii przedstawił Artur Zaczyński.

Sformułowano treść opinii, w czym udział brali: Rafał Niżankowski, Andrzej Śliwczyński, a prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (14 osób „za”) uchwaliła opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 10. Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie leczenia produktami Jakavi (ruksolitynib), a we wstępnej dyskusji udział wzięli: Rafał Niżankowski, Janusz Szyndler, Andrzej Śliwczyński i Rafał Suwiński.

Propozycję opinii przedstawił Janusz Szyndler, po czym Rada wysłuchała opinii przedstawicielki pacjentów - Katarzyny Lisowskiej z Grupy Wsparcia Pacjentów z Chorobami Mieloproliferacyjnymi, działającej pod patronatem Polskiej Koalicji Pacjentów Onkologicznych, która odpowiadała także na pytania Rady.

Rada sformułowala treść opinii, w czym udział wzięli: Rafał Niżankowski, Janusz Szyndler oraz Andrzej Śliwczyński. Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 13 głosami za, przy 1 głosie przeciw (14 osób obecnych) uchwaliła opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 11. Rada omówiła kwestie organizacyjne, związane z planowanymi terminami posiedzeń kwietniowych.

Ad 12. Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie w dniu 23.04.2019 r.

Ad 13. Posiedzenie zakończyło się o godzinie 16:20 .



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 77/2019 z dnia 25 marca 2019 roku

w sprawie oceny wystarczalności zakresu zgromadzonych materiałów analitycznych do wydania stanowiska dotyczącego zmiany technologii medycznych w zakresie rehabilitacji kardiologicznej

Rada Przejrzystości uznaje, że materiały zgromadzone w trakcie prac analitycznych należy uzupełnić o następujące elementy:

- *wskazanie głównych, aktualnych problemów oraz proponowanych sposobów ich poprawy,*
- *zestawienie dowodów dotyczących skuteczności rehabilitacji w schorzeniach kardiologicznych – zestawienie dla głównych grup schorzeń kardiologicznych, w szczególności w odniesieniu do rehabilitacji późnej oraz fizjoprofilaktyki w ramach POF,*
- *pomiar wyników – proponowane skale oceny pacjenta,*
- *wskazania do przyjęcia na poszczególne szczeble rehabilitacji,*
- *kompetencje personelu dla realizacji poszczególnych typów rehabilitacji,*
- *ścieżki wejścia do rehabilitacji dziennej i ambulatoryjnej dla pacjentów przebywających w domu,*

przed przekazaniem ich Radzie, w celu wydania stanowiska w sprawie zmiany technologii medycznych w zakresie rehabilitacji kardiologicznej.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: AOTMiT-WS.431.5.2019, „Zmiana technologii medycznych w zakresie rehabilitacji kardiologicznej”, data ukończenia: 20 marca 2019 r.





Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 19/2019 z dnia 25 marca 2019 roku

w sprawie zmiany technologii medycznej w zakresie definicji opieki paliatywnej i hospicyjnej oraz w zakresie wskazań będących podstawą kwalifikacji do opieki paliatywnej i hospicyjnej

Rada Przejrzystości uważa za niezasadną zmianę technologii medycznej w zakresie definicji opieki paliatywnej i hospicyjnej oraz w zakresie wskazań będących podstawą kwalifikacji do opieki paliatywnej i hospicyjnej.

Uzasadnienie

Założenie stojące za propozycją zmiany definicji kwalifikujących pacjenta do świadczeń zdrowotnych w zakresie opieki paliatywnej i hospicyjnej oraz w zakresie wskazań będących podstawą do kwalifikacji, czyli dostosowanie obowiązujących w Europie rekomendacji oraz przyjętej przez WHO definicji, jest bardzo potrzebne. Jednak w zaproponowanym brzmieniu dotyczyć to będzie wyłącznie działań o charakterze organizacyjnym (np. zwiększenie liczby jednostek chorobowych kwalifikujących do leczenia paliatywnego) o bardzo dużym i trudnym na dziś do precyzyjnego oszacowania skutku finansowym dla płatnika publicznego. Brak jest w propozycji wskazania właściwego narzędzia umożliwiającego całościową ocenę stanu funkcjonalnego pacjenta, co jest podstawą stosowania definicji WHO i rekomendacji Europejskich.

Rada Przejrzystości stoi na stanowisku, iż rodzaj świadczeń w tym zakresie należy określać jako „opieka paliatywna”. Kwalifikacja do tej opieki powinna zostać uniezależniona od rozpoznania jednostki chorobowej za pomocą kodu ICD-10, tzn. powinna zostać oparta o rozpoznanie potrzeb hospicyjnych pacjenta, w tym, w szczególności poziomu cierpienia, dynamiki problemu oraz konieczności wielodyscyplinarnego podejścia. Wskazana jest całkowita rezygnacja z klasyfikacji ICD-10, jako czynnika decydującego o rozpoczęciu lub kontynuowaniu leczenia paliatywnego. Rada sugeruje wykorzystanie, w celach klasyfikacyjnych i oceny efektów leczenia skali rezultatu w opiece paliatywnej (POS- ang. Palliative Outcome Scale). Opieka paliatywna nie może zawężyć się wyłącznie do pacjentów onkologicznych. Decyzja o rozpoczęciu opieki może być w koniecznych przypadkach konsultowana z lekarzem specjalistą wraz



określeniem zasad kontynuacji terapii wysokospecjalistycznej, nie wykluczając leczenia przyczynowego.

Cenną propozycją jest promowanie opieki domowej i ambulatoryjnej oraz przyjęcie rozwiązań ułatwiających ten sposób opieki nad pacjentem.

Zakładane działania również o charakterze socjalno-opiekuńczym wymagają raczej zmian ustawowych, a prosta zmiana definicji świadczenia zdrowotnego wydaje się zbyt niską rangą prawną dla przyjęcia zaproponowanych rozwiązań ogólnie-organizacyjnych wyłącznie w sferze finansowanej ze składki zdrowotnej.

Brak jest podstawowych szacunków oceniających skutki ekonomiczne zaproponowanych zmian, zarówno z perspektywy pacjenta jak i płatnika publicznego.

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 raportu w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr: WS.431.3.2018 „Zmiana technologii medycznej w zakresie definicji opieki paliatywnej i hospicyjnej oraz w zakresie wskazań będących podstawą kwalifikacji do opieki paliatywnej i hospicyjnej”. Data ukończenia: 13.03.2019 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 78/2019 z dnia 25 marca 2019 roku w sprawie zasadności wprowadzonych zmian w opracowaniu analitycznym pod kątem zmiany technologii medycznej w zakresie rehabilitacji neurologicznej

Rada Przejrzystości uważa za zasadne zmiany wprowadzone w opracowaniu analitycznym pod kątem zmiany technologii medycznej w zakresie rehabilitacji neurologicznej (m.in. zdefiniowanie skal medycznych pod kątem oceny funkcjonalnej), jednakże widzi konieczność ich pogłębienia poprzez wprowadzenie następujących elementów:

- *wskazanie głównych, aktualnych problemów oraz proponowanych sposobów ich poprawy,*
- *zestawienie dowodów dotyczących skuteczności rehabilitacji w schorzeniach neurologicznych – zestawienie dla głównych grup schorzeń neurologicznych, w szczególności w odniesieniu do rehabilitacji późnej oraz fizjoprofilaktyki w ramach POF,*
- *pomiar wyników – proponowane skale oceny pacjenta,*
- *wskazania do przyjęcia na poszczególne szczeble rehabilitacji,*
- *kompetencje personelu dla realizacji poszczególnych typów rehabilitacji,*
- *ścieżki wejścia do rehabilitacji dziennej i ambulatoryjnej dla pacjentów przebywających w domu.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: AOTMiT-WS.431.5.2018, „Zmiana technologii medycznych w zakresie rehabilitacji neurologicznej”, data ukończenia: 20 marca 2019 r.





Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 79/2019 z dnia 25 marca 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
leku Mozobil (plerixafor) we wskazaniu: Ewing sarcoma (ICD10: C41)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Mozobil (plerixafor), fiołki à 24 mg/1,2 ml we wskazaniu: Mięsak Ewinga (ICD10: C41).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Mięsaki tkanek miękkich i kości, zarówno u dzieci jak i u dorosłych, stanowią zróżnicowaną grupę nowotworów pochodzenia mezenchymalnego. Mięsak Ewinga należy do mięsaków drobnokomórkowych i składa się z małych okrągłych komórek wywodzących się głównie z kości, rzadziej z tkanek miękkich. Do nowotworów z grupy mięsaka Ewinga należy mięsak kości Ewinga (ES - Ewing sarcoma), pozakostna postać mięsaka Ewinga, prymitywny nowotwór neuroektodermalny (PNET- primitive neuroectodermal tumor), neuroepithelioma, guz Askina. Wśród tych typów nowotworów stwierdza się wspólne cechy histologiczne, immunocytochemiczne i molekularne.

Mięsak Ewinga jest chorobą dotyczącą młode osoby, między 10 a 20 rokiem życia, częściej chłopców. Sporadycznie zdarzają się przypadki zachorowania po 30. roku życia. Dane statystyczne ze Stanów Zjednoczonych podają częstotliwość zachorowania 10 przypadków na milion w grupie wiekowej 10- 19 lat. Nieskutecznie leczony mięsak Ewinga prowadzi do zgonu.

Produkt leczniczy Mozobil nie podlegał ocenie Agencji we wskazaniu mięsak Ewinga (ICD10: C41), natomiast podlegał ocenie we wskazaniu mięsak Ewinga (ICD10: C49.5). Zgodnie z opinią Prezesa nr 2/2019 oraz opinią Rady Przejrzystości nr 3/2019 uznano za zasadne finansowanie ze środków publicznych plerixaforu w leczeniu mięsaka Ewinga (ICD-10: C49.5) w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Podanie plerixaforu ma powodować mobilizację prawidłowych funkcjonalnie komórek CD34+ zdolnych do przejęcia funkcji krwiotwórczej i repopulacji



hematopoetycznej. Nie odnaleziono badań oceniających skuteczność kliniczną plerixaforu, natomiast do analizy włączono 4 badania opisujące skuteczność praktyczną jego zastosowania, tj. 3 publikacje stanowiące opisy pojedynczych przypadków oraz 1 publikację stanowiącą serię przypadków (w tym 2 pacjentki z mięsakiem Ewinga). W badaniu Emir 2014 mobilizacja z użyciem plerixaforu umożliwiła pozyskanie $4,9 \times 10^6$ komórek CD34+/kg umożliwiającą autologiczną transplantację. W badaniu Vives 2012 po podaniu plerixaforu pozyskano $1,38 \times 10^6$ komórek CD34+/kg. Po mobilizacji przeprowadzono przeszczep autologiczny. W badaniu Cardenoux 2010 po podaniu plerixaforu pozyskano $4,05 \times 10^6$ kom. CD34+/kg. Autorzy nie opisywali szczegółowo procedury przeszczepu. W badaniu Sevilla 2012, po podaniu plerixaforu u jednej pacjentki pozyskano $5,16 \times 10^6$ kom. CD34+ /kg, natomiast u drugiej pacjentki – $2,4 \times 10^6$ kom. CD34+ /kg.

Bezpieczeństwo stosowania

Autorzy opisanych badań uznali stosowanie plerixaforu za bezpieczne, aczkolwiek z uwagi na krótkie doświadczenie z tą technologią, należy podkreślić niepewny charakter tej obserwacji.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Plerixafor wspomaga transplantację komórek krwiotwórczych. Korzyści zdrowotne zastosowania preparatu przewyższają ryzyko jego stosowania.

Konkurencyjność cenowa

Nie jest do oceny z uwagi na brak alternatywy.

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

Koszt netto wnioskowanej terapii (1 cykl – 4 fiołki à 24 mg/1,2 ml) wynosi [REDACTED]. Na podstawie opinii eksperta przyjęto, że rocznie populacja docelowa mogłaby wynieść 2-9 osób. Koszt jednego opakowania leku Mozobil (plerixafor) wynosi [REDACTED] netto. Wydatki płatnika publicznego związane z refundacją 1 cyklu leczenia produktem Mozobil (plerixafor) w przeliczeniu na jednego pacjenta wynoszą [REDACTED] netto.

Przy założeniu zakresu liczebności populacji docelowej od 2 do 9 osób oraz danych kosztowych i czasu trwania terapii zgodnej z wnioskiem, wydatki płatnika publicznego będą wynosić od [REDACTED] netto do [REDACTED] zł netto.

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

Odnaleziono 2 polskie rekomendacje PTOK 2013 i PTOK 2014, które dotyczą leczenia w ocenianym wskazaniu. Zgodnie z ww. wytycznymi u dzieci i młodzieży z mięsakiem Ewinga leczenie obejmuje stosowanie chemioterapii

(CTH) według schematu EWING 2008, a w leczeniu ogniska pierwotnego postępowanie chirurgiczne i/lub napromienianie. U chorych z zaawansowanym procesem (grupa wysokiego ryzyka) można rozważyć zastosowanie wysokodawkowanej CTH z przeszczepieniem krwiotwórczych komórek w ramach badawczych protokołów (PTOK 2014). W razie niepowodzenia mobilizacji macierzystych komórek krwiotwórczych przy wykorzystaniu czynników wzrostu kolonii granulocytowych (G-CSF, granulocyte-colony stimulating factor) w monoterapii lub w skojarzeniu z CTH, podejmuje się kolejną próbę z wykorzystaniem innego protokołu (np. G-CSF w skojarzeniu z plerixaforem) lub rozważa się pobranie materiału przeszczepowego ze szpiku kostnego (PTOK 2013). Biorąc pod uwagę odnalezione wytyczne oraz opinię eksperta, z której m. in. wynika, że „w przypadku nieskuteczności działania G-CSF w mobilizacji i separacji komórek, jedyną opcją terapeutyczną jest zastosowanie plerixaforu” nie zidentyfikowano komparatora.

Główne argumenty decyzji

Głównym argumentem przemawiającym za zasadnością finansowania leku jest jego skuteczność. Lek ten jest niezbędny w przypadku nieskuteczności działania G-CSF w procesie mobilizacji i separacji komórek przygotowywanych do transplantacji i stanowi jedyną opcję terapeutyczną dla tej grupy pacjentów

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.422.23.2019, „Mozobil (plerixafor) we wskazaniu: mięsak Ewinga (ICD-10: C41)”, data ukończenia: 20 marca 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

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



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 80/2019 z dnia 25 marca 2019 roku

w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Jevtana (kabazytaksel) we wskazaniu: rak prostaty z przerzutami do kości i do węzłów chłonnych jamy brzusznej (ICD10: C61)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Jevtana (kabazytaksel), koncentrat i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do infuzji, fiolka a 60 mg/1,5 ml we wskazaniu: rak prostaty z przerzutami do kości i do węzłów chłonnych jamy brzusznej (ICD10: C61).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Lek Jevtana (kabazytaksel) jest wnioskowany w ramach RDTL u chorego na raka gruczołu krokowego z opornością na kastrację u których wyczerpano inne opcje terapeutyczne. U pacjenta, którego dotyczy wniosek zastosowano operację radykalną, radioterapię, hormonalną terapię adjuwantową, tj. goserelinę i flutamid oraz kwas zolendronowy, bikalutamid, docetaksel, octan abirteronu, enzalutamid i karboplatynę. Rokowanie u takich chorych jest niepomyślne: nieleczona choroba prowadzi do progresji zmian przerzutowych w kościach, węzłach chłonnych i narządach miękkich, do pogorszenia stanu ogólnego chorego, anemizacji, a w konsekwencji do śmierci.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Skuteczność kliniczna stosowania kabazytakselu oceniano w badaniu rejestracyjnym TROPIC, w którym większość pacjentów przyjmowała kabazytaksel w II linii leczenia, tj. po docetakselu. W badaniu tym wykazano zysk w medianie przeżyć całkowitych z zastosowania kabazytakselu z prednizonem (w porównaniu z mitoksantronem z prednizonem) wynoszący 2.4 miesiąca (15.1 vs. 12.7 miesiąca). W ramach RDTL kabazytaksel ma być jednak stosowany w III lub IV linii leczenia. Badania dotyczące oceny skuteczności kabazytakselu w III lub IV linii leczenia są nieliczne i niskiej jakości (badania obserwacyjne). Wyniki tych badań (Angelergues 2018, Oudard 2018, Pezaro 2014, Caffo 2014) wskazują jednak na porównywalną skuteczność



stosowania kabazytakselu w III i IV linii leczenia do skuteczności zaobserwowanej w badaniu TROPIC. Należy jednak zwrócić uwagę na to, że badania te dotyczyły szerszej populacji niż wnioskowana: przy obecności przerzutów do kości i do węzłów chłonnych jamy brzusznej, skuteczność kabazytakselu może być niższa niż raportowana w przedstawionych badaniach.

Bezpieczeństwo stosowania

Do najczęściej odnotowywanych działań niepożądanych kabazytakselu należą neutropenia, niedokrwistość, leukopenia, małopłytkowość, jadłowstręt, zaburzenia smaku, duszność, kaszel, biegunka, nudności, wymioty, zaparcie, ból brzucha, łysienie, ból pleców, ból stawów, krwimocz, zmęczenie, astenia, gorączka. Zastosowanie G-CSF ogranicza częstość występowania i stopień ciężkości neutropenii: pierwotną profilaktykę przy użyciu G-CSF należy rozważyć u pacjentów z cechami klinicznymi wysokiego ryzyka (wiek >65 lat, zły stan czynnościowy, wcześniejsze epizody gorączki neutropenicznej, rozległe obszary ciała poddane wcześniej napromienianiu, zły stan odżywienia lub inne ciężkie choroby współistniejące).

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Szacując relację korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania należy zauważyć korzyść w odniesieniu do całkowitego przeżycia związanego z kabazytaksem/prednizonem w porównaniu z mitoksantronem/prednizonem. Jednocześnie, kabazitaksel wykazuje stosunkowo wysoką toksyczność, zwłaszcza hematologiczną. We wnioskowanym wskazaniu brak jest jednak aktywnych terapii alternatywnych. Z tego powodu należy uznać, że korzyści zdrowotne przewyższają ryzyko stosowania.

Konkurencyjność cenowa

Cena netto opakowania jednostkowego produktu leczniczego Jevtana (fiolka á 60 mg/1,5 ml) jest wysoka, brak jest jednak alternatywnych opcji przyczynowego leczenia onkologicznego, które w omawianej sytuacji klinicznej wykazywałyby podobną do kabazitakselu skuteczność.

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

Koszt netto wnioskowanej terapii dla jednego pacjenta (dawka 50 mg w 21 dniowych cyklach) [REDAKTOWANE]. Populacja docelowa (chorzy na raka prostaty z przerzutami do kości i do węzłów chłonnych jamy brzusznej) jest trudna do oszacowania. Z uwagi na częstość występowania raka gruczołu krokowego można przypuszczać, że finansowanie leku we wnioskowanym wskazaniu wiązałoby się ze znacznymi obciążeniami dla płatnika publicznego.

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

Biorąc pod uwagę wnioskowane wskazanie, wytyczne kliniczne oraz aktualną sytuację refundacyjną w Polsce analiza AOTMiT wskazuje, że komparatorem dla ocenianej interwencji stanowi najlepsze leczenie wspomagające (BSC).

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.422.24.2019, „Jevtana (kabazitaksel) we wskazaniu: rak prostaty z przerzutami do kości i do węzłów chłonnych jamy brzusznej (ICD10: C61)”, data ukończenia: 20.03.2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Sanofi-Aventis Sp. z o.o.)

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Sanofi-Aventis 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 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Sanofi-Aventis Sp. z o.o.



Rada **Przejrzystości**

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 81/2019 z dnia 25 marca 2019 roku
o projekcie programu „Rehabilitacja medyczna
po przebytych udarach mózgowych na lata 2020-2022”
Województwa Zachodniopomorskiego

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Rehabilitacja medyczna po przebytych udarach mózgowych na lata 2020-2022” Województwa Zachodniopomorskiego.

Uzasadnienie

Program jest skierowany do kobiet w wieku od 40 do 59 r.ż. oraz mężczyzn w wieku od 40 do 64 r.ż. (osoby aktywne zawodowo lub deklarujące gotowość do podjęcia zatrudnienia) po przebytych udarach mózgu. Celem programu jest poprawa jakości życia co najmniej 10% osób w wieku aktywności zawodowej po udarze mózgu poddanych rehabilitacji i edukacji zdrowotnej, uczestniczących w programie w latach 2020 - 2022. W programie są zaproponowane następujące interwencje:

- 1. szkolenia dla personelu medycznego (5 szkoleń przez 3 lata w grupach 40 - osobowych) – 200 osób reprezentujących grupę zawodową pielęgniarek środowiskowych rodzinnych, lekarzy POZ i lekarzy orzeczników ZUS,*
- 2. kwalifikacja do programu przez lekarza neurologa – 400 osób zgłaszających się do programu,*
- 3. badanie wstępne lekarza rehabilitacji medycznej – 400 osób zgłaszających się do programu,*
- 4. kwalifikacja do rehabilitacji i ustalenie planu rehabilitacji – 300 uczestników programu,*
- 5. działania informacyjno - edukacyjne (3 spotkania edukacyjne każdego roku realizacji programu w dwóch grupach 50 - osobowych) – 300 uczestników programu,*
- 6. zabiegi rehabilitacyjne (kinezyterapia indywidualna: 30 spotkań przez okres 3 miesięcy; fizykoterapia: 2 zabiegi dziennie przez okres 20 dni; masaż suchy/drenaż limfatyczny: 10 masaży leczniczych) – 300 uczestników programu.*



7. badanie lekarskie końcowe – 300 uczestników programu.

Całkowity koszt realizacji programu ma wynieść 1 235 294 zł, opiniowany projekt programu będzie współfinansowany przez UE w ramach Europejskiego Funduszu Społecznego (w perspektywie 201-2020). Wnioskodawca prawidłowo odniósł się udaru jako problemu zdrowotnego, właściwie przedstawił definicję choroby, czynniki ryzyka, metody diagnostyczne oraz sposoby leczenia, do dokumentu jest dołączona właściwa literatura.

Leczenie pacjentów z udarem wymaga zapewnienia kompleksowej opieki medycznej realizowanej przez odpowiednio wykwalifikowany zespół (w skład, którego wchodzi lekarze neurologi, interniści lub kardiologowie, fizjoterapeuci, psychologowie, logopedzi oraz pielęgniarki neurologiczne) z wykorzystaniem specjalistycznego sprzętu i aparatury medycznej. Świadczenia zdrowotne realizowane w ramach rehabilitacji poudarowej rozliczane są do szerszej kategorii, jaką jest rehabilitacja neurologiczna. Rehabilitacja neurologiczna prowadzona jest w ramach wyodrębnionych grup świadczeń (rehabilitacja neurologiczna zaburzeń funkcji mózgu (kategoria I oraz kategoria II); rehabilitacja neurologiczna zaburzeń funkcji rdzenia i korzeni nerwowych (kategoria I oraz kategoria II); rehabilitacja neurologiczna zaburzeń obwodowego układu nerwowego i dystrofie mięśniowe (kategoria I oraz kategoria II), rehabilitacja neurologiczna przewlekła, rehabilitacja neurologiczna dziecięca (kategoria I, kategoria II oraz kategoria III). Z przeprowadzonej przez NIK kontroli wynika, że zaledwie 29% pacjentów oddziałów udarowych zakwalifikowanych zostało do rehabilitacji, podczas gdy powinno dotyczyć to wszystkich pacjentów (u których nie ma przeciwwskazań). Wskazuje to na poważne ograniczenie w dostępności do rehabilitacji neurologicznej. Przerwa w rozpoczętej rehabilitacji w oddziale udarowym prowadzi do większej ostatecznej niepełnosprawności. Uzyskana poprawa sprawności w oddziale udarowym, po przerwie spowodowanej brakiem możliwości bezpośredniej kontynuacji, powoduje szkody bardzo trudne do naprawienia. Wydłużenie pobytu w bardzo kosztownym oddziale udarowym czy centrum udarowym w oczekiwaniu na miejsce na rehabilitację nie tylko podnosi znacznie koszty, ale także zmniejsza możliwości hospitalizacji nowych chorych.

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: (numer raportu) „Rehabilitacja medyczna po przebytych udarach mózgowym na lata 2020-2022 realizowany przez Województwo Zachodniopomorskie”, realizowany przez: Województwo Zachodniopomorskie data ukończenia: marzec 2019 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2016 r. oraz raportem szczegółowym nr OT.440.6.2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 82/2019 z dnia 25 marca 2019 roku
o projekcie programu „Rehabilitacja medyczna osób w wieku
aktywności zawodowej ze schorzeniami bólowymi układu kostno-
stawowego i mięśniowego na lata 2020-2022” Województwa
Zachodniopomorskiego**

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Rehabilitacja medyczna osób w wieku aktywności zawodowej ze schorzeniami bólowymi układu kostno-stawowego i mięśniowego na lata 2020-2022” Województwa Zachodniopomorskiego, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Województwo Zachodniopomorskie, zakładający przeprowadzenie działań edukacyjnych oraz zabiegów rehabilitacji medycznej wśród uczestników programu (700 osób ze schorzeniami bólowymi układu kostno-stawowego i mięśniowego). Ponadto w ramach programu zaplanowano spotkania informacyjno-szkoleniowe dla personelu medycznego (ok. 300 osób). Okres realizacji programu zaplanowano na lata 2020-2022. Koszty całkowite programu oszacowano na 1 235 294 zł. Wnioskodawca wskazał, że program będzie współfinansowany ze środków europejskich.

Projekt programu dotyczy istotnego problemu zdrowotnego jakim jest niepełnosprawność spowodowana schorzeniami bólowymi układu kostno-stawowego i mięśniowego.

Oceniany projekt programu wpisuje się w następujący priorytet: „rehabilitacja”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469).

Głównym założeniem programu jest „zahamowanie lub ograniczenie skutków procesów chorobowych dotyczących układu kostno-stawowego i mięśniowego u co najmniej 10% osób w wieku aktywności zawodowej uczestniczących w programie w latach 2020-2022”. W treści projektu programu zaproponowano 15 mierników efektywności.



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.441.11.2019 „Rehabilitacja medyczna osób w wieku aktywności zawodowej ze schorzeniami bólowymi układu kostno-stawowego i mięśniowego na lata 2020-2022 realizowany przez: Województwo Zachodniopomorskie” realizowany przez: Województwo Zachodniopomorskie, data ukończenia: marzec 2019r. oraz Aneksów do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2016 r. oraz „Programy z zakresu zapobiegania chorobom mięśniowo-szkieletowym oraz fizjoprofilaktyki dotyczącej ergonomii pracy – wspólne podstawy oceny” z września 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 83/2019 z dnia 25 marca 2019 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
wsparcia ratowników medycznych z województwa mazowieckiego
w związku z narażeniem na zespół stresu pourazowego
na lata 2019 - 2021”**

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie wsparcia ratowników medycznych z województwa mazowieckiego w związku z narażeniem na zespół stresu pourazowego na lata 2019 - 2021”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Pismo o numerze ZD-Z-II.9011.8.2018.MG z prośbą o opinię nt. projektu programu polityki zdrowotnej pt. „Program polityki zdrowotnej w zakresie wsparcia ratowników medycznych z województwa mazowieckiego w związku z narażeniem na zespół stresu pourazowego na lata 2019-2021” od Zastępcy Dyrektora Departamentu Zdrowia i Polityki Społecznej Janusza Sobolewskiego, wpłynęło do Agencji w dn. 31.01.2019 r., co wyznacza ustawowy termin wydania opinii na 31.03.2019 r. Do pisma załączono projekt programu. Przesłane materiały uznano za wystarczające do przeprowadzenia oceny. Programy polityki zdrowotnej z zakresu wsparcia ratowników medycznych w związku z narażeniem na zespół stresu pourazowego nie były dotychczas prezentowane na posiedzeniach Rady Przejrzystości.

Problem zdrowotny

Oceniany projekt PPZ odnosi się do problemu zdrowotnego jakim jest zespół stresu pourazowego u ratowników medycznych. Wnioskodawca przedstawił informacje uwzględniające definicję PTSD, jej objawy oraz przyczyny występowania. Należy zaznaczyć, że opiniowany projekt wpisuje się w następujący priorytet: „zapobieganie, leczenie i rehabilitacja zaburzeń psychicznych”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469). Jak podkreśla wnioskodawca, jest on również zbieżny z celem Narodowego Programu Zdrowia.



Oceniany projekt programu zawiera referencje bibliograficzne, na podstawie których przygotowana została treść problemu zdrowotnego. W treści projektu przedstawiono wyniki badań epidemiologicznych korespondujących z wybranym problemem zdrowotnym. Zgodnie z informacjami przedstawionymi przez wnioskodawcę na PTSD może cierpieć 8-20% pracowników służb ratunkowych. Powyższe dane są zgodne z informacjami odnalezionymi przez analityków.

W 2016 roku w województwie mazowieckim odnotowano 600 hospitalizacji z powodu rozpoznań, zakwalifikowanych jako zaburzenia nerwicowe związane ze stresem i postacią somatyczną, co stanowiło 1,57% wszystkich hospitalizacji z powodu rozpoznań, które zakwalifikowano do grupy choroby psychiczne.

Liczba świadczeniodawców w województwie mazowieckim, którzy hospitalizowali przynajmniej jednego pacjenta z analizowaną przyczyną wyniosła 35. Z kolei 80% wszystkich hospitalizacji w województwie mazowieckim z powodu rozpoznań wchodzących w skład analizowanej podgrupy zostało wykazane przez 5 świadczeniodawców. W województwie mazowieckim liczba poradni zdrowia psychicznego, które w 2016 roku sprawozdały co najmniej jedną poradę w ramach NFZ wyniosła 121. Najwięcej porad wykonano z rozpoznaniem wchodzącymi w skład podgrupy zaburzenia lekowe. Liczba porad na jednego pacjenta z rozpoznaniem z analizowanej grupy w województwie wyniosła 4,59.

Cele i mierniki efektywności

Głównym założeniem projektu programu jest „zwiększenie dostępności do świadczeń z zakresu diagnostyki zespołu stresu pourazowego dla grupy ratowników medycznych z województwa mazowieckiego w latach 2019-2021”. W projekcie wskazano również 3 cele szczegółowe, tj. (1) „zbadanie częstości występowania zespołu stresu pourazowego w populacji uczestników programu”, (2) „wzrost poziomu wiedzy uczestników programu na temat problematyki dotyczącej zespołu stresu pourazowego” oraz (3) „zwiększenie podejmowania leczenia lub pogłębionej diagnozy zespołu stresu pourazowego”.

Cele nie zostały sformułowane w pełni zgodnie z zasadą SMART (m.in. nie przedstawiono konkretnych wartości do jakich chce dążyć wnioskodawca). Ponadto pierwszy cel szczegółowy został sformułowany w postaci działania. Dobrze sformułowany cel powinien być: sprecyzowany, mierzalny, osiągalny, istotny i zaplanowany w czasie.

Wnioskodawca przedstawił również 14 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. Należy jednak podkreślić, że część mierników w postaci: „liczby podmiotów, w których została udostępniona informacja

o możliwości udziału w programie”, „liczby osób aplikujących do programu w danym roku”, „liczby osób, które zakwalifikowano do udziału w programie w danym roku” nie odnosi się bezpośrednio do celów programu.

Populacja i interwencja

Działania realizowane w ramach programu skierowane będą do ratowników medycznych, którzy są mieszkańcami województwa mazowieckiego lub są zatrudnieni w podmiocie leczniczym znajdującym się na terenie województwa mazowieckiego.

Wnioskodawca wskazał, że liczba ratowników medycznych w woj. mazowieckim w 2017 r. wynosiła 1146. Zgodnie z danymi GUS w 2017 r. na terenie woj. mazowieckiego w zawodzie ratownika medycznego pracowały 1294 osoby. Jednocześnie zaplanowano działania dla ok. 740 osób (ok. 65% populacji docelowej).

W ramach programu planowane jest przeprowadzenie badania diagnostycznego w kierunku wykrycia depresji, konsultacji ze specjalistą oraz działań edukacyjnych dla ratowników medycznych.

W ramach programu przed konsultacją specjalistyczną, możliwe będzie wykonanie dodatkowych badań diagnostycznych.

Wnioskodawca wskazał kilka narzędzi, tj.: wywiad skali symptomów PTSD (PSS-I, PTSD Symptom Scale-Interview); skala PTSD w formie wywiadu klinicznego (CAPS, Clinician Administered PTSD Scale); schemat wywiadu diagnostycznego (DIS, Diagnostic Interview Schedule); wywiad dla zaburzenia stresowego pourazowego (PTSD-I, Posttraumatic Stress Disorder Index); cywilna wersja skali Mississippi (MSC, Mississippi Scale for Civilian Related PTSD); pourazowa skala diagnostyczna (PTDS, Posttraumatic Distress Syndrome); skala urazu Davidsona (DTS, Davidson Trauma Scale); kwestionariusz do pomiaru zaburzenia po stresie traumatycznym (K-PTSD); kwestionariusz do pomiaru zaburzenia po stresie traumatycznym wersja czynnikowa (PTSD-C); SRS-PTSD (Self-Rating Scale for PTSD); PCL (PTSD-Checklist); w tym PCL-C (civilian), PCL-S (specific traumatic event); kwestionariusz PTSD Salomona; wywiad PTSD Goldsteina, kwestionariusz Carda; kwestionariusz Foy; badania neuropsychologiczne i metody obrazowe.

W rekomendacjach (NICE 2018, NHMRC 2013) wskazuje się, że badania przesiewowe mogą być przeprowadzane m.in. w grupach zwiększonego ryzyka, w tym wśród pracowników pogotowia ratunkowego. Każdy uczestnik, który uzyskał pozytywny wynik w badaniu przesiewowym weźmie udział w indywidualnej konsultacji ze specjalistą (lekarzem ze specjalizacją z zakresu psychiatrii, psychiatrii dzieci i młodzieży, magistra z dziedziny psychologii). Powyższe podejście jest zgodne z rekomendacjami NICE 2018, VA/DoD 2017,

RANZCP 2015, NHMRC 2013, które wskazują, że diagnostyka PTSD powinna opierać się w głównej mierze na ocenie dokonanej przez specjalistów.

Monitorowanie i ewaluacja

Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji. 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.

Budżet programu

W projekcie zawarto koszty jednostkowe oraz koszt całkowity. Koszt jednostkowy został oszacowany na 763,20 zł. Składa się na niego koszt kwalifikacji uczestnika do programu (75 zł), wywiad ustrukturyzowany z wykorzystaniem narzędzia SCID-5-PD (140 zł), badanie za pomocą metody opartej na samoocenie z zastosowaniem narzędzia IES-R (80 zł), wizyta u specjalisty dla uczestników z pozytywnym wynikiem badania (125 zł), działania edukacyjne (130 zł), badanie wiedzy uczestników programu (86 zł) oraz koszty pośrednie (127,20 zł).

Powyższe kwoty zostały wyliczone na podstawie analizy wycen przygotowanych na prośbę autorów programu przez potencjalnych realizatorów.

Wnioskodawca wskazał, że „ostateczny koszt jednostkowy jednej osoby uczestniczącej w programie zostanie określony w wyniku rozstrzygnięcia konkursu ofert na realizację niniejszego programu, jednak koszt ten nie będzie mógł przekraczać kosztu wskazanego w projekcie programu”.

W projekcie programu nie uwzględniono kosztów dodatkowych badań diagnostycznych oraz badania neuropsychologicznego i metod obrazowych. Analiza weryfikacyjna wykazała że rynkowe koszty interwencji są zbliżone do cen przedstawionych przez wnioskodawcę.

Koszt całkowity oszacowano na 500 000 zł. Program finansowany będzie ze środków pochodzących z budżetu województwa mazowieckiego.

Uwagi Rady

W projekcie zaplanowano jednorazowe badanie diagnostyczne, zatem biorąc pod uwagę przytoczone rekomendacje program nie stanowi kompleksowego podejścia do diagnostyki i leczenia zespołu stresu pourazowego.

Rekomendacje podkreślają, że ocena pacjenta powinna odbywać się w kilku różnych terminach po wystąpieniu zdarzenia traumatycznego corocznie przez 5 lat (VA/DoD 2017). Okres realizacji programu został wyznaczony na lata

2019-2021, jednak wnioskodawca wskazał, że „w przypadku dużego zainteresowania programem wśród potencjalnych uczestników, samorząd województwa mazowieckiego bierze pod uwagę możliwość wdrożenia jego drugiej edycji”.

Wnioskodawca nie wskazał uzasadnienia prowadzenia diagnostyki przez psychiatrę dzieci i młodzieży. Należy podkreślić, że działania będą prowadzone wyłącznie wśród osób dorosłych dodatkowo zdaniem KW w dziedzinie psychologii klinicznej badający powinien mieć przynajmniej 2 letnie doświadczenie kliniczne

Warto zaznaczyć, że w roku 2017 Najwyższa Izba Kontroli (NIK) przedstawiła wyniki kontroli realizacji zadań poprzedniej edycji NPOZP. NIK oceniła negatywnie nieosiągnięcie założonych celów i niezrealizowanie większości zadań zaplanowanych w NPOZP, zarówno przez administrację rządową, jak i samorządową. Nie doprowadzono do ograniczenia występowania zagrożeń dla zdrowia psychicznego, poprawy jakości życia osób z zaburzeniami psychicznymi i ich bliskich oraz lepszej dostępności świadczeń opieki zdrowotnej w latach 2011–2015.

Oceniany projekt programu zawiera interwencje, które częściowo powielają świadczenia dostępne w ramach świadczeń gwarantowanych w AOS (Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Za element uzupełniający świadczenia gwarantowane można uznać m.in. 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 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.12.2019 „Program polityki zdrowotnej w zakresie wsparcia ratowników medycznych z województwa mazowieckiego w związku z narażeniem na zespół stresu pourazowego na lata 2019-2021 realizowany przez: Województwo mazowieckie” realizowany przez: Województwo mazowieckie, data ukończenia: marzec 2019r. oraz Aneksów do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2016 r. oraz „Programy z zakresu zapobiegania chorobom mięśniowo-szkieletowym oraz fizjoprofilaktyki dotyczącej ergonomii pracy – wspólne podstawy oceny” z września 2016 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 84/2019 z dnia 25 marca 2019 roku

w sprawie oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie leczenia produktami Jakavi (ruksolitynib) w ramach programu lekowego: „Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej (ICD-10 D47.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie proponowanych zmian w zapisach programu lekowego: „Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej (ICD-10 D47.1)”, pod warunkiem obniżenia kosztów stosowania produktu leczniczego Jakavi w tym programie oraz skrócenia okresu odstawiania leku.

Uzasadnienie

Minister Zdrowia przekazał Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji zlecenie dotyczące przygotowania opinii na temat oceny populacji pacjentów leczonych produktami leczniczymi Jakavi (ruksolitynib) w ramach programu lekowego: B.81 “Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej (ICD-10 D47.1)”, po wprowadzeniu zmian w trzech podpunktach aktualnie finansowanego programu lekowego:

- a) zmodyfikowanie kryteriów wyłączenia: zmianę zapisu związanego z oceną nieskuteczności leczenia z „brak zmniejszenia badania USG powiększonej w momencie kwalifikacji śledzony, o co najmniej 50% długości jej wyjściowego powiększenia (powyżej normy w danym ośrodku) – po 6 miesiącach leczenia” na „brak zmniejszenia w badaniu USG powiększonej w momencie kwalifikacji śledzony, o co najmniej 25% długości jej wyjściowego powiększenia (powyżej normy w danym ośrodku) – po 6 miesiącach leczenia”.*
- b) zmodyfikowanie kryteriów związanych z określeniem czasu leczenia w programie poprzez wprowadzenie dodatkowych 28 dni na odstawienie leku.*



c) zmodyfikowania zapisu dotyczącego dawkowania leku poprzez zastąpienie „zgodnie z zasadami obowiązującymi w aktualnej charakterystyce produktu leczniczego (ChPL)” na „dawkowanie leku zgodnie z ChPL obowiązującą na dzień wydania decyzji o objęciu refundacją i ustaleniu urzędowej ceny zbytu”.

Ad A:

Dowody kliniczne pochodzące z badań wysokiej i umiarkowanej jakości, odpowiednio COMFORT-1 i COMFORT-2, wskazują, że ruksolitynib jest lekiem o dużej skuteczności w leczeniu splenomegalii związanej z mielofibrozą (Verstovsek 2012; Harrison 2012), a także przyczynia się do poprawy przeżycia całkowitego (Vannucchi 2015). Analiza post-hoc badań wskazuje, że chorzy nie tylko chorzy ze zmniejszeniem długości śledziony w przedziale powyżej 50% ale także w przedziale 25-50% odnoszą korzyści ze stosowania leku (wydłużenie całkowitego czasu przeżycia, zmniejszenie objawów zwłóknienia szpiku) (Vannucchi 2015, Miller 2017). Zdaniem ekspertów klinicznych proponowana zmiana jest zasadna z powodów wyżej wymienionych a ponadto zwracają uwagę, że odstawienie leku u pacjentów o zmniejszeniu długości śledziony poniżej 50% powoduje szybką progresję choroby.

Należy zauważyć, że pierwszorzędowym punktem końcowym w badaniach COMFORT (I i II) był osiągnięcie redukcji objętości śledziony większe lub równe 35% oceniane w badaniu CT lub MRI. W wytycznych klinicznych kryterium odpowiedzi na leczenie definiuje się o jako zmniejszenia objętości śledziony: o $\geq 35\%$ (w badaniach MRI lub CT) (ESMO 2015, NCCN 2019) lub o $\geq 50\%$ (potwierdzone przez wyczuwalne palpacyjnie powiększenia śledziony) (BCSH 2015, NCCN 2019).

Złagodzenie kryteriów wyłączenia będzie się wiązało ze znacznym zwiększeniem populacji docelowej, nawet o około 70% a co za tym idzie, w związku z wysokim kosztem leku, bardzo istotnym zwiększeniem wydatków płatnika publicznego. Konieczne jest zatem ponowne przeanalizowanie warunków finansowania ocenianej technologii w ramach ocenianego programu lekowego.

Ad B:

Nagłe odstawienie leku wiąże się z ryzykiem wystąpieniem tzw. zespołu uwalniania cytokin, który jest powikłaniem groźnym dla życia. Zapis dotyczący powolnego odstawiania leku jest też ujęty w charakterystyce produktu leczniczego. Ponadto zalecenie powolnego odstawiania leku jest rekomendowane przez ESMO 2015, BCSH 2015. Należy jednakże zauważyć, że rekomendacje BCSH 2015 wskazują na okres od 7 do 10 dni a w pozostałych źródłach nie określa się precyzyjnie tego okresu.

Eksperci kliniczni popierają modyfikację aktualnie obowiązującego zapisu. Zdaniem jednego z ekspertów zmiana czasu odstawiania leku wiązać się będzie z dłuższym o 1 miesiąc stosowaniem leku u około 100 pacjentów rocznie.

Ad C:

Proponowana zmiana jest związana z urzędową modyfikacją charakterystyki produktu leczniczego i nie wpłynie na wielkość populacji objętej programem.

Podsumowując, w związku z faktem, że wprowadzenie zmodyfikowanych zapisów do programu lekowego jest uzasadnione. Określenie czasu odstawiania leku na 28 dni jest kontrowersyjne i zgodnie z zaleceniami BCSH 2015 Rada Przejrzystości stoi na stanowisku, iż należy skrócić ten okres do 10 dni.

Złagodzenie kryteriów wyłączenia spowoduje wzrost populacji objętej leczeniem (o około 70%) i bardzo dużym wzrostem obciążenia budżetu płatnika publicznego. Zdaniem Rady konieczne jest zatem znaczące obniżenie kosztów leczenia ruksolitynibem w ramach ocenianego programu lekowego.

Rada nie dysponuje informacją nt. obowiązującego instrumentu podziału ryzyka, a zatem nie może proponować szczegółowych rozwiązań finansowych.

Przedmiot zlecenia

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), w nawiązaniu do zlecenia Ministra Zdrowia, zawartego w piśmie PLR.4604.748.2018.NB z dnia 20.02.2019 r.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt. 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby Rady Przejrzystości w sprawie oceny zasadności dalszej refundacji, braku podstaw do dalszej refundacji bądź zmiany zakresu refundacji, nr: OT.4320.2.2019, „Raport dotyczący oceny zasadności wprowadzenia zmiany w zapisach programu lekowego: <Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej (ICD-10 D47.1)>”, data ukończenia: 20.03.2019 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.