



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

BP.401.19.2019.LAn

Protokół nr 17/2019
z posiedzenia Rady Przejrzystości
w dniu 6 maja 2019 roku
w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Agencji)

Rafał Niżankowski otworzył posiedzenie o godzinie 10:30.

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni przy rozpoczęciu posiedzenia (wymagane kworum: 7 osób):

1. Anna Cieślik
2. Anna Gręziak
3. Michał Myśliwiec
4. Rafał Niżankowski
5. Rafał Suwiński
6. Piotr Szymański
7. Janusz Szyndler
8. Dariusz Tereszowski-Kamiński

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Jakub Pawlikowski

Proponowany porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia, ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego współfinansowanego przez UE w ramach EFS: „Wczesne wykrywanie oraz rehabilitacja wad wzroku wśród uczniów pierwszych klas szkół podstawowych” (woj. świętokrzyskie).
3. Przygotowanie opinii o projektach programów polityki zdrowotnej jednostek samorządu terytorialnego:
 - 1) „Profilaktyka w zakresie zdrowego odżywiania się oraz wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród młodzieży ze szkół ponadgimnazjalnych w powiecie dzierzoniowskim na lata 2019-2022”,
 - 2) „Profilaktyka higieny jamy ustnej ze szczególnym uwzględnieniem próchnicy zębów dzieci klas I, II i III szkół podstawowych z terenu powiatu dzierzoniowskiego na lata 2019-2022”,
 - 3) „Program zapobiegania zakażeniom wirusem brodawczaka ludzkiego w Gminie Supraśl w latach 2018-2020”,



- 4) „Program profilaktyki zakażeń wirusami brodawczaka ludzkiego (HPV) na terenie Gminy Miasta Gdańska na lata 2019-2021”,
 - 5) „Szczepienia przeciwko wirusowi brodawczaka ludzkiego (HPV) na terenie miasta Ełku dziewczynek w wieku 13 lat na lata 2019-2023”,
 - 6) „Program profilaktycznych szczepień przeciwko meningokokom dla dzieci zamieszkałych na terenie Gminy Miasto Szczecin w latach 2019-2020”,
 - 7) „Program profilaktycznych szczepień przeciw grypie dla mieszkańców Legnicy w wieku 60+ na 2019 rok”,
 - 8) „Program profilaktyczny przeciwko zakażeniom pneumokokowym wśród mieszkańców Elbląga po 65 roku życia z grupy ryzyka”.
4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku MABTHERA (rituximab) we wskazaniu: CAPS - katastrofalny zespół antyfosfolipidowy (ICD10: M35.8).
 5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku BRINEURA (cerliponasum alfa) w ramach programu lekowego „Leczenie lipofuscynozy neuronalnej typu 2 (ICD-10 E 75.4)”.
 6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku REPATHA (evolocumabum) w ramach programu lekowego „Leczenie hipercholesterolemii rodzinnej (ICD-10 E78.01)”.
 7. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Żaden z członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) zatwierdziła porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących projektu programu polityki zdrowotnej woj. świętokrzyskiego dot. wad wzroku u uczniów.

W trakcie trwania prezentacji, na posiedzenie przybył Adam Maciejczyk, który nie zadeklarował konfliktu interesów.

Propozycję opinii przedstawił Dariusz Tereszowski-Kamiński, a w formułowaniu treści uchwały udział brali: Michał Myśliwiec, Dariusz Tereszowski-Kamiński i Rafał Niżankowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. 1) Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących projektu programu polityki zdrowotnej pow. dzierzoniowskiego dot. zdrowego odżywiania oraz wykrywania nadwagi i otyłości. Propozycję opinii przedstawiła Anna Gręziak, a w formułowaniu treści uchwały udział brali: Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec, Anna Gręziak i Piotr Szymański.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

2) Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących projektu programu polityki zdrowotnej pow. dzierzoniowskiego dot. higieny jamy ustnej. Propozycję opinii przedstawiła Anna Gręziak, a w dyskusji Rady, w wyniku której sformułowano treść uchwały, udział brali: Michał Myśliwiec, Rafał Niżankowski, Dariusz Tereszowski-Kamiński, Piotr Szymański i Anna Gręziak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

3) Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących projektu programu polityki zdrowotnej gm. Supraśl w zakresie zapobiegania zakażeniom HPV. Propozycję opinii przedstawiła Anna Cieślik, a w dyskusji Rady, w wyniku której sformułowano treść uchwały, udział brali: Rafał Niżankowski, Rafał Suwiński, Anna Cieślik, Michał Myśliwiec i Dariusz Tereszkowski-Kamiński.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

4) Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących projektu programu polityki zdrowotnej gm. m. Gdańska w zakresie profilaktyki zakażeń HPV. Propozycję opinii przedstawiła Anna Cieślik, a w dyskusji Rady udział brali: Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec i Anna Cieślik.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

5) Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących projektu programu polityki zdrowotnej m. Ełku w zakresie szczepień przeciwko HPV. Propozycję opinii przedstawiła Anna Cieślik, a w dyskusji Rady udział brali: Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec i Anna Cieślik.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

6) Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących projektu programu polityki zdrowotnej gm. m. Szczecin w zakresie szczepień przeciwko meningokokom. Propozycję opinii, w zastępstwie nieobecnego na posiedzeniu Jakuba Pawlikowskiego, odczytał Rafał Niżankowski. W dyskusji Rady, w wyniku której sformułowano treść uchwały, udział brali: Janusz Szyndler, Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec, Anna Gręziak i Piotr Szymański.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

7) Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących projektu programu polityki zdrowotnej Legnicy w zakresie szczepień przeciwko grypie. Propozycję opinii, w zastępstwie nieobecnego na posiedzeniu Jakuba Pawlikowskiego, odczytał Rafał Niżankowski. W dyskusji Rady, w wyniku której sformułowano treść uchwały, udział brali: Rafał Niżankowski, Piotr Szymański i Michał Myśliwiec.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

8) Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących projektu programu polityki zdrowotnej Elbląga w zakresie profilaktyki przeciwko zakażeniom pneumokokowym. We wstępnej dyskusji Rady udział brali: Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec i Anna Gręziak, po czym propozycję opinii, w zastępstwie nieobecnego na posiedzeniu Jakuba Pawlikowskiego, odczytał Rafał Niżankowski. Rada sformułowała treść opinii, w czym udział brali: Rafał Niżankowski, Michał Myśliwiec, Anna Gręziak,

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dot. leku MabThera we wskazaniu dot. katastrofalnego zespołu antyfosfolipidowego (RDTL).

Projekt opinii przedstawił Rafał Suwiński, po czym w dyskusji Rady, w wyniku której sformułowano treść uchwały, udział brali: Anna Gręziak, Michał Myśliwiec, Rafał Niżankowski i Rafał Suwiński.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących leku Brineura w ramach programu lekowego dot. leczenia lipofuscynozy neuronalnej (wniosek refundacyjny), a projekt stanowiska przedstawił Janusz Szyndler. We wstępnej dyskusji Rady głos zabrali: Rafał Niżankowski, Janusz Szyndler, Anna Gręziak, Michał Myśliwiec, Rafał Suwiński, Piotr Szymański i Anna Cieślik.

Rada wysłuchała opinii przedstawicielki pacjentów, dopuszczonej do udziału w posiedzeniu, po czym kontynuowała dyskusję i sformułowala treść uchwały, w czym udział brali: Janusz Szyndler, Rafał Niżankowski, Anna Gręziak, Piotr Szymański, Anna Cieślik, Rafał Suwiński, Adam Maciejczyk,

Prowadzący zarządził głosowanie. Rada 5 głosami „za”, przy 4 głosach „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 11 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji zaprezentował podsumowanie informacji dotyczących leku Repatha w ramach programu lekowego dot. hipercholesterolemii rodzinnej (wniosek refundacyjny), a projekt stanowiska przedstawił Piotr Szymański.

W dyskusji Rady udział brali: Michał Myśliwiec, Piotr Szymański i Rafał Niżankowski, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 12 do protokołu).

Posiedzenie opuścili Michał Myśliwiec i Adam Maciejczyk.

Rada wysłuchała opinii eksperta, dopuszczonego do udziału w posiedzeniu, który odpowiadał także na pytania Rady.

Ad 7. Posiedzenie zakończyło się o godzinie 14:57.

Rafał Niżankowski
Przewodniczący Rady Przejrzystości

.....
(data i podpis)



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 119/2019 z dnia 6 maja 2019 roku
o projekcie programu „Wczesne wykrywanie oraz rehabilitacja wad
wzroku wśród uczniów pierwszych klas szkół podstawowych”
(woj. świętokrzyskie)**

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Wczesne wykrywanie oraz rehabilitacja wad wzroku wśród uczniów pierwszych klas szkół podstawowych” (woj. świętokrzyskie), pod warunkiem zmiany tytułu programu na „Wczesne wykrywanie oraz korekcja wad wzroku wśród uczniów pierwszych klas szkół podstawowych” oraz uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Cel główny: wzrost dostępności do świadczeń z zakresu edukacji zdrowotnej w zakresie higieny narządu wzroku i wczesnego wykrywania wad wzroku, u co najmniej 50% uczniów klas pierwszych szkół podstawowych w województwie świętokrzyskim w latach 2020-2022.

Populacja:

- *bezpośrednia: uczniowie klas I szkół podstawowych z terenu województwa świętokrzyskiego (łącznie 21 585 dzieci); Populacja (uczniowie I klas szkół podstawowych) zgodna z wytycznymi AAPOS 2014B. (American Association for Pediatric Ophthalmology and Strabismus),*
- *pośrednia: rodzice/opiekunowie prawni, dyrektorzy szkół podstawowych, nauczyciele wychowania wczesnoszkolnego/ pedagogzy szkół podstawowych, pielęgniarki POZ, pielęgniarki środowiska nauczania i wychowania, higienistki szkolne, lekarze okuliści, ortoptycy z terenu województwa świętokrzyskiego.*

Planowane interwencje:

- *działania szkoleniowe (kierowane do nauczycieli wychowania wczesnoszkolnego/pedagogów, pielęgniarek POZ, pielęgniarek nauczania i wychowania oraz higienistek szkolnych);*
- *działania edukacyjne ukierunkowane na uczniów klas I szkół podstawowych oraz ich rodziców/opiekunów prawnych;*



- badania przesiewowe wykrywające: zaburzenia ostrości wzroku (tablice Sloana, tablica LEA Symbols); zez (test Cover, test Hirschberga); zaburzenia widzenia stereoskopowego (test czterech świateł Wortha, test Muchy),
- zindywidualizowane działania interwencyjne (skierowane do dzieci, u których w ramach badań przesiewowych zostaną stwierdzone nieprawidłowości) obejmujące przeprowadzenie badań okulistycznych w gabinetach specjalistycznych przez lekarzy okulistów oraz dofinansowanie kosztów zakupu szkielek korekcyjnych wraz z oprawkami.

Planowany termin realizacji programu: 2020-2022.

Oceniany projekt częściowo wpisuje się w następujący priorytet (mając na uwadze możliwość wdrożenia wczesnej diagnostyki i leczenia wad wzroku): „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. 2018 poz. 469). Oceniany projekt odnosi się do konkretnego, dobrze zdefiniowanego problemu zdrowotnego, jakim są wady wzroku występujące u dzieci.

Zaburzenia narządu wzroku są jednymi z najczęstszych zaburzeń występujących u dzieci i młodzieży w wieku szkolnym. Rodzaj tych zaburzeń oraz ich częstota zależy od wieku dziecka.

Najczęstszymi zaburzeniami są: wady refrakcji, zez, zaburzenia widzenia barw, amblyopia („leniwe oko”) – definiowana jako deficyt w ostrości widzenia stwierdzony za pomocą np. tablic Snellena.

Co prawda, zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 24 września 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej, kompleksowa ocena stanu zdrowia, obejmująca diagnostykę wad wzroku, może być przeprowadzana u dzieci w ramach świadczeń gwarantowanych, jednak wg. danych nt. rozpoznań zaburzeń refrakcji i akomodacji oka wśród osób w wieku 0-18 lat pozostających pod opieką lekarza POZ w Polsce, (na podstawie danych pochodzących ze sprawozdań MZ-11), w 2015 średni współczynnik występowania tych zaburzeń na 10 tys. osób w Polsce wynosił 262,8, tymczasem w woj. Świętokrzyskim w 2017 wynosił 290,2 - czyli był znacząco wyższy.

Dowody naukowe skuteczności klinicznej - eksperci są zgodni, że wczesne wykrywanie i odpowiednia korekcja wad wzroku jest kluczowa dla prawidłowego rozwoju dziecka, a ich opóźnione wykrycie może niekiedy powodować nieodwracalne zmiany.

Co prawda w opiniach ekspertów nie ma zgodności co do optymalnego wieku, w jakim realizowany powinien być skryning w kierunku wad wzroku, to jednak

część wytycznych wskazuje za zasadne prowadzenie skryningu również w określonej przez wnioskodawcę grupie wiekowej (CPS 2016, AAPOS 2014B).

Stosowanie interwencji edukacyjnych może być efektywne w poprawie chęci stosowania się dzieci do zaleceń w zakresie zastaniania zdrowego oka w leczeniu amblyopii. (Dean 2015).

Dowody pośrednie wskazują, że przeprowadzenie kilku testów przesiewowych jest użyteczne w identyfikacji dzieci w wieku przedszkolnym z czynnikami ryzyka amblyopii lub innych wad wzroku (Jonas 2017).

Podsumowując: cel główny i cele szczegółowe programu zostały dobrze określone. Projekt PPZ zawiera dobry opis danych epidemiologicznych korelujących z wybranym problemem zdrowotnym. Projekt wpisuje się częściowo w priorytet zdrowotny określony przez Ministra Zdrowia,

Budżet: opiniowany projekt programu będzie współfinansowany przez Unię Europejską w ramach Europejskiego Funduszu Społecznego w perspektywie finansowej 2014-2020. Koszty całkowite realizacji programu to: 6 585 217,50 zł. Wnioskodawca przedstawił szczegółowo koszty interwencji na poszczególnych etapach. 7,5% środków będzie pochodziło z Budżetu Państwa, kolejne 7,5% - ze środków własnych realizatora.

Biorąc pod uwagę istotną wagę problemu zdrowotnego, wymienione wyżej rekomendacje oraz rzetelność z jaką wniosek został napisany Rada pozytywnie opiniuje projekt programu zdrowotnego

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.441.29.2019 „Wczesne wykrywanie oraz rehabilitacja wad wzroku wśród uczniów pierwszych klas szkół podstawowych” realizowany przez: Województwo Świętokrzyskie, Warszawa, kwiecień 2019 r. oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z sierpnia 2017.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 120/2019 z dnia 6 maja 2019 roku
o projekcie programu „Profilaktyka w zakresie zdrowego odżywiania
się oraz wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród młodzieży
ze szkół ponadgimnazjalnych w powiecie dzierżoniowskim na lata
2019-2022”**

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Profilaktyka w zakresie zdrowego odżywiania się oraz wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród młodzieży ze szkół ponadgimnazjalnych w powiecie dzierżoniowskim na lata 2019-2022”.

Uzasadnienie

Projekt wpisuje się w priorytet „przeciwdziałanie występowaniu otyłości”, wymieniony w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469).

Cel główny programu to podniesienie świadomości zdrowotnej i wykształcenie odpowiednich zachowań profilaktycznych i nawyków żywieniowych u młodzieży ze szkół ponadgimnazjalnych.

Wnioskodawca zaproponował też 6 celów szczegółowych:

- 1. kształtowanie zmiany postaw i zachowań prozdrowotnych związanych z prawidłowym żywieniem, odpowiednią jakością zdrowotną żywności,*
- 2. propagowanie zdrowego stylu życia w szkole, w domu i środowisku pozaszkolnym,*
- 3. przekazywanie wiedzy w zakresie znaczenia właściwej diety oraz zrozumienie przez młodzież potrzeby stosowania zbilansowanej diety dla organizmu człowieka,*
- 4. wdrożenie systemu poradnictwa w zakresie dietetyki oraz poprawy aktywności fizycznej,*
- 5. nabycie przez młodzież wiedzy i umiejętności korzystania z informacji zamieszczonych na opakowaniach produktów spożywczych,*
- 6. wczesne wykrycie nadwagi i otyłości poprzez przesiewowe badania antropometryczne.*



Cele te nie są w pełni zgodne z koncepcją SMART. Przedstawione zostały w formie działań, a nie celów samych w sobie.

Czas realizacji programu to lata 2019-2022. W ramach programu przewidziano przeprowadzenie następujących interwencji: kampania informacyjna w szkołach ponadgimnazjalnych (plakaty, ulotki), pomiary BMI wśród chętnych uczniów, wykład przeprowadzony przez dietetyka (co najmniej 120 minut), wykład przeprowadzony przez psychologa (co najmniej 120 minut), zorganizowanie konkursu o tematyce programu. Przewiduje się objęcie programem minimum 50% populacji uczniów szkół średnich na terenie powiatu (ok. 1283 osób, w pierwszym roku) z czego pomiar BMI przewidziano u 30% (385 osób).

Zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej, kompleksowa ocena stanu zdrowia obejmująca m.in. ocenę rozwoju fizycznego, w tym pomiary wysokości i masy ciała wraz z określeniem współczynnika masy ciała (BMI) znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej i powinna być przeprowadzana u dzieci w ramach testów przesiewowych wykonywanych przez pielęgniarki lub higienistki szkolne.

Ze środków publicznych nie jest jednak finansowany kompleksowy, interdyscyplinarny system leczenia otyłości, brak jest zwłaszcza finansowania działań związanych z profilaktyką i edukacją prozdrowotną.

W odnalezionych rekomendacjach podkreśla się, że pomiary antropometryczne stanowią integralną część oceny rozwoju somatycznego dzieci (KLRwP/PTMR/PTBO 2018).

W przypadku uzyskania „nieprawidłowego” wyniku BMI, uczniowie poinformowani zostaną o konieczności zastosowania „właściwej diety i odpowiedniej aktywności fizycznej”, a „w trudnych przypadkach” uczestnicy kierowani będą do odpowiedniego specjalisty, tj. dietetyka lub „psychologa żywienia” (wybór będzie należał do uczestnika).

Wnioskodawca nie odniósł się do konkretnych wartości BMI, w przypadku których wdrażana będzie określona ścieżka dalszego postępowania. Zgodnie z wytycznymi każde dziecko z BMI ≥ 85 centyla powinno być monitorowane m.in. pod względem powikłań nadwagi lub otyłości (KLRwP/PTMR/PTBO 2018, MQIC 2018, ES 2017).

Budżet programu

Koszt programu w pierwszym roku jego realizacji oszacowano na 20 000 zł.

W 2019 r. program sfinansowany zostanie w całości ze środków pozostających w dyspozycji Starostwa Powiatowego w Dzierżoniowie. W kolejnych latach dopuszczono możliwość dofinansowania programu ze środków NFZ

Koszt przypadający na jednego uczestnika oszacowano na 15,59 zł.

W budżecie projektu nie uwzględniono kosztów konsultacji specjalistycznych.

Główne argumenty decyzji

- 1. Projekt sporządzony w sposób ogólnikowy.*
- 2. Zaproponowane oddziaływania nie stwarzają szansy na skuteczność.*
- 3. Brak jasnej ścieżki postępowania z młodzieżą w przypadku stwierdzenia nadwagi.*
- 4. Brak finansowania porady dietetycznej i psychologa.*

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.441.17.2019 „Profilaktyka w zakresie zdrowego odżywiania się oraz wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród młodzieży ze szkół ponadgimnazjalnych w Powiecie Dzierżoniowskim na lata 2019-2022” realizowany przez: Powiat dzierżoniowski, Warszawa, kwiecień 2019 r. oraz raportu nr OT.423.2.2018 „Profilaktyka nadwagi oraz otyłości wśród dzieci i młodzieży w ramach programów polityki zdrowotnej” z kwietnia 2019 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 121/2019 z dnia 6 maja 2019 roku
o projekcie programu „Profilaktyka higieny jamy ustnej
ze szczególnym uwzględnieniem próchnicy zębów dzieci klas
I, II i III szkół podstawowych z terenu powiatu dzierzoniowskiego
na lata 2019-2022”**

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Profilaktyka higieny jamy ustnej ze szczególnym uwzględnieniem próchnicy zębów dzieci klas I, II i III szkół podstawowych z terenu powiatu dzierzoniowskiego na lata 2019-2022”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Projekt programu wpisuje się w priorytet: „tworzenie warunków sprzyjających utrzymaniu i poprawie zdrowia w środowisku nauki, pracy i zamieszkania”, wymieniony w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469). Prowadzenie zintegrowanej, skojarzonej profilaktyki próchnicy zębów, w tym organizacja bezpłatnej opieki stomatologicznej (profilaktycznej i leczenia) dla dzieci i młodzieży, stanowi też czwarty cel operacyjny Narodowego Programu Zdrowia na lata 2016-2021.

Cel główny programu: zmniejszenie częstości występowania próchnicy wśród dzieci z populacji docelowej poprzez zintegrowane działania edukacyjne i profilaktyczne prowadzone w latach 2019-2022.

Informacja dla rodziców/opiekunów dziecka o możliwości skorzystania z programu profilaktyki próchnicy przekazywana będzie poprzez plakaty, ulotki oraz informacje w mediach społecznościowych.

W programie zostanie przeprowadzone badanie stomatologiczne z instruktażem higieny jamy ustnej. Po badaniu rodzic/opiekun dziecka otrzyma informację o jego wyniku, a w przypadku zdiagnozowania choroby próchnicowej, zostanie poinformowany o konieczności dalszego leczenia, np. w ramach kontraktu z NFZ. Edukacja dzieci i ich rodziców/opiekunów odbywać się będzie podczas pogadarek, realizowanych w ramach indywidualnej wizyty w gabinecie. Po przeprowadzonym badaniu stomatologicznym lekarz lub asystentka powinni udzielić instruktażu profilaktyki przeciwpróchnicowej, który uwzględni technikę



mycia zębów pastą z fluorem oraz przekazanie informacji na temat prawidłowych nawyków higienicznych i żywieniowych. W szkołach będą rozdawane broszurki informacyjno-edukacyjne dotyczące profilaktyki próchnicy.

Projekt programu nie zawiera informacji na temat planowanej liczby osób objętych programem. Wnioskodawca podaje jedynie, że program obejmie „minimum 50% populacji w danej grupie wiekowej zgodnie z danymi z placówek edukacyjnych”. W wyliczeniach kosztu badań stomatologicznych na 2019 rok przyjęte zostało objęcie badaniami 50% z 1 923 osób.

Budżet programu

Koszt całkowity w roku 2019 - 50 000 zł. Nie zostały oszacowane koszty w kolejnych latach trwania projektu.

Koszt jednostkowy: 52 zł na uczestnika obejmuje: 35 zł - koszt badania stomatologicznego (badanie, edukacja zdrowotna dziecka i rodzica, zestaw - kubek, szczotka, pasta) oraz 17zł - koszty działań informacyjno-edukacyjnych, dodatkowe koszty obsługi programu (promocja, ankiety, materiały) oraz pozostałe koszty organizatora.

Źródła finansowania: Powiat Dzierżoniowski. W kolejnych latach dopuszczono możliwość dofinansowania programu ze środków NFZ.

Uwagi Rady:

- 1. program powinien zawierać wskazanie sposobu postępowania i zapewniać leczenie stwierdzonych przypadków próchnicy,*
- 2. tytuł programu powinien brzmieć „Profilaktyka próchnicy zębów dzieci klas I, II i III szkół podstawowych z terenu powiatu dzierżoniowskiego na lata 2019-2022”,*
- 3. wprowadzenie oceny poprawności mycia zębów przez objęte programem dzieci.*

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.441.18.2019 „Profilaktyka higieny jamy ustnej ze szczególnym uwzględnieniem próchnicy zębów dzieci klas I, II i III szkół podstawowych z terenu powiatu dzierżoniowskiego na lata 2019-2022” realizowany przez: Powiat Dzierżoniowski, Warszawa, kwiecień 2019 oraz Aneksu „Programy profilaktyki próchnicy u dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z listopada 2017 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 122/2019 z dnia 6 maja 2019 roku o projekcie programu „Program zapobiegania zakażeniom wirusem brodawczaka ludzkiego w Gminie Supraśl w latach 2018-2020”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program zapobiegania zakażeniom wirusem brodawczaka ludzkiego w Gminie Supraśl w latach 2018-2020”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Oceniany projekt wpisuje się w następujące priorytety: „zmniejszenie zapadalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych” i „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, należące do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469). Projekt zawiera opis danych epidemiologicznych w zakresie liczby zachorowań i wskaźników przeżyć chorych na RSzM w Polsce. Podobne programy terytorialne były wcześniej pozytywnie oceniane przez Radę.

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

Głównym założeniem programu jest: „poprawa profilaktyki pierwotnej w zakresie szczepień ochronnych w celu obniżenia liczby osób zakażonych wirusem HPV, który może wywoływać raka szyjki macicy, raka sromu, raka pochwy, raka odbytu i brodawki narządów płciowych”. Cel główny powinien być wyraźnie zdefiniowany i precyzyjnie (w odniesieniu do planowanego czasu) wytyczony, a jego osiągnięcie powinno stanowić potwierdzenie skuteczności zaplanowanych działań. Powyższy cel nie jest zgodny z koncepcją SMART.

Populację docelową projektu w zakresie szczepień przeciwko HPV stanowią dziewczynki zameldowane i zamieszkujące na stałe w Gminie Supraśl z roczników: 2005, 2006, 2007 - łącznie 345 dziewczynki, dodatkowo działaniami z zakresu edukacji zostaną objęci chłopcy w tym samym wieku oraz rodzice dzieci z wcześniej wymienionych grup.



Zgodnie z treścią projektu, w programie w 2019 i 2020 roku zastosowana zostanie szczepionka 9-walentna przeciw HPV 6,11,16,18,31,3,3,45,52 i 58, która zapobiega ponadto zmianom dysplastycznym średniego i dużego stopnia oraz brodawkom zewnętrznym narządów płciowych związanych najczęściej z zakażeniem typem 6 lub 11 wirusa brodawczaka ludzkiego. Wnioskodawca przewidział zastosowanie 2-dawkowego schematu szczepienia.

Wnioskodawca zaznaczył, że podmioty realizujące projekt wyłonione zostaną w drodze konkursu ofert, co zgodne jest z wymaganiami ustawowymi.

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.441.28.2019 „Program zapobiegania zakażeniom wirusem brodawczaka ludzkiego w Gminie Supraśl w latach 2018-2020” realizowany przez: Gminę Supraśl, Warszawa, kwiecień 2019 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Szczepienia przeciwko wirusowi brodawczaka ludzkiego (HPV) – wspólne podstawy oceny” z grudnia 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 120/2019 z dnia 6 maja 2019 roku o projekcie programu „Profilaktyka w zakresie zdrowego odżywiania się oraz wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród młodzieży ze szkół ponadgimnazjalnych w powiecie dzierżoniowskim na lata 2019-2022”

Rada Przejrzystości opiniuje negatywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Profilaktyka w zakresie zdrowego odżywiania się oraz wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród młodzieży ze szkół ponadgimnazjalnych w powiecie dzierżoniowskim na lata 2019-2022”.

Uzasadnienie

Projekt wpisuje się w priorytet „przeciwdziałanie występowaniu otyłości”, wymieniony w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469).

Cel główny programu to podniesienie świadomości zdrowotnej i wykształcenie odpowiednich zachowań profilaktycznych i nawyków żywieniowych u młodzieży ze szkół ponadgimnazjalnych.

Wnioskodawca zaproponował też 6 celów szczegółowych:

- 1. kształtowanie zmiany postaw i zachowań prozdrowotnych związanych z prawidłowym żywieniem, odpowiednią jakością zdrowotną żywności,*
- 2. propagowanie zdrowego stylu życia w szkole, w domu i środowisku pozaszkolnym,*
- 3. przekazywanie wiedzy w zakresie znaczenia właściwej diety oraz zrozumienie przez młodzież potrzeby stosowania zbilansowanej diety dla organizmu człowieka,*
- 4. wdrożenie systemu poradnictwa w zakresie dietetyki oraz poprawy aktywności fizycznej,*
- 5. nabycie przez młodzież wiedzy i umiejętności korzystania z informacji zamieszczonych na opakowaniach produktów spożywczych,*
- 6. wczesne wykrycie nadwagi i otyłości poprzez przesiewowe badania antropometryczne.*



Cele te nie są w pełni zgodne z koncepcją SMART. Przedstawione zostały w formie działań, a nie celów samych w sobie.

Czas realizacji programu to lata 2019-2022. W ramach programu przewidziano przeprowadzenie następujących interwencji: kampania informacyjna w szkołach ponadgimnazjalnych (plakaty, ulotki), pomiary BMI wśród chętnych uczniów, wykład przeprowadzony przez dietetyka (co najmniej 120 minut), wykład przeprowadzony przez psychologa (co najmniej 120 minut), zorganizowanie konkursu o tematyce programu. Przewiduje się objęcie programem minimum 50% populacji uczniów szkół średnich na terenie powiatu (ok. 1283 osób, w pierwszym roku) z czego pomiar BMI przewidziano u 30% (385 osób).

Zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej, kompleksowa ocena stanu zdrowia obejmująca m.in. ocenę rozwoju fizycznego, w tym pomiary wysokości i masy ciała wraz z określeniem współczynnika masy ciała (BMI) znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej i powinna być przeprowadzana u dzieci w ramach testów przesiewowych wykonywanych przez pielęgniarki lub higienistki szkolne.

Ze środków publicznych nie jest jednak finansowany kompleksowy, interdyscyplinarny system leczenia otyłości, brak jest zwłaszcza finansowania działań związanych z profilaktyką i edukacją prozdrowotną.

W odnalezionych rekomendacjach podkreśla się, że pomiary antropometryczne stanowią integralną część oceny rozwoju somatycznego dzieci (KLRwP/PTMR/PTBO 2018).

W przypadku uzyskania „nieprawidłowego” wyniku BMI, uczniowie poinformowani zostaną o konieczności zastosowania „właściwej diety i odpowiedniej aktywności fizycznej”, a „w trudnych przypadkach” uczestnicy kierowani będą do odpowiedniego specjalisty, tj. dietetyka lub „psychologa żywienia” (wybór będzie należał do uczestnika).

Wnioskodawca nie odniósł się do konkretnych wartości BMI, w przypadku których wdrażana będzie określona ścieżka dalszego postępowania. Zgodnie z wytycznymi każde dziecko z BMI ≥ 85 centyla powinno być monitorowane m.in. pod względem powikłań nadwagi lub otyłości (KLRwP/PTMR/PTBO 2018, MQIC 2018, ES 2017).

Budżet programu

Koszt programu w pierwszym roku jego realizacji oszacowano na 20 000 zł.

W 2019 r. program sfinansowany zostanie w całości ze środków pozostających w dyspozycji Starostwa Powiatowego w Dzierżoniowie. W kolejnych latach dopuszczono możliwość dofinansowania programu ze środków NFZ

Koszt przypadający na jednego uczestnika oszacowano na 15,59 zł.

W budżecie projektu nie uwzględniono kosztów konsultacji specjalistycznych.

Główne argumenty decyzji

- 1. Projekt sporządzony w sposób ogólnikowy.*
- 2. Zaproponowane oddziaływania nie stwarzają szansy na skuteczność.*
- 3. Brak jasnej ścieżki postępowania z młodzieżą w przypadku stwierdzenia nadwagi.*
- 4. Brak finansowania porady dietetycznej i psychologa.*

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.441.17.2019 „Profilaktyka w zakresie zdrowego odżywiania się oraz wczesnego wykrywania nadwagi i otyłości wśród młodzieży ze szkół ponadgimnazjalnych w Powiecie Dzierżoniowskim na lata 2019-2022” realizowany przez: Powiat dzierżoniowski, Warszawa, kwiecień 2019 r. oraz raportu nr OT.423.2.2018 „Profilaktyka nadwagi oraz otyłości wśród dzieci i młodzieży w ramach programów polityki zdrowotnej” z kwietnia 2019 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 124/2019 z dnia 6 maja 2019 roku

o projekcie programu „Szczepienia przeciwko wirusowi brodawczaka ludzkiego (HPV) na terenie miasta Ełku dziewczynek w wieku 13 lat na lata 2019-2023”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Szczepienia przeciwko wirusowi brodawczaka ludzkiego (HPV) na terenie miasta Ełku dziewczynek w wieku 13 lat na lata 2019-2023”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Oceniany projekt wpisuje się w następujące priorytety: „zmniejszenie zapadalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych” i „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii”, należące do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dn. 27 lutego 2018 r. (Dz.U. z 2018 r., poz. 469).

Projekt zawiera również opis danych epidemiologicznych w zakresie liczby zachorowań i zgonów z powodu RSzM w Polsce. W projekcie programu nie odniesiono się do danych lokalnych i Map Potrzeb Zdrowotnych. Podobne programy terytorialne były wcześniej pozytywnie oceniane przez Radę.

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

Głównym założeniem programu jest: „zaszczepienie dziewczynek, zameldowanych na terenie Ełku w wieku 13 lat szczepionką przeciwko HPV i objęcie działaniami edukacyjnymi dotyczącymi wirusa raka szyjki macicy dzieci w wieku 13 lat (dziewczynki i chłopcy) oraz ich rodziców w latach 2019 -2023 w Ełku”.

Populację docelową projektu w zakresie szczepień przeciwko HPV stanowią mieszkanki miasta Ełk w wieku 13 lat, dodatkowo działaniami z zakresu edukacji zostaną objęci chłopcy w tym samym wieku oraz rodzice dzieci z wcześniej wymienionych grup.



Zgodnie z treścią projektu, „w programie zastosuje się produkty lecznicze zarejestrowane i dopuszczone do obrotu na terenie RP, rekomendowane w wytycznych ogólnopolskich oraz zatwierdzone przez właściwe gremia naukowe (m.in. Polskie Towarzystwo Wakcynologii, Polskie Towarzystwo Farmaceutyczne, Polskie Towarzystwo Profilaktyki Zakażeń HPV, Polskie Towarzystwo Pediatriczne, Polskie Towarzystwo Ginekologiczne)”. Dodatkowo podanie szczepionki, poprzedzone ma zostać badaniem lekarskim w celu wykluczenia występowania przeciwwskazań.

Realizator został wskazany w projekcie programu i ma być nim spółka miejska „Pro-Medica” Sp. Z o.o.. Natomiast zgodnie z zapisami ustawowymi realizator powinien zostać wybrany w drodze konkursu ofert. Wnioskodawca zaznacza jednak, że dostawca szczepionki ma być wybrany w konkursie ofert.

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.441.47.2019 „Szczepienia przeciwko wirusowi brodawczaka ludzkiego (HPV) na terenie miasta Ełku dziewczynek w wieku 13 lat na lata 2019-2023” realizowany przez: Miasto Ełk, Warszawa, kwiecień 2019 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Szczepienia przeciwko wirusowi brodawczaka ludzkiego (HPV) – wspólne podstawy oceny” z grudnia 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 125/2019 z dnia 6 maja 2019 roku o projekcie programu „Program profilaktycznych szczepień przeciwko meningokokom dla dzieci zamieszkałych na terenie Gminy Miasto Szczecin w latach 2019-2020”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktycznych szczepień przeciwko meningokokom dla dzieci zamieszkałych na terenie Gminy Miasto Szczecin w latach 2019-2020”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

*Przedmiotem opinii jest projekt programu polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki zakażeń meningokokowych w populacji dzieci (6 m.ż. - 24 m.ż) zamieszkałych na terenie Gminy Miasta Szczecin. Wnioskodawca oszacował, że do programu rocznie przystąpi ok. 300 dzieci, co stanowi ok. 4% populacji dzieci do 24 m.ż. Szczepienia przeciwko zakażeniom *Neisseria meningitidis* we wnioskowanej populacji są w Polsce zalecane, ale nie są obowiązkowe i nie są finansowane ze środków publicznych.*

W treści projektu programu przedstawiono wszystkie istotne elementy programu polityki zdrowotnej, opis jego monitorowania oraz ewaluacji, a także koszty jednostkowe i ogólne. Opiniowany projekt realizuje priorytet zdrowotny: „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii” określony w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469). Odnalezione dowody naukowe dot. szczepień przeciwko meningokokom wskazują na ich istotną skuteczność kliniczną, szczególnie w populacji o wysokim wskaźniku zapadalności na inwazyjną chorobę meningokokową (Bechini i wsp. 2012; Safadi i wsp. 2006; Campbell 2007). Od wprowadzenia rutynowych szczepień p/MenC w Wielkiej Brytanii zredukowano liczbę zachorowań na inwazyjną chorobę meningokokową o blisko 97% w przedziale czasowym 1998 - 2008 (Trotter i wsp. 2009).

Rada zwraca uwagę, iż w proponowanym programie populacja dzieci szczepionych powinna być zgodna ze wskazaną w Programie Szczepień



Ochronnych 2019 r. (komunikat Głównego Inspektora Sanitarnego z 25.10.2018r.)

Bezpieczeństwo stosowania szczepionek w ocenianym wskazaniu zostało potwierdzone w odnalezionych badaniach oraz w opinii eksperckiej. Najczęstszymi powikłaniami są gorączka, drażliwość (szczególnie u małych dzieci), zaczerwienienie w miejscu podania szczepionki, a czasami bóle głowy, wymioty oraz bóle mięśniowe (Safadi 2006, Conterno 2010). Ponadto w rekomendacjach klinicznych zaznacza się, że niepożądane odczyny poszczepienne są rzadkością, a zgodnie ze stanowiskiem ATAGI (Australia, 2014) celem przeciwdziałaniu gorączce u dzieci poniżej 2. r.ż. zaleca się podawanie przed szczepieniem profilaktycznie odpowiedniej dawki paracetamolu.

Globalne zalecenia Światowej Organizacji Zdrowia od wielu lat wskazują na konieczność włączenia szczepień p/meningokokom do powszechnych programów szczepień, szczególnie w krajach o wysokiej częstości występowania zakażeń meningokokowych (>2-10 przypadków/100 tys. osób rocznie) i w grupach podwyższonego ryzyka wystąpienia inwazyjnej choroby meningokokowej, w tym m. in. u dzieci i młodzieży przebywającej w szkołach z internatem. Istnieją natomiast rozbieżności w rekomendacjach dotyczących przeprowadzaniu rutynowych szczepień przeciwko meningokokom w wieku przewidzianym przez wnioskodawcę. Wytyczne FEMS 2007, NCIRS 2009, MLF 2012, STIKO 2014, PHAC 2015 rekomendują tego typu interwencje. ATAGI 2014, CDC 2008, ACIP 2013, AAP 2014 zalecają szczepienia dzieci poniżej 2 roku życia indywidualnie, jedynie w przypadku podwyższonego ryzyka choroby meningokokowej, ponadto AAP 2014 podkreśla, że rutynowe szczepienia przeciw meningokokom nie są rekomendowane w populacji dzieci zdrowych od 2 m.ż. do 10 r.ż. Polskie Towarzystwo Pediatryczne (2012) zaznacza, że należy wspierać wszelkie akcje prowadzone przez samorządy lokalne i organizacje społeczne z użyciem skoniugowanych szczepionek meningokokowych u dzieci i niemowląt. Szczepienia profilaktyczne przeciwko zakażeniom bakteriami *N. meningitidis* są efektywne kosztowo, ale w populacjach o dużym rozpowszechnieniu zakażeń (NACI, 2014).

Uwagi Rady do programu:

- należy dążyć do szczepienia dzieci w subpopulacjach narażonych na wyższe ryzyko zachorowania (np. dzieci korzystających ze żłobków), co pozwoli zwiększyć efektywność programu,
- w zakresie celów i mierników efektywności należy określić konkretne wartości, które będzie można zmierzyć po zakończeniu programu,
- należy uwzględnić ocenę jakości udzielanych świadczeń.

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.441.31.2019 „Program profilaktycznych szczepień przeciwko meningokokom dla dzieci zamieszkałych na terenie Gminy Miasto Szczecin w latach 2019-2020” realizowany przez: Gminę Miasto Szczecin, Warszawa, kwiecień 2019 oraz Aneksu „Programy profilaktyki zakażeń meningokokowych – wspólne podstawy oceny” z listopada 2015 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 126/2019 z dnia 6 maja 2019 roku

o projekcie programu „Program profilaktycznych szczepień przeciw grypie dla mieszkańców Legnicy w wieku 60+ na 2019 rok”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktycznych szczepień przeciw grypie dla mieszkańców Legnicy w wieku 60+ na 2019 rok”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady oraz zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez miasto Legnica w zakresie szczepień przeciwko grypie, zakładający przeprowadzenie szczepień oraz działań informacyjno-edukacyjnych wśród ok. 800 osób w wieku powyżej 60 roku życia (tj. zaledwie ok. 3% populacji docelowej). Szczepienia przeciwko grypie we wnioskowanej populacji są w Polsce zalecane, ale nie są finansowane ze środków publicznych.

W treści projektu programu przedstawiono wszystkie istotne elementy programu polityki zdrowotnej, dane epidemiologiczne, opis jego monitorowania oraz ewaluacji, a także koszty jednostkowe i ogólne. Opiniowany projekt realizuje priorytet zdrowotny: „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii” określony w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469).

Odnalezione dowody naukowe dot. szczepień przeciwko grypie wskazują na skuteczność ocenianej interwencji, w tym m. in. zmniejszenie powikłań oraz zmniejszenie liczby hospitalizacji i zgonów. Skuteczność szczepień w grupach podwyższonego ryzyka została potwierdzona szeregiem badań obserwacyjnych i randomizowanych, a skuteczność szczepionki u osób po 65 r.ż. szacuje się na 70-90% (Beyer 2013). Szczególnie rekomenduje się szczepienia przeciwko grypie tzw. starszych dorosłych korzystających z opieki instytucjonalnej (Chan 2014).

Na podstawie dostępnych dowodów naukowych szczepionki zawierające rozszczepione wirusy grypy uznane są za bezpieczne. Do często występujących niepożądanych objawów poszczepiennych należą m.in.: bóle głowy, złe samopoczucie czy uczucie ogólnego osłabienia, jednak objawy te ustępują



zazwyczaj w 2 dniu po przeprowadzeniu szczepienia. W badaniach klinicznych ciężkie niepożądane odczyny poszczepienne obserwowano bardzo rzadko.

Planowana interwencja jest zgodna z wytycznymi krajowymi (KLR 2016) i międzynarodowymi (WHO 2017), a proponowana populacja mieści się w przedziale wiekowym zalecanym w wielu wytycznych (CPS 2017, ATAGI 2017, ACIP 2016, KLR 2016, STIKO 2016). Wykazano również efektywność kosztową szczepień p/grypie w populacji osób starszych (LaLam 2016; Shields 2017).

Uwagi Rady do programu:

- należy dążyć w pierwszej kolejności do szczepienia osób starszych w subpopulacjach narażonych na wyższe ryzyko zachorowania (np. przebywających w domach opieki), co pozwoli zwiększyć efektywność programu,

- w zakresie celów należy określić konkretne wartości, do których będzie można dążyć w trakcie realizacji programu, a także przeformułować działania na cele,

- w kosztach jednostkowych należy uwzględnić fakt, że od 1 lipca 2018 r. czterowalentna szczepionka Vaxigrip Tetra znajduje się na liście leków refundowanych, a poziom odpłatności dla pacjenta wynosi 50%,

- programy szczepionkowe dotyczące grypy sezonowej powinny być cykliczne, aby uzyskać odporność populacyjną.

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.441.41.2019 „Program profilaktycznych szczepień przeciw grypie dla mieszkańców Legnicy w wieku 60+ na 2019 rok” realizowany przez: Miasto Legnica, Warszawa, kwiecień 2019 oraz Aneksu „Programy profilaktycznych szczepień ochronnych przeciwko grypie w wybranych grupach ryzyka – wspólne podstawy oceny”, z lipca 2018 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 127/2019 z dnia 6 maja 2019 roku o projekcie programu „Program profilaktyczny przeciwko zakażeniom pneumokokowym wśród mieszkańców Elbląga po 65 roku życia z grupy ryzyka”

Rada Przejrzystości opiniuje pozytywnie projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyczny przeciwko zakażeniom pneumokokowym wśród mieszkańców Elbląga po 65 roku życia z grupy ryzyka”, pod warunkiem uwzględnienia uwag zawartych w raporcie AOTMiT.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej opracowany przez Miasto Elbląg, zakładający przeprowadzenie szczepień przeciwko pneumokokom w populacji osób ≥ 65 lat, leczących się z powodu chorób układu oddechowego z grup J40-J47 klasyfikacji ICD 10 (planuje się zaszczepienie ok. 640 osób). Projekt programu zakłada również prowadzenie działań edukacyjnych metodą bezpośrednią (rozmowa z lekarzem i pielęgniarką) i pośrednią (ulotki informacyjne, plakaty i informacje na stronach internetowych).

*Opiniowany projekt realizuje następujące priorytety: „zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu przewlekłych chorób układu oddechowego” oraz „zwiększenie skuteczności zapobiegania chorobom zakaźnym i zakażeniom, w tym przeciwdziałanie skutkom nieprawidłowej antybiotykoterapii” należące do priorytetów zdrowotnych wymienionych w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. (Dz.U. 2018 poz. 469). Szczepienia przeciwko inwazyjnym zakażeniom *S. pneumoniae* wymienione są w PSO jako szczepienia zalecane, ale dotychczas nie są obowiązkowe i nie są finansowane w grupie osób dorosłych powyżej 50 r.ż.*

*Dowody naukowe (np. Moberley i in. z 2013 r.) wskazują na znaczący wpływ polisacharydowej szczepionki przeciwko *S. pneumoniae*, na zmniejszenie ryzyka zgonu i zachorowania na zapalenie płuc u dorosłych. Przewidywana interwencja w ocenianej grupie wiekowej jest rekomendowana m. in. przez NHS (2018), CDC (2018), STIKO (2017), ACIP (2015), AAP (2014), NICE (2012) i w 25 z 28 krajów UE (ECDC 2016). WHO nadała szczepieniom przeciwko pneumokokom najwyższy*



priorytet wśród chorób zakaźnych, którym można zapobiegać poprzez szczepienia (WHO 2012).

W treści projektu programu przedstawiono wszystkie etapy programu, harmonogram realizacji programu oraz warunki realizacji PPZ dotyczące personelu, wyposażenia i warunków lokalowych, a także opis jego monitorowania oraz ewaluacji, koszty jednostkowe i ogólne.

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.441.45.2019 „Program profilaktyczny przeciwko zakażeniom pneumokokowym wśród mieszkańców Elbląga po 65 roku życia z grupy ryzyka” realizowany przez: Miasto Elbląg, Warszawa, kwiecień 2019 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki zakażeń pneumokokowych – wspólne podstawy oceny”, z marca 2014 r.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 128/2019 z dnia 6 maja 2019 roku
w sprawie oceny zasadności finansowania ze środków publicznych,
w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku
Mabthera (rytuksymab) we wskazaniu: katastrofalny zespół
antyfosfolipidowy (ICD-10: M35.8)**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku Mabthera (rytuksymab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji 10 mg/ml, we wskazaniu: katastrofalny zespół antyfosfolipidowy (ICD-10: M35.8).

Uzasadnienie

Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek

Katastrofalny zespół antyfosfolipidowy (CAPS) stanowi rzadką postać zespołu antyfosfolipidowego, w której w bardzo krótkim czasie dochodzi do niewydolności wielonarządowej. Jest on stanem zagrażającym życiu, wymagającym intensywnego leczenia. Choroba charakteryzuje się wysoką śmiertelnością. U chorego, którego dotyczy wniosek, stosowano już w leczeniu glikokortykosteroidy, heparyny drobnocząsteczkowe, preparaty antagonistyczne dla witaminy K, rywaroksaban, cyklofosfamid, plazmaferezy oraz leczenie operacyjne powikłań (trombembolektomia).

Skuteczność kliniczna i praktyczna

Odnaleziono jedno badanie retrospektywne opisowe (Berman 2013), w którym przeprowadzono przegląd międzynarodowego rejestru pacjentów z CAPS. Ustąpienie objawów epizodu CAPS odnotowano u 8/12 (67%) pacjentów, u których rytuksymab stosowano po niepowodzeniu uprzedniej terapii. Dowody naukowej słabej jakości wskazują, więc, na aktywność wnioskowanego leku w omawianym wskazaniu.

Bezpieczeństwo stosowania

Bezpieczeństwo stosowania rytuksymabu jest dobrze poznane we wskazaniach rejestracyjnych, obejmujących głównie schorzenia hematologiczne i RZS. Obserwowano różnego rodzaju działania niepożądane związane z infuzją, w tym zespół uwalniania cytokin. Po dożylnym podaniu produktów białkowych obserwowano występowanie reakcji anafilaktycznych lub innych reakcji



nadwrażliwości, wśród często występujących zdarzeń niepożądanych wymieniano także infekcje i reakcje skórne. W badaniu Berman 2013 nie oceniano występowania zdarzeń niepożądanych.

Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania

Zdaniem ekspertów, pomimo skąpych dowodów naukowych na bezpieczeństwo i skuteczność stosowania rytuxymabu w CAPS, korzyści zdrowotne wydają się wyraźnie przewyższać ryzyka stosowania.

Konkurencyjność cenowa

Koszt analizowanej terapii dla 1 pacjenta przy zakładanym dawkowaniu i koszcie wg zlecenia MZ wyniesie ██████████ zł brutto, natomiast przy przyjęciu kosztów na podstawie danych DGL koszt ten wyniesie 34,1 tys. zł. Przy przyjęciu dawkowania rytuksymabu na podstawie najczęściej stosowanego sposobu dawkowania opisanego w publikacji Berman 2013 (1000 mg/ 2 tygodnie – 2 podania), koszty leczenia pacjentów byłyby niższe.

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

Przy założeniu, że pacjenci z populacji docelowej będą leczeni przez 1 miesiąc, koszt terapii rytuksymabem nowo zdiagnozowanych chorych dla płatnika publicznego wyniesie w zależności od przyjętej liczebności populacji (2 –10 pacjentów) od ok. ██████████ przy przyjęciu cen leków na podstawie zlecenia MZ i od ok. 68,1 tys. do 340,7 tys. zł przy przyjęciu cen leków na podstawie danych DGL.

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

Formy terapii zalecane w pierwszej linii leczenia katastrofalnego zespołu antyfosfolipidowego to glikokortykosteroidy, heparyny, plazmaferezy, dożylnie immunoglobuliny. Terapie te zostały wykorzystane u chorego, którego dotyczy wniosek. Jeden z ekspertów, jako alternatywę dla rytuksymabu, wskazał ekolizumab. Lek ten nie jest jednak wymieniany w wytycznych postępowania klinicznego w omawianej jednostce chorobowej. W związku z tym należy uznać, że komparatorem dla analizowanej technologii pozostaje najlepsza terapia wspomagająca.

Uwaga Rady:

- należy zastosować najtańszy preparat rytuksymabu dostępny w Polsce.

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.422.32.2019 „Mabthera (rituximab) we wskazaniu: katastrofalny zespół antyfosfolipidowy (ICD-10: M35.8)”. Data ukończenia: 30 kwietnia 2019 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Roche Registration GmbH).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Roche Registration GmbH 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: Roche Registration GmbH



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 34/2019 z dnia 6 maja 2019 roku
w sprawie oceny leku Brineura (cerliponaza alfa) w ramach programu
lekowego „Leczenie lipofuscynozy neuronalnej typu 2
(ICD-10: E75.4)”**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Brineura (cerliponaza alfa) roztwór do infuzji, 150 mg/5 ml, 300 mg, 2 fiol. 5 ml + 1 fiol. 5 ml roztw., przepłukującego, kod EAN 5909991350994, w ramach programu lekowego „Leczenie lipofuscynozy neuronalnej typu 2 (ICD-10: E75.4)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem znacznego obniżenia ceny leku oraz wprowadzenia mechanizmu dzielenia ryzyka, polegającego na zwrocie przez wnioskodawcę dotychczas poniesionych kosztów leczenia w przypadku pogorszenia stanu klinicznego pacjenta o 2 i więcej w skali ML CLN2. Kryteria włączenia do programu lekowego powinny być takie same jak w badaniu klinicznym, będącym podstawą wniosku refundacyjnego (Schulz i wsp. NEJM 2018).

W projekcie programu lekowego Rada proponuje zmienić zapis, dotyczący wykonywania zabiegu implantacji zbiornika Rickhama z neurochirurga dziecięcego na neurochirurga oraz wprowadzić wymóg wideo-rejestracji stanu klinicznego chorego.

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. 2017 poz. 1844 z późn. zm.) w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego: Brineura (cerliponaza alfa) roztwór do infuzji, 150 mg/5 ml, 300 mg, 2 fiol. 5 ml + 1 fiol. 5 ml roztw., przepłukującego, kod EAN 5909991350994, w ramach programu lekowego: „Leczenie lipofuscynozy neuronalnej typu 2 (ICD-10: E75.4)”.



Dowody naukowe

Lipofuscynoza neuronalna typu 2 (CLN2), jest ultrarazadką (częstość o 0,46 na 100 tys. żywych urodzeń) lizosomalną chorobą spichrzeniową z grupy ceroidolipofuscynoz neuronalnych, wywołaną przez niedobór tripeptydylopeptydazy 1 (TPP 1). U pacjentów dotkniętych tą chorobą dochodzi do zahamowania rozwoju psychoruchowego, napadów padaczkowych oraz innych zaburzeń funkcjonowania ośrodkowego układu nerwowego (ataksja, mioklonie, zaburzenia mowy, widzenia i poruszania się). Wraz z postępowaniem choroby objawy pogłębiają się prowadząc do stanu odkorowania. Zgon chorych następuje najczęściej pod koniec pierwszej i w drugiej dekadzie życia.

Brineura (cerliponaza alfa – CER) jest rekombinowaną formą ludzkiej tripeptydylopeptydazy 1, której podawanie koryguje jej uwarunkowany genetycznie niedobór. Dostępne dowody naukowe na skuteczność i bezpieczeństwo leku pochodzą z jednego, prospektywnego, jednoramiennego badania eksperymentalnego (Schulz 2018) w populacji pacjentów z CLN2 w porównaniu z nieleczonymi pacjentami z naturalnym przebiegiem CLN2. W okresie obserwacji wynoszącym 96 tyg. w grupie CER nie osiągnięto mediany czasu do trwałego 2-punktowego obniżenia w skali oceniającej funkcje motoryczne i językowe (ML CLN2), co wskazuje na stabilizację stanu klinicznego, przy czym w grupie poddanej leczeniu objawowemu (BSC) czas ten wyniósł 345 dni. Różnice między CER a BSC były istotne statystycznie na korzyść ocenianej interwencji w ocenie ogólnej skali ML CLN2, funkcji motorycznych i językowych (odpowiednio HR = 0,08 (95% CI: 0,02; 0,23), HR = 0,04 (95% CI: 0,00; 0,29) i HR = 0,15 (95% CI: 0,04; 0,52)). Ponadto, różnice między CER a BSC były istotne statystycznie na korzyść ocenianej interwencji pod względem zmian średniego wyniku zarówno [redacted], jak i w wersji uwzględniającej [redacted] oraz pełnej oceny CLN2 (funkcje motoryczne, językowe, wzrokowe, drgawki) zarówno w 48 jak i 96. tyg. obserwacji [redacted]

Odnaleziono 2 rekomendacje pozytywne (HAS 2018 – Francja oraz G-BA/IQWiG 2017 - Niemcy) i 2 rekomendacje negatywne (PBAC 2018 – Australia oraz NCPE

2019 - Irlandia) dotyczące stosowania CER u pacjentów z CLN2. W rekomendacjach podkreślano, że jest to jedyna efektywna technologia w leczeniu CLN2. Jednocześnie zwracano uwagę na wrażliwość dotyczącą tolerancji długotrwałego podawania leku, brak danych dotyczących długoterminowej skuteczności, a także na bardzo wysoki koszt leku. W dwóch agencjach technologia jest w trakcie oceny (NICE – Wielka Brytania i CADTH - Kanada). Polscy eksperci kliniczni poproszeni o opinię poparli finansowanie wnioskowanej technologii.

Analiza bezpieczeństwa

W badaniu Schulz 2018 okres obserwacji dla oceny bezpieczeństwa CER wyniósł 117 tyg. Działania i zdarzenia niepożądane zgłaszano u co najmniej [redacted] pacjentów, w ramach których raportowano [redacted], nie raportowano zgonów.

Według danych FDA z 2017 r. stosowanie CER może wiązać się z powikłaniami wynikającymi z zastosowania urządzenia podającego lek do komory mózgowej, ryzykiem rozwoju zaburzeń sercowo-naczyniowych oraz reakcjami nadwrażliwości po infuzji. Wśród najczęściej występujących działań niepożądanych ($\geq 8\%$) wskazano między innymi: gorączkę, zmiany w zapisie EKG, zmiany w stężeniu białka w płynie mózgowo-rdzeniowym, wymioty, drgawki, bóle głowy, zakażenia, bradykardię, hipotonię. Wymienione w dokumencie FDA 2017 działania niepożądane są zbieżne z wskazanymi w ChPL Brineura działaniami niepożądanymi występującymi bardzo często ($\geq 1/10$).

Problem ekonomiczny

Wnioskodawca przeprowadził analizę ekonomiczną formie analizy kosztów-użyteczności. Finansowanie ocenianej technologii w porównaniu z BSC [redacted]

Analiza wpływu na budżet wskazuje, że [redacted]

Główne argumenty decyzji

Brineura jest jedynym lekiem, który w chwili obecnej wykazuje skuteczność w leczeniu CLN2. Dostępne dane wskazują na zadowalającą skuteczność kliniczną oraz akceptowalny profil bezpieczeństwa (w horyzoncie 96 tygodni).

Należy jednakże zauważyć, że dane dotyczące skuteczności leku pochodzą z pojedynczego badania klinicznego z historyczną grupą kontrolną. Brak jest także danych wskazujących, że wywołane leczeniem, zahamowanie postępu choroby ma charakter trwały. Lek jest [redacted]

Rekomendacje refundacyjne

są rozbieżne. Podkreśla się w nich, że jest to pierwsza skuteczna technologia stosowana w tym schorzeniu, wskazując jednocześnie bardzo wysoki koszt leku. Lek jest finansowany w 11 krajach EU, w tym w 3 o PKB porównywalnym do Polski.

Biorąc pod uwagę fakt, że Brineura jest jedynym lekiem wykazującym skuteczność w leczeniu CLN2, Rada rekomenduje finansowanie wnioskowanej technologii pod warunkiem znacznego obniżenia kosztów leczenia, konieczne jest także wprowadzenie dodatkowego elementu do instrumentu podziału ryzyka, gwarantującego zwrot płatnikowi publicznemu poniesionych kosztów leku w przypadku braku trwałego zahamowania postępu choroby.

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 2019 r., poz. 784), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.6.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leku Brineura (cerliponaza alfa) w ramach programu lekowego: Leczenie lipofuscynozy neuronalnej typu 2 (ICD-10: E75.4)”. Data ukończenia: 26 kwietnia 2019.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (BioMarin International Limited).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem BioMarin International Limited 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: BioMarin International Limited



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 35/2019 z dnia 6 maja 2019 roku

w sprawie oceny leku Repatha (ewolokumab) w ramach programu lekowego „Leczenie hipercholesterolemii rodzinnej (ICD-10 E78.01)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- Repatha, ewolokumab, roztwór do wstrzykiwań, 140 mg, 2 wstrzykiwacze, EAN: 5909991224370,
- Repatha, ewolokumab, roztwór do wstrzykiwań, 140 mg, 1 wstrzykiwacz, EAN: 5909991224363,

w ramach programu lekowego „Leczenie hipercholesterolemii rodzinnej (ICD-10 E78.01)”

Rada Przejrzystości uznaje

Rada uważa, że program lekowy powinien obejmować wszystkie refundowane inhibitory PCSK9, włączone do jednej grupy limitowej „inhibitory PCSK9” i wydawane chorym bezpłatnie.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

W Stanowiskach nr 166/2015 i 167/2015 z dnia 28 grudnia 2015 Rada Przejrzystości uznała za przedwczesne objęcie refundacją produktów leczniczych Repatha (ewolokumab), ze względu na brak dostatecznych dowodów naukowych w momencie podejmowania decyzji. Na liście leków refundowanych (z 26 października 2018 r.) znajduje się Alirokumab, którego refundację (biorąc pod uwagę pozytywną opinię Rady z dnia 15 stycznia 2018 roku) 17 stycznia 2018 roku rekomendował Prezes Agencji, w ramach programu lekowego: „Leczenie hipercholesterolemii rodzinnej alirokumabem (ICD-10 E78.01).” Treść proponowanego obecnie programu lekowego dla ewolokumabu jest tożsama z treścią programu dla alirokumabu.



Dowody naukowe

Umiarkowanej i dobrej jakości dowody naukowe potwierdzają skuteczność ewolukumabu w obniżaniu poziomu cholesterolu LDL oraz korzystny wpływ leku na występowanie liczonej łącznie niekorzystnych zdarzeń sercowo-naczyniowych (w postaci złożonego punktu końcowego obejmującego liczone łącznie: zgony sercowo-naczyniowe, zawały serca, udary, hospitalizacje z powodu niestabilnej choroby wieńcowej oraz zabiegi rewaskularyzacji) (badanie FOURIER ClinicalTrials.gov, NCT01764633). Należy jednak odnotować, że pomimo obniżenia poziomu cholesterolu LDL, w badaniu nie odnotowano istotnego wpływu terapii na śmiertelność całkowitą lub sercowo-naczyniową, przy medianie czasu obserwacji wynoszącej 26 miesięcy.

Problem ekonomiczny

Zakładając (wobec braku porównań bezpośrednich) podobną skuteczność i bezpieczeństwo ewolokumabu i alirokumabu oraz podawanie obu leków w takich samych odstępach czasowych, koszt nabycia ewolokumabu powinien być w horyzoncie rocznym nie wyższy niż koszt alirokumabu. Ze względu na brak możliwości dokładnego oszacowania wielkości populacji możliwej do objęcia programem lekowym, Rada sugeruje ustalenie progu rocznych kosztów możliwych do poniesienia przez płatnika publicznego (mechanizm cappingu).

Główne argumenty decyzji

Umiarkowanej jakości dowody naukowe wskazują na skuteczność ewolokumabu w obniżaniu poziomu cholesterolu LDL oraz korzystny wpływ leku na występowanie niekorzystnych zdarzeń sercowo-naczyniowych. W chwili obecnej na liście leków znajduje się inny inhibitor PCSK9. Zasadne jest, aby oba preparaty stosowane były w ramach jednego programu lekowego. Szacowanie wielkości populacji możliwej do objęcia programem lekowym obarczone jest dużym marginesem niepewności.

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 2019 r., poz. 784), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4331.5.2019 „Wniosek o objęcie refundacją leków Repatha (ewolokumab) w ramach programu lekowego »Leczenie hipercholesterolemii rodzinnej (ICD-10 E78.01)«”. Data ukończenia: 25.04.2019.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Amgen 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: Amgen Sp.z.o.o