



Rada Przejrzystości
działająca przy
Prezesie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.15.2019.MKZ

Protokół nr 13/2019
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 1 kwietnia 2019 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Agencja)

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

1. Anna Cieślik
2. Anna Gręziak
3. Barbara Jaworska-Łuczak
4. Michał Myśliwiec - prowadził posiedzenie
5. Rafał Niżankowski
6. Rafał Suwiński
7. Janusz Szyndler
8. Andrzej Śliwczyński

Proponowany porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia, omówienie i zatwierdzenie porządku obrad, omówienie konfliktów interesów członków Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Omnitrope (somatropinum) w ramach programu lekowego „Leczenie ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu u dorosłych oraz młodzieży po zakończeniu terapii promującej wzrastanie (ICD-10 E23.0)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Trevicta (paliperidonum) we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Skilarence (dimethylis fumaras) we wskazaniu: leczenie dorosłych chorych na łuszczycę plackowatą o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego, u których nie rozważa się innego leczenia systemowego niż leczenie biologiczne.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Depratal (duloxetine) we wskazaniu: leczenie dużych zaburzeń depresyjnych (ICD-10 F32.2, F32.2, F33.2, F33.3).
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Rydapt (midostaurinum) w ramach programu lekowego „Midostauryna w leczeniu ostrej białaczki szpikowej (ICD-10 C 92.0)”.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Brintellix (vortioxetini hydrobromidum) we wskazaniu: leczenie dużych epizodów depresyjnych (MDD) u dorosłych, u których w leczeniu bieżącego epizodu nie uzyskano poprawy mimo zastosowania leku z grupy selektywnych inhibitorów zwrotnego wychwytu serotoniny (SSRI) lub z grupy inhibitorów wychwytu zwrotnego serotoniny i noradrenaliny (SNRI).



8. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Imbruvica (ibrutinibum) w ramach programu lekowego „B.92; IBRUTYNIB w leczeniu chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową (ICD-10: C 91.1)”.
9. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego współfinansowanych przez UE w ramach EFS:
 - 1) „Poprawa dostępu do stomatologa dzieci i młodzieży w szkołach na lata 2019-2025” (gm. Bobolice),
 - 2) „Program polityki zdrowotnej Miasta Zabrze na lata 2019-2021 w zakresie kompleksowej terapii i rehabilitacji dzieci i młodzieży”.
10. Losowanie składu Zespołu na posiedzenie w dniu 29 kwietnia 2019 r.
11. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Posiedzenie rozpoczęło się o godzinie 10:04.

Następnie Rada jednogłośnie (8 głosów za) przyjęła zaproponowany przez prowadzącego zmieniony porządek obrad (dodano możliwość wypowiedzi w 8. punkcie porządku obrad przez eksperta, który zwrócił się z prośbą o udział bezpośrednio przed posiedzeniem), a żaden z członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Ad 2. Analitik Agencji podsumował informacje z raportu w sprawie oceny leku Omnitrope (wniosek refundacyjny) w leczeniu ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu.

We wstępnej dyskusji głos zabrali Andrzej Śliwczyński, Barbara Jaworska-Łuczak oraz Rafał Niżankowski, natomiast propozycję stanowiska przedstawiła Barbara Jaworska-Łuczak.

W trakcie prezentacji stanowiska na posiedzenie przybyli Artur Zaczyński i Jakub Pawlikowski, którzy nie zadeklarowali konfliktu interesów.

W ramach dyskusji Rafał Suwiński, Michał Myśliwiec, Andrzej Śliwczyński, Rafał Niżankowski, Anna Gręziak oraz Barbara Jaworska-Łuczak sformułowali ostateczną wersję stanowiska Rady, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 głosów za) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji podsumował informacje z raportu w sprawie oceny leku Trevicta (wniosek refundacyjny) we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji.

We wstępnej dyskusji głos zabrali Rafał Niżankowski, Anna Gręziak, Janusz Szyndler oraz Michał Myśliwiec, a propozycję stanowiska przedstawiła Anna Gręziak.

W ramach dalszej części dyskusji Andrzej Śliwczyński, Michał Myśliwiec, Janusz Szyndler oraz Rafał Niżankowski modyfikowali treść zaproponowanego stanowiska Rady.

Rada wysłuchiwała stanowiska eksperta z dziedziny medycyny - dr n. med. Małgorzaty Urban-Kowalczyk, Adiunkta Kliniki Zaburzeń Afektywnych i Psychotycznych Uniwersytetu Medycznego w Łodzi oraz Ordynatora Oddziału Diagnostyczno-Obserwacyjnego Centralnego Szpitala Klinicznego UM w Łodzi. Odpowiadała ona także na pytania Rady.

Po sformułowaniu ostatecznej wersji stanowiska Rady, w czym udział wzięli Janusz Szyndler, Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec, Andrzej Śliwczyński, Tomasz Pasiński oraz Anna Gręziak,

prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 głosów za) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji podsumował informacje z raportu w sprawie oceny leku Skilarence (wniosek refundacyjny) w leczeniu łuszczycy plackowatej o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego.

We wstępnej dyskusji głos zabrali Rafał Niżankowski, Andrzej Śliwczyński oraz Rafał Suwiński.

Następnie propozycję stanowiska przedstawił Rafał Suwiński.

W toku dalszej części dyskusji Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec oraz Andrzej Śliwczyński zastanawiali się nad ostateczną wersją stanowiska, po czym decyzją prowadzącego posiedzenie Rada przeszła do omówienia kolejnego punktu porządku obrad, na czas przygotowania przez Rafała Suwińskiego finalnej treści stanowiska w przedmiotowym temacie.

Ad 5. Analityk Agencji podsumował informacje z raportu w sprawie oceny leku Depratal (wniosek refundacyjny) w leczeniu dużych zaburzeń depresyjnych.

We wstępnej dyskusji głos zabrali Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec, Andrzej Śliwczyński, Jakub Pawlikowski oraz Janusz Szyndler, natomiast propozycję stanowiska przedstawił Jakub Pawlikowski.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów za) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 6. Propozycję stanowiska w sprawie oceny leku Rydapt (wniosek refundacyjny) w leczeniu ostrej białaczki szpikowej przedstawił Rafał Niżankowski.

W dyskusji głos zabrali Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec oraz Tomasz Pasiński, po czym analityk Agencji podsumował informacje z raportu.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów za) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

c.d. Ad 4. Rafał Suwiński przedstawił zmodyfikowaną wersję stanowiska Rady w sprawie oceny leku Skilarence.

W dyskusji udział wzięli Michał Myśliwiec, Rafał Suwiński oraz Andrzej Śliwczyński, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów za) uchwaliła negatywne stanowisko Rady (załącznik nr 5 do protokołu).

Z uwagi na wcześniejsze przybycie przedstawicieli pacjentów dopuszczonych do wzięcia udziału w posiedzeniu w zakresie leku Imbruvica, prowadzący zdecydował o zamianie kolejności omawiania tematów z pkt 7. i pkt 8. porządku obrad.

Ad 8. Głos w sprawie oceny leku Imbruvica (wniosek refundacyjny) w leczeniu chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową zabrał Tomasz Pasiński, który przygotował projekt stanowiska Rady, po czym analityk Agencji podsumował informacje z raportu.

We wstępnej dyskusji udział wzięli Tomasz Pasiński, Andrzej Śliwczyński oraz Rafał Suwiński.

Rada wysłuchiwała stanowiska eksperta z dziedziny medycyny - prof. Krzysztofa Jamroziaka z Kliniki Hematologii w Instytucie Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie oraz przedstawicielki pacjentów – p. Aleksandry Lazar, podopiecznej Fundacji Alivia, wraz z opiekunem.

W toku dalszej części dyskusji Tomasz Pasierski, Janusz Szyndler, Rafał Niżankowski oraz Michał Myśliwiec sformułowali ostateczną wersję stanowiska Rady, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 głosów za) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 7. Propozycję stanowiska w sprawie oceny leku Brintellix (wniosek refundacyjny) w leczeniu dużych epizodów depresyjnych przedstawił Janusz Szyndler, natomiast analitycy odnieśli się do powyższej wypowiedzi prezentując podsumowanie informacji z raportu.

W dyskusji i formułowaniu ostatecznej treści stanowiska udział wzięli Tomasz Pasierski, Janusz Szyndler, Michał Myśliwiec oraz Andrzej Śliwczyński, po czym prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 głosów za) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. 1) Analityk Agencji podsumował informacje z raportu dotyczącego programu polityki zdrowotnej gminy Bobolice w zakresie dostępu do stomatologa dzieci i młodzieży, po czym propozycję opinii przedstawił Andrzej Śliwczyński.

Wobec braku innych głosów, prowadzący zarządził głosowanie. Rada jednogłośnie (10 głosów za) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

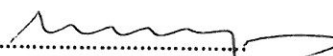
2) Analityk Agencji podsumował informacje z raportu dotyczącego programu polityki zdrowotnej miasta Zabrze w zakresie kompleksowej terapii i rehabilitacji dzieci i młodzieży, po czym propozycję opinii przedstawił Artur Zaczyński.

W dyskusji głos zabrali: Rafał Niżankowski i Artur Zaczyński, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów za) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 10. Przeprowadzono losowanie składu Zespołu na posiedzenie w dniu 29 kwietnia 2019 r.

Ad 11. Posiedzenie zakończyło się o godzinie 14:02.

Protokół sporządził Michał Myśliwiec
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

1.04.2019 
.....
(data i podpis)



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 20/2019 z dnia 1 kwietnia 2019 roku
w sprawie oceny leku Omnitrope (somatropinum) w ramach
programu lekowego „Leczenie ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu
u dorosłych oraz młodzieży po zakończeniu terapii promującej
wzrastanie (ICD-10 E23.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Omnitrope (somatropinum), roztwór do wstrzykiwań, 5 mg/1,5 ml, 5 wkładów 1,5 ml, kod EAN: 5909990050161,*
- *Omnitrope (somatropinum), roztwór do wstrzykiwań, 10 mg/1,5 ml, 5 wkładów 1,5 ml, kod EAN: 5909990072897,*

w ramach programu lekowego: „Leczenie ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu u dorosłych oraz młodzieży po zakończeniu terapii promującej wzrastanie (ICD-10 E23.0)”, w ramach istniejącej grupy limitowej, i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości uważa instrument dzielenia ryzyka za niewystarczający i, wobec istotnego zwiększenia populacji, wskazuje, że powinien być on pogłębiony. Ponadto, Rada uważa, że somatropina powinna być kupowana w ramach istniejących przetargów na somatropinę dla dzieci.

Rada uważa, że kwalifikację do programu lekowego powinien wykonywać zespół koordynujący, podobnie jak w programach dla dzieci. Należy też zapewnić współpracę ośrodków leczących dzieci i młodzież oraz dorosłych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wnioskowany program obejmuje leczenie dorosłych pacjentów z ciężkim niedoborem hormonu wzrostu oraz młodzieży po zakończeniu terapii promującej wzrastanie. Zarejestrowane wskazanie leku Omnitrope obejmuje m.in.:

- *leczenie niemowląt, dzieci i młodzieży z zaburzeniami wzrostu wynikającymi z niedostatecznego wydzielania hormonu wzrostu,*
- *terapię zastępczą pacjentów dorosłych ze znacznym niedoborem hormonu wzrostu,*



- *pacjentów, u których początek choroby wystąpił w wieku dorosłym, związany z niedoborami wielu hormonów w następstwie rozpoznanej patologii podwzgórzowej lub przysadkowej i u których występuje niedobór przynajmniej jednego hormonu przysadkowego niebędącego prolaktyną,*
- *dorosłych pacjentów u których początek choroby wystąpił w dzieciństwie, w następstwie przyczyn wrodzonych, genetycznych, nabytych lub idiopatycznych. U pacjentów tych należy przeprowadzić ponowną ocenę zdolności wydzielania hormonu wzrostu po ukończeniu procesu wzrastania.*

Obecnie lek Omnitrope jest refundowany ale w ramach programów lekowych dotyczących populacji pediatrycznej (B.19.; B.38.; B.41.; B.42 i B.64).

Nie jest jasne dlaczego wnioskodawca wnioskuje o 3-letni okres refundacji, ponieważ, wg zapisów ustawy o refundacji, pierwsza decyzja refundacyjna w nowym wskazaniu przyznawana jest na okres 2 lat. W ocenianym wskazaniu nie ma obecnie refundowanych żadnych produktów leczniczych.

Wnioskodawca zwraca się o zakwalifikowanie produktu leczniczego Omnitrope do grupy limitowej 1077.0 Somatropinum, w której obecnie znajdują się preparaty somatropiny refundowane w ramach innych programów lekowych.

Dowody naukowe

W 2014 roku oceniano lek Omnitrope w ramach programu lekowego „leczenie hormonem wzrostu niskorosłych dzieci urodzonych jako zbyt małe w porównaniu do czasu trwania ciąży (SGA/IUGR; ICD-10 R 62.9)”. Lek otrzymał wtedy pozytywną rekomendację zarówno Rady Przejrzystości jak i Prezesa AOTM. W uzasadnieniu stwierdzono, że skuteczność i bezpieczeństwo ocenianego leku zastały udowodnione w licznych badaniach naukowych, a odnalezione wytyczne kliniczne oraz opinie ekspertów klinicznych zalecają stosowanie wnioskowanej technologii.

Problem ekonomiczny

Według danych otrzymanych z NFZ w 2018r., liczba osób powyżej 18 roku życia ze zdiagnozowaną niedoczynnością przysadki wyniosła ponad 2700. Również część pacjentów w wieku poniżej 18 lat może stanowić ocenianą populację docelową, ponieważ np. w ramach programu lekowego B.19 pacjenci z CO-GHD mogą być leczeni tylko do osiągnięcia wieku kostnego (16-letniego dla dziewczynek i 18-letniego dla chłopców). Należy jednak wziąć pod uwagę, że nie wszyscy pacjenci z rozpoznaniem E23.0 będą się kwalifikowali do wnioskowanego programu lekowego (np. pacjenci z niewielkim niedoborem hormonu wzrostu lub ze współistniejącą chorobą nowotworową). Niestety, na podstawie danych uzyskanych od NFZ nie jest możliwe wiarygodne oszacowanie populacji, która będzie się kwalifikować do proponowanego programu lekowego.

W toku pracy nad zleceniem otrzymano również opinie 2 ekspertów klinicznych, którzy oszacowali populację docelową na około 4000 osób.

Prognozowane wydatki NFZ związane z objęciem refundacją leku Omnitrope to ok. [redacted] zł w pierwszym roku analizy, ok. [redacted] zł w drugim roku i ok. [redacted] zł w trzecim roku refundacji uwzględniając RSS. W przypadku nieuwzględnienia RSS wydatki inkrementalne NFZ wynikające z objęcia refundacją wnioskowanego leku wyniosą odpowiednio [redacted] zł, [redacted] zł i [redacted] zł.

Główne argumenty decyzji

Wg ekspertów, obecnie w Polsce nie są stosowane żadne opcje terapeutyczne w analizowanym wskazaniu. Jednocześnie, głównym problemem jest brak jednoznacznie określonych standardów diagnostyki, kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia ciężkiego GHD.

Wobec powyższego, celowe jest zapewnienie centralnego zakupu preparatów hormonu wzrostu oraz zorganizowanie trybu kwalifikacji dla osób dorosłych, podobnie jak ma to obecnie miejsce w przypadku leczenia dzieci. Jako grupę pacjentów, która może odnieść największą korzyść z wprowadzenia refundacji ocenianej technologii, eksperci uznali młode osoby dorosłe i młodzież z niedoborem hormonu wzrostu rozpoznanym w dzieciństwie, u których leczenie we wnioskowanym programie lekowym będzie podjęte w krótkim czasie po zakończeniu terapii promującej wzrastanie.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.4.2019 „Wniosek o objęciu refundacją leku Omnitrope (somatropina) we wskazaniu: »Leczenie ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu u dorosłych oraz młodzieży po zakończeniu terapii promującej wzrastanie (ICD-10: E23.0)«”. Data ukończenia: 21 marca 2019.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Sandoz 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 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: (Sandoz Polska Sp. z o.o.).



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 21/2019 z dnia 1 kwietnia 2019 roku
w sprawie oceny leku Trevicta (paliperidonum) we wszystkich
zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Trevicta (paliperidonum), zawiesina do wstrzykiwań o przedłużonym uwalnianiu, 263 mg (200 mg/ml), 1 amp.-strzyk. 1,315 ml + 2 igły, kod EAN: 5909991281465,*
- *Trevicta (paliperidonum), zawiesina do wstrzykiwań o przedłużonym uwalnianiu, 350 mg (200 mg/ml), 1 amp.-strzyk. 1,75 ml + 2 igły, kod EAN: 5909991281472,*
- *Trevicta (paliperidonum), zawiesina do wstrzykiwań o przedłużonym uwalnianiu, 525 mg (200 mg/ml), 1 amp.-strzyk. 2,625 ml + 2 igły, kod EAN: 5909991281489,*

we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji, w ramach istniejącej grupy limitowej, jako leku dostępnego w aptece na receptę i wydawanie go bezpłatnie.



Uzasadnienie

Problem decyzyjny

W Polsce na schizofrenię choruje w przybliżeniu 400 000 osób. Najczęściej rozpoznaje się schizofrenię u mężczyzn w wieku 15-25 lat i kobiet w wieku 25-35 lat. Schizofrenia polega na zaburzeniu lub grupie zaburzeń psychicznych, których istotę stanowi dezintegracja osobowości, poprzez zakłócenie procesów decydujących o zachowaniu, sposobie myślenia, odczuwania oraz reakcji na otoczenie. Leczenie ma na celu zmniejszenie objawów nasilenia choroby oraz zapobieganie jej nawrotom. Nieleczona lub źle kontrolowana schizofrenia prowadzi do przewlekłej psychozy, z częstymi zaostrzeniami, stanowiąc duży problem rodzinny i społeczny, niekiedy będącej przyczyną samobójstw. Leczenie schizofrenii polega w głównej mierze na stosowaniu farmakoterapii. Ze względu na duże ryzyko nawrotu choroby u osób nieleczonych, stosowanie leczenia



podtrzymującego zalecane jest u każdego chorego. U większości pacjentów leczenie podtrzymujące trwa przez całe życie. Pierwszą linią terapii są leki podawane doustnie. Iniekcje o szybkim działaniu stosuje się u pacjentów, którzy są w stanie pobudzenia lub nie wyrażają zgody na stosowanie leków doustnych. Iniekcje o przedłużonym działaniu (depot) zaleca się u pacjentów, którzy nie stosują się do długotrwałej, profilaktycznej farmakoterapii. Do leczenia preparatami długodziałającymi powinni być klasyfikowani chorzy z całkowitym/uporczywym brakiem współpracy.

Dowody naukowe

Rekomendacje Polskiego Towarzystwa Psychiatrycznego 2019, Zalecenia Konsultanta Krajowego w sprawie stosowania leków przeciwpsychotycznych II generacji, NICE 2014, WFSBP 2013, RANZCP 2016 zalecają u pacjentów uporczywie niewspółpracujących, stosowanie postaci domięśniowych o przedłużonym uwalnianiu. We wszystkich ww. rekomendacjach, jako jedną z opcji tej formy terapii, wymieniono paliperidon.

Wnioskodawca przedłożył 2 randomizowane, podwójnie zaślepienie badania kliniczne. Jedno z nich (Savitz 2016). porównało skuteczność i bezpieczeństwo PP3M vs PP1M Wyniki dotyczące nawrotu oraz remisji choroby zaczerpnięto z analizy post-hoc do badania Savitz 2016 (publikacja Savitz 2017).

Do analizy wnioskodawcy włączono też publikację Weiden 2017, dotyczącą oceny czasu do wystąpienia pierwszego nawrotu choroby, po przerwaniu terapii PP3M oraz PP1M.

Analiza skuteczności PP3M względem PP1M wykazała porównywalną skuteczność i profil bezpieczeństwa badanej interwencji. Odsetek chorych bez nawrotu choroby na końcu podwójnie zaślepionego etapu badania wynosił 91,2% w grupie PP3M oraz 90,0% w grupie PP1M. W obu porównywanych grupach odnotowano poprawę wyniku w zakresie remisji funkcjonalnej oraz objawowej choroby, a także w zakresie zmniejszenia nasilenia objawów schizofrenii, mierzonych za pomocą skali PANSS, zmodyfikowanej skali PANSS, skali CGI-S oraz PSP względem wartości początkowych. Nie odnotowano IS różnic pomiędzy grupami.

W analizie uzupełniającej, opartej o wyniki analizy post-hoc zawartej w publikacji Weiden 2017, wykazano IS różnicę między grupami pacjentów, którzy przegrali leczenie PP3M i PP1M, na korzyść wnioskowanej interwencji, w odniesieniu do czasu do wystąpienia nawrotu choroby po przerwaniu terapii.

Problem ekonomiczny

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę, lek Trevicta jest finansowany w 25 krajach UE i EFTA, w tym w 7 krajach o PKB zbliżonym do Polski (w Chorwacji, Grecji, Litwie, Portugalii, Rumunii, Słowacji, na Węgrzech).

W żadnym kraju nie wprowadzono instrumentu podziału ryzyka.

Zgodnie z ChPL, populację, w której lek Trevicta może być zastosowany, stanowią chorzy na schizofrenię, ustabilizowani klinicznie na palmitynianie paliperydonu, podawanym we wstrzyknięciach co miesiąc (PP1M). Będą to więc pacjenci, których stan kliniczny uległ znacznej stabilizacji w trakcie terapii PP1M. Zmiana na PP3M dotyczyć będzie zatem wąskiej grupy pacjentów ze szczególnymi wskazaniami klinicznymi. Według opinii eksperta klinicznego, odsetek ten szacuje się na 30-40% pacjentów otrzymujących Xeplion; liczba pacjentów przyjmujących lek Trevicta może wynieść 1037 – 1383.

Objęcie refundacją produktu leczniczego Trevicta w dawkach 263 mg, 350 mg i 525 mg będzie skutkowało wzrostem kosztów z perspektywy płatnika publicznego oraz wspólnej.

Główne argumenty decyzji

Agencja dwukrotnie oceniała zasadność finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego zawierającego paliperydon – Xeplion. Oceniano możliwość jego finansowania u pacjentów ze schizofrenią, u których uzyskano stabilizację podczas leczenia rysperydonem lub paliperydonem, w przypadku nawrotu objawów psychotycznych w wyniku udokumentowanego, uporczywego braku współpracy chorego. Stanowiska i rekomendacje wydane przez Agencję były pozytywne.

Zgodnie z aktualnym Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2019 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, w ramach grupy limitowej 178.6. Leki przeciwpsychotyczne - rysperydon i paliperydon do stosowania pozajelitowego - postaci o przedłużonym uwalnianiu, refundowane są produkty lecznicze Xeplion (75 mg, 100 mg, 150 mg), zawierające substancję czynną palmitynian paliperydonu podawany 1 raz w miesiącu (taka sama substancja czynna i postać jak w przypadku produktu Trevicta).

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4330.3.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Trevicta (palmitynian paliperydonu) we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji”. Data ukończenia: 21 marca 2019 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia ekspercka przedstawiona w trakcie posiedzenia.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Janssen - Cilag 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 2018 r., poz. 1330 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419 z późn. zm.).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Janssen - Cilag Polska Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 22/2019 z dnia 1 kwietnia 2019 roku
w sprawie oceny leku Depratal (duloxetine)
we wskazaniu: leczenie dużych zaburzeń depresyjnych
(ICD-10: F32-2, F32-3, F33-2, F33 3)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Depratal (duloxetine), tabletki dojelitowe 30 mg, 28 tabletek, kod EAN: 5909991324551,*
- *Depratal (duloxetine), tabletki dojelitowe 30 mg, 56 tabletek, kod EAN: 5906414003185,*
- *Depratal (duloxetine), tabletki dojelitowe 60 mg, 28 tabletek, kod EAN: 5909991324537,*
- *Depratal (duloxetine), tabletki dojelitowe 60 mg, 56 tabletek, kod EAN: 5906414003192,*

we wskazaniu: leczenie dużych zaburzeń depresyjnych (ICD-10: F32-2, F32-3, F33-2, F33 3); w ramach istniejącej grupy limitowej 187.0, jako leku dostępnego w aptece na receptę i wydawanie go w aptece za odpłatnością w wysokości 30%, pod warunkiem obniżenia ceny leku

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Na podstawie danych Światowej Organizacji Zdrowia, depresja stanowi 4,3% globalnego obciążenia wszystkimi chorobami, a dużą depresję stwierdza się u około 10% chorych z tej grupy. W Polsce obserwuje się w ciągu ostatnich kilkunastu lat zwiększenie liczby przypadków zaburzeń i chorób psychicznych, w tym depresji. Zauważa się również większą częstość występowania depresji wśród kobiet i w dużych miastach.

Duloksetyna jest inhibitorem zwrotnego wychwytu serotoniny (5-HT) i noradrenaliny (NA), zwiększając zewnątrzkomórkowe stężenie serotoniny i noradrenaliny w różnych obszarach mózgu. Wnioskowane wskazanie mieści się w ramach wskazań rejestracyjnych.



Dowody naukowe

Dowody naukowe wskazują na porównywalną skuteczność duloksetyny i przyjętych komparatorów: wenlafaksyny, fluoksetyny, paroksetyny i sertraliny, w zakresie częstości remisji i odpowiedzi na leczenie lub oceny nasilenia objawów depresji. Nieliczne wyniki wskazują na możliwą mniejszą skuteczność duloksetyny w porównaniu z wenlafaksyną, w odniesieniu do prawdopodobieństwa wystąpienia odpowiedzi na leczenie oraz przewagi duloksetyny względem fluoksetyny w zakresie prawdopodobieństwa uzyskania odpowiedzi na leczenie i remisji depresji. Na podstawie opublikowanych badań można również wnioskować o przewadze duloksetyny względem komparatorów w zakresie stosowania się pacjentów do zaleceń lekarza (adherence) i długości „trwania” w leczeniu (persistence).

Wytyczne kliniczne (Polskiego Towarzystwa Psychiatrycznego 2017, The Management of Major Depressive Disorder Working Group 2016, CANMAT 2016, APA 2015 i BAP 2015) zalecają stosowanie duloksetyny w I linii leczenia dużej depresji obok innych leków z grupy SNRI (ang. serotonin norepinephrine reuptake inhibitor) oraz leków z grupy SSRI (ang. ang. selective serotonin reuptake inhibitor) i NDRI (ang. norepinephrine–dopamine reuptake inhibitor). W opinii ekspertów, zwiększenie dostępności duloksetyny mogłoby poprawić sytuację pacjentów z depresją.

Analiza bezpieczeństwa wskazuje na brak istotnych różnic między duloksetyną a wenlafaksyną, sertralina i fluoksetyną.

Problem ekonomiczny

W porównaniu z komparatorem podstawowym (wenlafaksyną) oraz komparatorami dodatkowymi (sertralina, paroksetyna, fluoksetyna) terapia lekiem Depratal jest [redacted], zarówno z perspektywy NFZ jak i wspólnej. Oszacowane koszty inkrementalne, przy porównaniu z sertralina, paroksetyną, fluoksetyną, są [redacted] niż odnotowane dla porównania z wenlafaksyną, zarówno z perspektywy NFZ jak i wspólnej. W związku z wynikami analizy klinicznej, które nie dowodzą wyższości leku Depratal nad komparatorem głównym (wenlafaksyną), zachodzą okoliczności art. 13 ust. 3 ustawy o refundacji.

Analiza wpływu na budżet przewiduje [redacted] wydatków płatnika publicznego. Rekomendacje refundacyjne HAS i SMC pozytywnie odniosły się do refundacji duloksetyny, natomiast rekomendacja kanadyjska była negatywna z uwagi na wyższe koszty względem leków z grupy SSRI. Odnalezione rekomendacje refundacyjne odnosiły się do innego produktu leczniczego (Cymbalta), zawierającego jednak tę samą substancję czynną.

Główne argumenty decyzji

Ze względu na porównywalną skuteczność i bezpieczeństwo duloksetyny względem refundowanych komparatorów, a także obserwowany wzrost zaburzeń psychicznych w populacji polskiej, wydaje się, że refundacja wnioskowanego produktu leczniczego zwiększy zakres możliwości terapeutycznych dużych zaburzeń depresyjnych i przyniesie korzyści dla zdrowia publicznego. Ze względu na [REDAKTOWANE] i [REDAKTOWANE], należy dążyć do obniżenia ceny leku [REDAKTOWANE].

Uwagi Rady:

Sposób sformułowania wskazania refundacyjnego budzi pewne wątpliwości, bowiem zgodnie z Obwieszczeniem MZ z dnia 27 lutego 2019 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 marca 2019 roku nie ma przypadku produktu leczniczego, którego zakres wskazań objętych refundacją został opisany lub uszczegółowiony kodem ICD-10.

Biorąc pod uwagę fakt, że wskazanie rejestracyjne leku Depratal jest szersze niż proponowane wskazanie refundacyjne, istnieje ryzyko, że lek, w ramach refundacji aptecznej, będzie przepisywany również pacjentom z mniejszym stopniem nasilenia choroby, co może zwiększyć wydatki płatnika publicznego. Potwierdza to również opinia ekspertów.

W przypadku braku obniżenia ceny leku, zasadnym jest rozważenie refundacji duloksetyny jako leku drugiego rzutu, po niepowodzeniu terapii produktami z grupy SSRI.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4330.4.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Depratal (duloxetine) we wskazaniu: leczenie dużych zaburzeń depresyjnych (F32-2, F32-3, F33-2, F33-3)”. Data ukończenia: 21 marca 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Adamed Pharma S.A.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Adamed Pharma S.A. 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 2018 r., poz. 1330 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419 z późn. zm.).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Adamed Pharma S.A.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 23/2019 z dnia 1 kwietnia 2019 roku
w sprawie oceny leku Rydapt (midostauryna)
w ramach programu lekowego „Midostauryna
w leczeniu ostrej białaczki szpikowej (ICD-10 C92.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Rydapt (midostaurin), kapsułki miękkie, 25 mg, 56 kaps., kod EAN: 5909991353995,*
- *Rydapt (midostaurin), kapsułki miękkie, 25 mg, 112 kaps., kod EAN: 5909991341527,*

w ramach programu lekowego „Midostauryna w leczeniu ostrej białaczki szpikowej (ICD-10 C92.0)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Obecnie w leczeniu ostrej białaczki szpikowej (ICD10 C92.0) ze środków publicznych finansowanych jest wiele leków, w tym: asparaginaza, azacytydyna, bleomycyna, busulfan, cisplatyna, cyklofosfamid, cytarabina, dakarbazyna, doksorubicyna, epirubicyna, etopozyd, fludarabina, hydroksykarbamid, idarubicyna, ifosfamid, karboplatyny, kladrybina, melfalan, merkaptopuryna, metotreksat, mitoksantron, pegaspargaza, rekombinowany interferon alfa-2b, tioguanina, tretynoina, winblastyna, winkrystyna oraz daunorubicyna. Na podkreślenie zasługuje, iż finansowane są także przeszczepy autologicznych i allogenicznych komórek krwiotwórczych.

Większość aktualnych wytycznych klinicznych dzieli terapię ostrej białaczki szpikowej na leczenie indukcyjne oraz leczenie konsolidujące (mające na celu działanie resztkowe, gdy po leczeniu indukcyjnym dochodzi do remisji choroby). W literaturze rozważana jest też terapia podtrzymująca, która teoretycznie ma zapewnić trwałość remisji.

W ramach terapii indukcyjnej wytyczne rekomendują antracykliny (do nich należy daunorubicyna) wraz z cytarabinią, najczęściej w schemacie



dwulekowym, oznaczanym symbolem DA, bądź też zalecają terapię trójlekową - daunorubicynę z cytarabiną i kladrybiną (schemat DAC).

W przypadku terapii konsolidującej brak jest jednego, powszechnie przyjętego standardu leczenia, a zastosowane leczenie uzależniane jest od rokowania pacjenta, tym niemniej jednak wszystkie wytyczne zalecają stosowanie cytarabiny.

Wiele wytycznych jak PTOK 2013, ESMO 2013, czy NCCN 2019 nie odnosi się, a inne jak ELN 2017 wprost nie zalecają terapii podtrzymującej, z powodu braku przekonujących dowodów na jej korzystny wpływ.

Wnioskodawca wnosi o stworzenie programu lekowego leczenia ostrej białaczki szpikowej u pacjentów z mutacją FLT3 przez dodanie midostauryny (inhibitora kinaz o wielu punktach uchwytu) do obecnie stosowanych schematów chemioterapii indukcyjnej oraz chemioterapii konsolidującej, a także wprowadzenie monoterapii podtrzymującej midostauryną.

Aktualne wytyczne NCCN 2019 i ELN 2017 w przypadku populacji pacjentów z mutacją FLT3 zalecają midostaurynę jako dodatek w terapii indukcyjnej, jak i konsolidacyjnej. Nie zalecają jednak stosowania midostauryny jako terapii podtrzymującej.

Dowody naukowe

W ramach analizy klinicznej wnioskodawca uwzględnił jedną próbę kliniczną z randomizacją – będące w toku, wieloośrodkowe badanie III fazy RATIFY. W jego ramach stosowano dodatek midostauryny w trzech fazach leczenia - leczeniu indukującym, konsolidującym oraz podtrzymującym u dorosłych z ostrą białaczką szpikową i obecnością mutacji FLT3. Porównano skuteczność i bezpieczeństwo stosowania midostauryny w skojarzeniu ze standardowym leczeniem indukującym w schemacie DA (daunorubicyna + cytarabina); leczeniem konsolidującym w schemacie HD AraC (wysokodawkowa cytarabina), oraz w leczeniu podtrzymującym midostauryną względem nieleczenia.

Wątpliwości budzi przedstawiona przez wnioskodawcę prezentacja wyników badania RATIFY gdyż różnią się one od wartości podawanych przez Europejską Agencję Leków (EMA). Przykładowo wnioskodawca w jednym miejscu podał wartość 17% podczas gdy EMA 4%. W innym miejscu wnioskodawca podał 26% a EMA 7%. Wg raportu EMA z 2017 około 59% pacjentów, stosujących midostaurynę jako dodatek do standardowej terapii, uzyskało całkowitą remisję a w grupie niestosującej około 54%.

Ograniczenia dotyczące jakości badania RATIFY to m.in. brak oceny wpływu midostauryny na jakość życia pacjentów.

Badanie to też nie pozwala na określenie, czy zastosowane długotrwałego leczenia podtrzymującego wykazuje jakąkolwiek skuteczność i czy istnieje uzasadnienie do jego stosowania wbrew stanowisku ekspertów, wyrażanym w aktualnych wytycznych.

Problem ekonomiczny

Dodatek midostauryny do bardzo kosztownej terapii standardowej zwiększyłby koszt leczenia [redacted]. Analiza ekonomiczna oparta jest na modelowaniu, które budzi wątpliwości. Kanadyjska agencja CADTH wykonała analizę ekonomiczną uwzględniającą identyczne technologie z modelowaniem o krótszym horyzoncie czasowym w stosunku do proponowanego przez wnioskodawcę (15 lat względem 54 lata). Uzyskano niższe wartości inkrementalnych dla LYG i QALY w porównaniu z analizą wnioskodawcy (LYG: 0,62 vs [redacted], QALYG: 0,8 vs [redacted]). Wątpliwości odnośnie poprawności modelowania budzi dodatkowo fakt, iż skracając horyzont czasowy w modelu przedstawionym przez wnioskodawcę, tak aby odpowiadał horyzontowi w analizie CADTH nadal model wnioskodawcy generuje około 50% wyższe LYG (0,62 vs 0,94).

Ponadto, w odniesieniu do cytarabiny (AraC) i daunorubicyny (DNR) nie uwzględniono dawkowania stosowanego w badaniu RATIFY.

Wątpliwości budzi też analiza wrażliwości - w jednym ze scenariuszy przetestowano model uwzględniający przeżycia pacjentów z rozkładu Weibulla wyższe niż przeżycia populacji ogólnej, co podważa wiarygodność tego scenariusza.

Główne argumenty decyzji

- 1. Wnioskodawca występuje o program lekowy, obejmujący stosowanie midostauryny, zarówno w terapii indukcyjnej i konsolidującej, jak i w podtrzymującej, podczas gdy istnieją istotne wątpliwości, czy terapia podtrzymująca jest w ogóle skuteczna; aktualne wytyczne nie zalecają jej stosowania, a badania, na które powołuje się wnioskodawca, nie dostarczają dowodów na jej skuteczność.*
- 2. Argumenty wnioskodawcy dotyczące efektywności klinicznej nie odpowiadają aktualnej sytuacji w Polsce - oparte są bowiem na próbie klinicznej, w której oceniano skuteczność dodania midostauryny do terapii dwoma lekami (daunorubicyna+cytarabina), podczas gdy [redacted].*
- 3. Wnioskodawca nie przedstawił też wiarygodnych argumentów, za przyjęciem niektórych założeń do modelowania kosztów efektywności klinicznej, w szczególności dlaczego proponuje tak długi horyzont czasowy*

korzyści z proponowanej terapii, co z dużym prawdopodobieństwem zawiąza ocenę efektów klinicznych.

- 4. Biorąc pod uwagę powyższe, istnieje bardzo duże prawdopodobieństwo, iż dodanie midostauryny do obecnie stosowanych schematów leczenia w istocie nie przyniesie korzyści opisywanych przez wnioskodawcę, a koszty uzyskania efektu zdrowotnego, i tak już kalkulowanego bardzo wysoko, będą wielokrotnie wyższe.*
- 5. Rada Przejrzystości z rezerwą odbiera stanowisko wnioskodawcy, zabiegającego o środki publiczne, aby bardzo duże fragmenty przedłożonych dokumentów uznać za tajemnicę przedsiębiorstwa, a zatem uczynić publicznie nieprzejrzystymi. W szczególności dotyczy to tak podstawowych informacji jak: kryteria kwalifikacji do proponowanego programu lekowego, kryteria wykluczające z udziału w tym programie i proponowany czas leczenia.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.1.2019 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Rydapt (midostauryna) w ramach programu lekowego: »Midostauryna w leczeniu ostrej białaczki szpikowej (ICD 10 C92.0)«”. Data ukończenia: 22.03.2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2018 r., poz. 1330 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419 z późn. zm.).

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

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



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 24/2019 z dnia 1 kwietnia 2019 roku

w sprawie oceny leku Skilarence (fumaran dimetylu) we wskazaniu:
leczenie dorosłych chorych na łuszczycę plackowatą o nasileniu
umiarkowanym do ciężkiego, u których nie rozważa się innego
leczenia systemowego niż leczenie biologiczne

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Skilarence (fumaran dimetylu), tabletki dojelitowe, 120 mg, 90 tabl., kod EAN: 8430308130574,*
- *Skilarence (fumaran dimetylu), tabletki dojelitowe, 120 mg, 180 tabl., kod EAN: 8430308130567,*
- *Skilarence (fumaran dimetylu), tabletki dojelitowe, 30 mg, 42 tabl., kod EAN: 8430308130581,*

we wskazaniu: leczenie dorosłych chorych na łuszczycę plackowatą o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego, u których nie rozważa się innego leczenia systemowego niż leczenie biologiczne.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pismem z dnia 03.01.2019 r., Minister Zdrowia zlecił przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT w przedmiocie objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu leków:

- *Skilarence (fumaran dimetylu), 120 mg, tabletki dojelitowe, 90 tabl., EAN: 8430308130574;*
- *Skilarence (fumaran dimetylu), 120 mg, tabletki dojelitowe, 180 tabl., EAN: 8430308130567;*
- *Skilarence (fumaran dimetylu), 30 mg, tabletki dojelitowe, 42 tabl., EAN: 8430308130581.*

Wnioskowane wskazanie to leczenie dorosłych chorych na łuszczycę plackowatą o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego, u których nie rozważa się innego leczenia systemowego niż leczenie biologiczne.



Dowody naukowe

Odnaleziono badanie porównujące fumaran dimetylu (FDM) względem placebo ([REDACTED]). Wyniki tego badania wskazują, że w czasie 16 tygodni FDM uzyskuje istotnie statystyczną przewagę nad placebo w zakresie odpowiedzi PASI (ang. Psoriasis Area and Severity Index). Placebo nie stanowi jednak właściwego komparatora dla wnioskowanej technologii. Nie zidentyfikowano zarazem żadnego badania dotyczącego bezpośredniego porównania fumaranu dimetylu względem wybranych aktywnych komparatorów takich jak ADA (adalimumab) ETA (etanercept) UST (ustekinumab) IKS (iksekizumab) INF (Infliksymab). Wyniki, przedstawionej przez wnioskodawcę metaanalizy sieciowej, [REDACTED], ocenianej przez zmianę wskaźnika stopnia nasilenia łuszczycy i powierzchni objętej zmianami łuszczycowymi, w porównaniu do wszystkich poddanych analizie leków biologicznych.

Porównanie FDM z lekami biologicznymi

[REDACTED]

Zgodnie z ChPI, najczęściej odnotowanymi działaniami niepożądanymi, związanymi ze stosowaniem Skilarence były: zaburzenia żołądka i jelit (62,7%), nagłe zaczerwienienie (20,8%) i limfopenia (10,0%). Większość z działań niepożądanych uznano za łagodne i nie prowadziły one do zaprzestania stosowania badanego produktu leczniczego.

Problem ekonomiczny

[REDACTED]

Zdaniem Rady, dla pełnej oceny problemu ekonomicznego w analizie zabrakło analizy minimalizacji kosztów dla Skilarence vs. leki biologiczne dostępne w programach lekowych.

Główne argumenty decyzji

Proponowane wskazanie refundacyjne (leczenie dorosłych chorych na łuszczycę plackowatą o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego, u których nie rozważa się innego leczenia systemowego niż leczenie biologiczne) jest nieprecyzyjne i mogłoby prowadzić do nadużywania leku. Zdaniem Rady, bardziej właściwe byłoby odniesienie się do zapisów programu lekowego „Leczenie umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej”.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4330.1.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Skilarence (fumarany dimetylu) w leczeniu dorosłych chorych na łuszczycę plackowatą o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego, u których nie rozważa się innego leczenia systemowego niż leczenie biologiczne”. Data ukończenia: 21.03.2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Almirall SA).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Almirall SA 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 2018 r., poz. 1330 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419 z późn. zm.).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Almirall SA



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 25/2019 z dnia 1 kwietnia 2019 roku
w sprawie oceny leku Imbruvica (ibrutynib)
w ramach programu lekowego „Ibrutynib w leczeniu chorych
na przewlekłą białaczkę limfocytową (ICD 10 C.91.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Imbruvica (ibrutynib), kapsułki twarde, 140 mg, 90 kaps., kod EAN: 5909991195137, w ramach programu lekowego „Ibrutynib w leczeniu chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową (ICD 10 C.91.1)”; w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.



Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotowy wniosek dotyczy rozszerzenia populacji obecnie leczonej w programie lekowym B. 92 „Ibrutynib w leczeniu chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową (ICD 10 C.91.1)”

o pacjentów bez delecji 17p i/lub mutacji w genie TP53:

- z wczesnym nawrotem choroby (do 24 miesięcy od rozpoczęcia leczenia), po I. linii leczenia z zastosowaniem przeciwciała anty-CD20, w skojarzeniu z analogiem puryn lub bendamustyną lub*
- z opornością na chemioimmunoterapię, niezależnie od linii leczenia.*

Wnioskowane wskazanie jest węższe w stosunku do wskazania zarejestrowanego, które, zgodnie z ChPL Imbruvica, obejmuje wszystkich chorych z CLL po co najmniej jednej linii leczenia.

Dowody naukowe

Pochodzą z jednego badania randomizowanego RESONATE i badania obserwacyjnego Osterborg 2016.



Problem ekonomiczny

Terapia jest efektywna kosztowo

Główne argumenty decyzji

Ibrutynib jest terapią przełomową i powszechnie akceptowaną w leczeniu przewlekłej białaczki limfatycznej.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.2.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Imbruvica (ibrutynib) we wskazaniu: w ramach programu lekowego »Ibrutynib w leczeniu chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową (ICD 10: C.91.1)«”.
Data ukończenia: 21.03.2019 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia.
2. Opinia ekspercka przedstawiona w trakcie posiedzenia.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Janssen - Cilag 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 2018 r., poz. 1330 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419 z późn. zm.).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Janssen - Cilag Polska Sp. z o.o.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 26/2019 z dnia 1 kwietnia 2019 roku
w sprawie oceny leku Brintellix (wortioksetyna)
w leczeniu dużych epizodów depresyjnych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Brintellix (wortioksetyna), 10 mg, tabletki powlekane, 28 tabl., kod EAN: 5702157142187, we wskazaniu: leczenie dużych epizodów depresyjnych (MDD, ang. Major Depression Disorder) u dorosłych, u których w leczeniu bieżącego epizodu nie uzyskano poprawy mimo zastosowania leku z grupy selektywnych inhibitorów zwrotnego wychwytu serotoniny (SSRI, ang. Selective Serotonin Reuptake Inhibitors) lub z grupy inhibitorów wychwytu zwrotnego serotoniny i noradrenaliny (SNRI, ang. Serotonin Norepinephrine Reuptake Inhibitors); jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej, z poziomem odpłatności 30%, pod warunkiem

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia zlecił przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT na zasadzie art. 35 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2017 r. poz. 1844, z późn. zm.) w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego: Brintellix (wortioksetyna), 10 mg, tabletki powlekane, 28 tabl., EAN: 5702157142187, we wskazaniu „Leczenie dużych epizodów depresyjnych (MDD, ang. Major Depression Disorder) u dorosłych, u których w leczeniu bieżącego epizodu nie uzyskano poprawy mimo zastosowania leku z grupy selektywnych inhibitorów zwrotnego wychwytu serotoniny (SSRI, ang. Selective Serotonin Reuptake Inhibitors) lub z grupy inhibitorów wychwytu zwrotnego serotoniny i noradrenaliny (SNRI, ang. Serotonin Norepinephrine Reuptake Inhibitors).”.

Dowody naukowe

Analiza systematyczna badań wskazuje podobną skuteczność wortioksetyny w leczeniu dużych epizodów depresyjnych, po nieskutecznym leczeniu lekami



z grupy SSRI lub SNRI, w porównaniu do sertraliny i wenlafaksyny oraz wyższą skuteczność w odniesieniu do agomelatyny. Wyniki porównania bezpośredniego z agomelatyną (badanie REVIVE) wskazują na przewagę wortioksetyny, między innymi pod względem nasilenia depresji (skala MADRS), odpowiedzi na leczenie (>50% poprawa wartości w skali MADRS), szansy na uzyskanie remisji (definiowanej jako uzyskanie wartości w skali MADRS ≤ 10 punktów), jak również jakości życia (EQ-5D), ocenianych po 8 jak i po 12 tygodniach leczenia. Należy jednak zauważyć, że różnica w efekcie klinicznym pomiędzy wortioksetyną a agomelatyną w skali MADRS była na granicy istotności klinicznej (zmiana o 2,2 punktu przy granicy istotności różnicy klinicznej 2,0), a w skali HAM-A nie osiągała poziomu istotności klinicznej (zmiana o 1,9 przy granicy istotności różnicy klinicznej >2).

W porównaniu pośrednim wortioksetyny z sertralina i wenlafaksyną wykazano, że charakteryzuje się ona porównywalnymi wynikami pod względem odpowiedzi na leczenie (analiza własna Agencji oraz przeglądy Brignone 2016 oraz NICE 2015), jak również pod względem prawdopodobieństwa osiągnięcia remisji. W badaniach wykorzystanych w analizie pośredniej, odpowiedź na leczenie oceniano przy pomocy różnych skal (MADRS, HAM-D, QIDS-SR-16). Brak jest dostępnych badań porównujących bezpośrednio wortioksetynę z komparatorami (sertralina i wenlafaksyną). Analiza skuteczności została przeprowadzona metoda porównań pośrednich i w związku z tym jej wyniki obarczone są znaczną niepewnością.

Odnaleziono 6 pozytywnych rekomendacji refundacyjnych (SMC 2016, NICE 2015, IQWiG 2015, HAS 2015, Zorginstituut Nederland 2014 oraz AWMMSG, który przyjmuje rekomendację NICE) i 2 rekomendacje negatywne (NCPE 2016, PBAC 2014). W rekomendacjach pozytywnych zwraca się głównie uwagę na porównywalną skuteczność wortioksetyny względem komparatorów. W rekomendacji negatywnej NCPE zwraca się głównie uwagę na kwestię efektywności kosztowej, niejasne miejsce wortioksetyny w terapii depresji, względem leków z grupy SSRI i SNRI (PBAC). Rekomendacje NICE 2015/AWMMSG i SMC 2016 sugerują ograniczenie stosowania wortioksetyny do pacjentów z niewystarczającą poprawą po zastosowaniu 2 leków przeciwdepresyjnych. W rekomendacjach HAS 2015 przypisuje się wortioksetynę do grupy leków, których finansowanie jest możliwe przy cenie niższej niż komparatory.

Eksperti kliniczni popierają finansowanie wortioksetyny we wnioskowanym wskazaniu.

Profil bezpieczeństwa wortioksetyny jest zadowalający. Według charakterystyki produktu leczniczego Brintellix, najczęściej występującymi działaniami niepożądanymi są zaburzenia ze strony przewodu pokarmowego, a ponadto nietypowe sny, zawroty głowy oraz świąd. W badaniu REVIVE wykazano, że profil bezpieczeństwa agomelatyny i wortioksetyny był podobny, jedynie

liczba pacjentów z nudnościami była większa w grupie wortioksetyny niż agomelatyny. W porównaniu z sertraliną i wenlafaksyną profil działań niepożądanych wortioksetyny wydaje się korzystniejszy.

Problem ekonomiczny

Przeprowadzona przez wnioskodawcę analiza efektywności kosztowej wykazała, że terapia wortioksetyną [redacted] w porównaniu z wenlafaksyną, sertraliną i agomelatyną, zarówno z perspektywy wspólnej, jak i z perspektywy płatnika publicznego. Objęcie wortioksetyny refundacją będzie się jednak wiązało się z [redacted]

[redacted]. Konieczne jest więc [redacted].

Główne argumenty decyzji

Aktualnie dostępne dane wskazują na możliwość zastosowania wortioksetyny u pacjentów nie odpowiadających na wcześniejszą terapię przy pomocy leków z grupy SSRI lub SNRI. Jednakże dostępne dane kliniczne, które oceniają efektywność leku w takiej populacji są skromne. Brak jest danych oceniających bezpośrednio wortioksetynę z komparatorami, poza badaniem z agomelatyną. W związku z tym, wszelkie oszacowania kliniczne jak i ekonomiczne są oparte na analizach pośrednich. Wytyczne refundacyjne wskazują na zasadność refundacji leku, jednak przy założeniu redukcji jego kosztów.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4330.2.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Brintellix (wortioksetyna) we wskazaniu: leczenie dużych epizodów depresyjnych u dorosłych, u których w leczeniu bieżącego epizodu nie uzyskano poprawy mimo zastosowania leku z grupy selektywnych inhibitorów zwrotnego wychwytu serotoniny (SSRI, ang. Selective Serotonin Reuptake Inhibitors) lub z grupy inhibitorów wychwytu zwrotnego serotoniny i noradrenaliny (SNRI, ang. Serotonin Norepinephrine Reuptake Inhibitors)”. Data ukończenia: 20 marca 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2018 r., poz. 1330 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419 z późn. zm.).

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

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



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 85/2019 z dnia 1 kwietnia 2019 roku

o projekcie programu „Poprawa dostępu do stomatologa dzieci i młodzieży w szkołach na lata 2019-2025” gm. Bobolice

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Poprawa dostępu do stomatologa dzieci i młodzieży w szkołach na lata 2019-2025” gm. Bobolice, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Zaproponowany projekt programu ma na celu zwiększenie dostępu do świadczeń stomatologicznych dla dzieci i młodzieży do ukończenia 18 roku życia w gminie Bobolice, ze szkół podstawowych: w Bobolicach, Kłaninie, Kurowie, Dargini i Drzewian; Przedszkoli: w Bobolicach oraz oddziałów przedszkolnych Kłanino, Kurowo, Dargiń, Drzewiany, młodzieży uczęszczającej do liceum ogólnokształcącego „Nauta” w Bobolicach, jak i młodzieży uczęszczającej do szkół ponadpodstawowych poza obrębem gminy, ale mieszkających na terenie gminy Bobolice. Skierowany jest do dzieci i młodzieży do 18 r ż – ok. 2 029 uczestników w czasie trwania programu oraz ich rodziców/opiekunów prawnych.

Zaproponowano następujące interwencje:

- działania edukacyjne dla dzieci oraz ich rodziców/opiekunów prawnych,
- procedury z zakresu stomatologii zachowawczej, endodoncji oraz profilaktyki stomatologicznej,
- wizyty adaptacyjne.

Wnioskodawca przedstawia opis problemu zdrowotnego, jakim jest próchnica, wskazując na jej definicję, czynniki ryzyka oraz czynniki etiologiczne. Wskazano również na znaczenie działań profilaktycznych stosowanych w wykrywaniu próchnicy.

Opiniowany projekt wpisuje się w następujący priorytet: „tworzenie warunków sprzyjających utrzymaniu i poprawie zdrowia w środowisku nauki, pracy i zamieszkania”, należący do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469). Należy również zaznaczyć, że prowadzenie zintegrowanej, skojarzonej profilaktyki próchnicy zębów, w tym organizacja bezpłatnej opieki



stomatologicznej (profilaktykii leczenia) dla dzieci i młodzieży, stanowi czwarty cel operacyjny Narodowego Programu Zdrowia na lata 2016-20201. Na str. 16 programu wnioskodawca odwołuje się do poprzedniego narodowego programu.

Do treści projektu dołączono wykaz piśmiennictwa, na podstawie którego przygotowana została jego treść. Przedstawione informacje zostały zweryfikowane i nie budzą zastrzeżeń.

Zakończenie udziału w programie nastąpi po przeprowadzeniu pełnej ścieżki diagnostyczno-leczniczej. Nie wskazano innych warunków związanych z zakończeniem 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.441.13.2019 „Poprawa dostępu do stomatologa dzieci i młodzieży w szkołach na lata 2019-2025” realizowany przez: Gminę Bobolice, data ukończenia: marzec 2019 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki próchnicy u dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z listopada 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 86/2019 z dnia 1 kwietnia 2019 roku

o projekcie programu „Program kompleksowej terapii i rehabilitacji dzieci i młodzieży z terenu Miasta Zabrze”

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program kompleksowej terapii i rehabilitacji dzieci i młodzieży z terenu Miasta Zabrze”.

Uzasadnienie

Cel Programu: Poprawa stanu psychofizycznego u 25% osób w przedziale wiekowym 0-25 lat, uczestniczących w programie, poprzez wdrożenie wczesnej diagnostyki i terapii zaburzeń rozwojowych, diagnozy psychologicznej i logopedycznej oraz rehabilitacji, a także zapewnienie ciągłości procesu kompleksowej terapii na terenie Gminy Zabrze, w latach 2019-2021.

Należy zaznaczyć, że Agencja opiniowała już podobny projekt programu pod tym samym tytułem, który otrzymała od Miasta Zabrze pismem ZPS.8023.2.2.2015 z dn. 11.11.2015 r. Prezes Agencji wydał opinię negatywną (opinia Prezesa Agencji nr 9/2016).

Obecnie uwzględniono większość uwag do odrzuconego programu, jednak w głównej mierze ograniczyło się to do przeformułowania lub dookreślenia kryteriów.

Większość celów przedstawionych przez wnioskodawcę nie zostało przygotowanych w oparciu o koncepcję SMART. Należy przy tym podkreślić, że cel szczegółowy 2 stanowi działanie. Poza tym w przypadku celu 6 nie odnajduje się miernika, za pomocą którego dany cel miałby zostać zmierzony. W obecnie ocenianym projekcie podjęto próbę przeformułowania celów, zgodnie z uwagami Prezesa Agencji, natomiast nadal nie spełniają one reguły SMART i zawierają również inne błędy wskazane w analizie.

Program skierowany jest min. do osób w wieku 0-25 lat z różnego stopnia zaburzeniami układu nerwowego bez niepełnosprawności intelektualnej. Należy zaznaczyć, że tytuł programu odnosi się do dzieci i młodzieży, natomiast populacja włączana do programu to osoby w wieku od 0 do 25 lat o bardzo szerokich kryteriach włączenia.

Program zaplanowany został na lata 2019-2021. Nie wskazano czy planuje się jego kontynuację w latach następnych.



Kompleksowa ocena stanu zdrowia obejmująca diagnostykę wad postawy znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej i, zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia, powinna być przeprowadzana u dzieci w ramach testów przesiewowych wykonywanych przez lekarzy POZ m.in. w czasie rocznego obowiązkowego przygotowania przedszkolnego (bądź w I klasie szkoły podstawowej), w III i V klasie szkoły podstawowej, a także w klasach I szkół gimnazjalnych i ponadgimnazjalnych. Na wszystkich wymienionych etapach edukacji, w zakresie profilaktycznego badania lekarskiego, przeprowadzane jest badanie przedmiotowe m.in. ze szczególnym uwzględnieniem oceny rozwoju fizycznego (pomiar: wzrostu i masy ciała), w tym określenie współczynnika masy ciała (Body Mass Index - BMI) oraz oceny układu ruchu wraz z wykrywaniem zaburzeń układu ruchu, w tym boczno-skazywienia kręgosłupa.

Zgodnie z Rozporządzeniem MZ z dn. 6 listopada 2013 r., w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu opieki psychiatrycznej i leczenia uzależnień, w Polsce realizowane są porady kompleksowo-konsultacyjne dla osób z autyzmem dziecięcym, udzielane przez przynajmniej dwie osoby z zespołu specjalistów i obejmujące m.in. zebranie wywiadu, badanie stanu psychicznego i somatycznego, badanie psychologiczne (w razie potrzeby z zastosowaniem specjalistycznych testów), instruktaż i psychoedukację dla rodzin, konsultacje dla osób sprawujących opiekę nad dziećmi w placówkach, prowadzące do ustalenia rozpoznania, diagnozy funkcjonalnej, zaleceń w formie indywidualnego programu terapeutyczno-rehabilitacyjnego i wydania zaświadczenia i opinii w formie pisemnej. Ponadto w ramach świadczeń gwarantowanych realizowany jest również program terapeutyczno-rehabilitacyjny dla osób z autyzmem dziecięcym, obejmujący: wizyty terapeutyczne, polegające na indywidualnej terapii psychologicznej, terapię i poradnictwo psychologiczne dla rodzin, terapię zaburzeń mowy oraz porozumiewania się, psychoedukację rodziców oraz grupowe zajęcia terapeutyczne (5-10 osobowe; min. 2 osoby z personelu) – łącznie dla jednego pacjenta do 360 godzin leczenia w ciągu roku (tj. ok. 15 pełnych dni w roku).

W ramach oceny efektywności programu zaplanowano wykorzystanie mierników efektywności dotyczących celów programu. Uwagi dotyczące mierników zostały przedstawione w komentarzu analitycznym dotyczącym celów i mierników. Warto przypomnieć, że ewaluacja programu powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu, co nie zostało ujęte w części dotyczącej ewaluacji.

W projekcie nie odniesiono się do skuteczności klinicznej.

USPSTF w swoich zaktualizowanych rekomendacjach (2018) uważa, że obecne dowody naukowe nie są wystarczające do oceny bilansu korzyści i szkód,

związanych z przesiewem w kierunku wykrycia skoliozy młodzieńczej u dzieci i młodzieży w wieku od 10 do 18 lat. Poparcie dla ww. stanowiska wyraziło również American Academy of Family Physicians (AAFP 2018). Nie odnaleziono żadnych opracowań wtórnych (przeeglądów systematycznych, metaanaliz), badań eksperymentalnych (RCT, badań z pseudorandomizacją, bez randomizacji, badań jednoramiennych) oraz badań obserwacyjnych z grupą kontrolną dot. badania z zastosowaniem podoskopu i podobarografu w kierunku deformacji stóp i wad postawy u dzieci i młodzieży.

Większość wytycznych wskazuje, że badanie przesiewowe dzieci od 18 m. ż. Do 30 m.ż. (USPSTF 2016), poniżej 5 r.ż. (UK NSC 2012) oraz w populacji ogólnej (SIGN 2016, AMS-MOH 2010, SIGN 2007) bez zgłaszanych obaw, co do ryzyka wystąpienia danego zaburzenia nie jest zalecane.

Rozpoznanie i diagnoza ASD u dzieci i młodzieży powinna być wykonywana przez wielodyscyplinarne zespoły ASD, które mogą obejmować: pediatrę, psychiatrę dziecięcą, logopedę, psychologa czy terapeutę zajęciowego (NICE 2011, AMS-MOH 2010) co nie do końca zostało ujęte w programie

W projekcie nie odniesiono się do efektywności kosztowej w zakresie planowanych działań oraz nie odniesiono się do bezpieczeństwa działań wykorzystywanych w programie.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: OT.441.14.2019 „Program kompleksowej terapii i rehabilitacji dzieci i młodzieży z terenu Miasta Zabrze” realizowany przez: Miast Zabrze, data ukończenia: marzec 2019 oraz Aneksów do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki i korekcji wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny” z marca 2018 r. oraz „Wczesna diagnostyka i terapia zaburzeń ze spektrum autyzmu (ASD)” z kwietnia 2017 r.